



2020年12月25日

各位

会 社 名 アステラス製薬株式会社
代 表 者 代表取締役社長 CEO 安川 健司
(コード: 4503、東証第一部)
(URL <https://www.astellas.com/jp/>)
決 算 期 3月
問 い 合 わ せ 先 コーポレート・アドボカシー&リレーション部長
藤井 郁乃
(Tel: 03-3244-3201)

X連鎖性ミオチューブラーミオパチー(XLMTM)患者を 対象としたAT132の臨床試験(ASPIRO試験)の 差し止め解除通知をFDAから受領

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長 CEO:安川 健司、以下「アステラス製薬」)は、子会社である Audentes Therapeutics, Inc.(米国カリフォルニア州、以下「Audentes社」)が、X連鎖性ミオチューブラーミオパチー(XLMTM)患者を対象とした遺伝子治療AT132の臨床試験(ASPIRO試験)について、米国食品医薬品局(FDA)から差し止め解除の通知を受領したことをお知らせします。XLMTMは、重度の筋力低下と呼吸障害により若くして死に至る、重篤で致死的な神経筋疾患です。

アステラス製薬とAudentes社は、現在治療法のないXLMTMと共に生きる患者さんとそのご家族のためにAT132を安全に開発することに深くコミットしています。現在、ASPIRO試験に登録されたものの未投与であった患者さんへの投与再開に向け、臨床および薬事上の必要な手続きを進めています。今後、AT132の承認申請に向け、各規制当局と協議をしていく予定です。

以上

XLMTMについて

XLMTMは、重度の筋力低下と呼吸障害により若くして死に至る、重篤で致死的な神経筋疾患です。生後18カ月時点の推定生存率は50%とされており、乳児期を過ぎて生存した患者さんの場合、10歳までの推定生存率はさらに25%とされています。XLMTMは、骨格筋細胞の正常な発達、成熟および機能に必要なタンパク質であるミオチューブラリンの欠損または機能不全をもたらすMTM1遺伝子変異によって引き起こされ、およそ40,000~50,000人の新生児男子に1人の割合で発症する疾患です。

XLMTM は度重なる入院および外科的介入などにより、患者さんやご家族および医療システムに大きな負担がかかります。XLMTM 患者さんの 80%以上が人工呼吸器による補助を必要とし、多くの場合、栄養補給のための胃瘻カテーテルを必要とします。また、ほとんどの患者さんにおいて、正常な運動発達マイルストーンの遅延や未達がみられます。現在治療はなく、補助人工呼吸器や栄養チューブなどの支持療法の選択肢しかありません。

ASPIRO 試験について

ASPIRO 試験は、5 歳未満の XLMTM 患者を対象に、AT132 の安全性および予備的有効性を評価する 2 つの部分からなる国際共同無作為化非盲検漸増投与試験です。主要評価項目には、安全性(有害事象および一定の臨床検査値)および有効性(神経筋機能および呼吸機能の評価)が含まれます。副次評価項目には、疾患の負担や健康に関連する生活の質(QOL)、ならびに筋組織学的およびバイオマーカーによる評価が含まれます。ASPIRO 試験の詳細については、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

XLMTM の治療薬 AT132 について

アステラス製薬の子会社である Audentes 社は、XLMTM の治療のための、MTM1 遺伝子の機能コピーを有する AAV8 ベクター、AT132 を開発しています。AT132 は、一度の静脈内投与により標的とする骨格筋に AAV8 を送り込み、その標的組織においてミオチューブラリン発現を増加させることにより、患者さんの転帰を有意に改善させることが期待されています。

AT132 は、FDA から「再生医療・先端治療(RMAT)」、「希少小児疾病(Rare Pediatric Disease)」、「ファストトラック(Fast Track)」、「希少疾病用医薬品(Orphan Drug)」の指定、および欧州医薬品庁(EMA)から「優先医薬品(Priority Medicines: PRIME)」、「希少疾病用医薬品(Orphan Drug)」の指定を受けています。

アステラス製薬株式会社について

アステラス製薬は、世界 70 カ国以上で事業活動を展開している製薬企業です。最先端のバイオロジーやモダリティ/テクノロジーの組み合わせを駆使し、アンメットメディカルニーズの高い疾患に対する革新的な医薬品の創出に取り組んでいます(Focus Area アプローチ)。さらに、医療用医薬品(Rx)事業で培った強みをベースに、最先端の医療技術と異分野のパートナーの技術を融合した製品やサービス(Rx+®)の創出にも挑戦しています。アステラス製薬は、変化する医療の最先端に立ち、科学の進歩を患者さんの価値に変えていきます。アステラス製薬の詳細については、(<https://www.astellas.com/jp/>) をご覧ください。

注意事項

このプレスリリースに記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んでいます。さまざまな要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、このプレスリリースに含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。