

ベネトクラクスについては、国内において再発又は難治性の慢性リンパ性白血病(小リンパ球性リンパ腫を含む)および急性骨髄性白血病の治療薬として承認されていますが、本文中に記載のある再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫(MCL)の適応症は承認されていません。

## PRESS RELEASE

2024年6月24日

### アッヴィ、国内でのベネトクラクスについて、再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫(MCL)を予定とする効能・効果として、希少疾病用医薬品の指定を取得

- マントル細胞リンパ腫(Mantle Cell Lymphoma: MCL)は高齢者に多く発症し、約 90% の患者さんが初発時において進行期にあり、その多くは再発又は再燃に至る<sup>1</sup>
- 日本において MCL は非ホジキンリンパ腫(NHL)症例全体の約 3%であり<sup>2</sup>、MCL 患者数は約 2,000 人<sup>3</sup>
- 国内で本効能・効果が承認された場合、ベネトクラクスにとって、再発又は難治性の慢性リンパ性白血病(小リンパ球性リンパ腫を含む)および急性骨髄性白血病に続く、新たな適応症に

アッヴィ合同会社(本社:東京都港区、社長:ジェームス・フェリシアーノ)は、2024年6月19日、経口 BCL-2 阻害薬「ベネトクラクス」について、再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫(Mantle Cell Lymphoma: MCL)を予定とする効能・効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を取得しました。

MCL は悪性リンパ腫の非ホジキンリンパ腫(NHL)に分類され、リンパ節のマントル帯に由来する B リンパ球(白血球の一種)ががん化する B 細胞リンパ腫の 1 つです。現在、欧米では NHL 症例全体の約 6-9%で<sup>4,5</sup>、増加傾向にあります。日本国内では NHL 症例全体の約 3%で<sup>2</sup>、MCL 患者数は約

2,000人と報告されています<sup>3</sup>。60歳代半ばの患者さんで多く発症し、男女比では女性よりも男性に多いとされています。約90%の患者さんは、初発時に病期Ⅲ期又はⅣ期の進行期にあります<sup>1</sup>。また、多くの場合、MCLの初回治療後、高齢者では2-3年、若齢者では約5年で再発又は再燃に至ると報告されています<sup>6</sup>。

現在、日本ではMCLに対する標準治療は確立されておられません<sup>7</sup>。自家造血幹細胞移植治療に適応のある患者さんは、強化型化学療法後に自家造血幹細胞移植を行うことを推奨されていますが、大部分のMCL患者さんは高齢であり、強化型化学療法が適応とならないことが多いのが現状です。強化型化学療法が困難なMCL患者さんにおいては、推奨された複数の初期治療法がある一方で、これらの初期治療では高い全奏効率(ORR)を示すことがあっても、大部分の患者さんは最終的には再発します<sup>8</sup>。再発した場合、化学療法の効果は薬剤に関係なく一次治療の効果より劣るほか、急速な進行が認められうるため<sup>9</sup>、良好な忍容性を維持しつつ再発又は難治性のMCL患者さんの予後の改善を目指す新たな治療法の開発が求められています。

ベネクラクスのMCLに対する適応症については、現在日本で開発中です。国内において再発又は難治性のMCLの効能・効果が承認された場合、ベネクラクスにおいて再発又は難治性の慢性リンパ性白血病(小リンパ球性リンパ腫を含む)および急性骨髄性白血病に続く、新たな適応症となります。

### がん分野におけるアッヴィについて

アッヴィでは、治療困難ながんと向き合う患者さんのために標準治療の変革に取り組んでいます。血液がんおよび固形がんの幅広いがん種に対する治験薬の開発を積極的に推進しています。私たちは、がん細胞の増殖を阻害したり、排除したりする分子標的治療薬の創製に注力しています。抗体薬物複合体(ADC)、がん免疫療法、二重特異性抗体、CAR-Tプラットフォームなど、さまざまな標的治療手段を通じてこれを実現しています。献身的で経験豊富な当社のチームは、革新的なパートナーと協力し、画期的新薬となり得る製品の開発促進に努めています。現在、当社の幅広いオンコロジーポートフォリオは、さまざまな血液がんおよび固形がんに対する既承認薬および治験薬で構成されています。当社は、世界で最も罹患者が多く、また最も消耗性が高いがん種に対し、20種類を超える治験薬を複数の臨床試験で評価しています。当社の事業の目的は、人々の人生を豊かにすることです。そのため、



患者さんが当社のがん治療薬にアクセスすることができるよう、ソリューションの探求にも取り組んでいます。詳細については、<http://www.abbvie.com/oncology>をご覧ください。

### ベネトクラクスについて

ベネトクラクスは、B 細胞リンパ腫 2 (BCL-2) タンパク質に対し、選択的に結合および阻害するファーストインクラスの薬剤です。一部の血液がんでは、BCL-2 がアポトーシスと呼ばれるがん細胞の自然死または自己破壊の過程を阻止します。ベネトクラクスは、BCL-2 タンパク質を標的とし、アポトーシスの過程を回復させる作用があります。

ベネトクラクスは、アッヴィとロシュ社が開発を行っています。米国ではアッヴィとロシュグループの一員であるジェネンテック社が共同販売しており、米国以外ではアッヴィが販売しています。これらの企業が共同で BCL-2 研究に取り組んでおり、種々の血液がんおよび他のがんを対象に、複数の臨床試験でベネトクラクスを評価しています。ベネトクラクスは、米国を含め 80 を超える国で承認されています。

### アッヴィについて

アッヴィのミッションは現在の深刻な健康課題を解決する革新的な医薬品の創製と提供、そして未来に向けて医療上の困難な課題に挑むことです。一人ひとりの人生を豊かなものにするため次の主要領域に取り組んでいます。免疫疾患、がん、精神・神経疾患、アイケア、さらに美容医療関連のアラガン・エステティクスポートフォリオの製品・サービスです。アッヴィの詳細については、[www.abbvie.com](http://www.abbvie.com) をご覧ください。[Facebook](#)、[Instagram](#)、[X\(旧 Twitter\)](#) や [YouTube](#) や [LinkedIn](#) でも情報を公開しています。

日本においては主に、免疫疾患、肝疾患、精神・神経疾患、がん、アイケアの領域、さらに美容医療関連のアラガン・エステティクスのポートフォリオで、製品の開発と提供に取り組んでいます。アッヴィの詳細については、[www.abbvie.co.jp](http://www.abbvie.co.jp) をご覧ください。[Facebook](#) や [YouTube](#) でも情報を公開しています。

- 
1. Chihara D, Asano N, Ohmachi K, et al. Prognostic model for mantle cell lymphoma in the rituximab era: a nationwide study in Japan. *Br J Haematol*. 2015;170(5):657-68.
  2. Lymphoma Study Group of Japanese Pathologist. The World Health Organization classification of malignant lymphomas in Japan. Incidence of recently recognized entities. *Pathol Int*. 2000;50(9):696-702.
  3. 「政府統計の総合窓口(e-Stat)」.統計で見る日本.患者調査 令和2年度患者調査 確定数 全国編 閲覧(報告書非掲載表), 閲覧第 119 表 総患者数, 傷病基本分類別, <https://www.e-stat.go.jp/dbview?sid=0004002720>
  4. Zhou Y, Wang H, Fang W, et al. Incidence trends of mantle cell lymphoma in the United States between 1992 and 2004. *Cancer*. 2008;113(4):791-8.
  5. Dreyling M, Geisler C, Hermine O, et al. Newly diagnosed and relapsed mantle cell lymphoma: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol*. 2014;25 Suppl 3: iii83-iii92.
  6. Mubarak Al-Mansour. Treatment Landscape of Relapsed/Refractory Mantle Cell Lymphoma: An Update Review. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2022;22(11):1019-31.
  7. 日本血液学会血器腫瘍診療ガイドライン 2023 年度版 ([http://www.jshem.or.jp/gui-hemali/2\\_4.html](http://www.jshem.or.jp/gui-hemali/2_4.html))
  8. Parrot M, Rule S, Kelleher M, et al. A Systematic Review of Treatments of Relapsed/Refractory Mantle Cell Lymphoma. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2018;18(1):13-25. e6.
  9. Rule S. The modern approach to mantle cell lymphoma. *Hematol Oncol*. 2019;37 Suppl 1:66-9.