



\* ベネトクラクスについては、国内において再発／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)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急性骨髄性白血病の適応症は承認されていません。

## PRESS RELEASE

2020年6月24日

### アッヴィ、国内において、ベネトクラクスの急性骨髄性白血病に対する 希少疾病用医薬品の指定を取得

- 急性骨髄性白血病 (Acute Myeloid Leukemia: AML) は、最も悪性度が高く、治療困難な血液がんの 1 つ<sup>1,2</sup>
- AML は世界で最も多い急性白血病で、全世界で 16 万人が AML を有し、本邦における AML 患者数は約 7,000 人<sup>5,6</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／難治性の慢性リンパ性白血病および小リンパ球性リンパ腫に続く、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、6月22日、経口 BCL-2 阻害薬「ベネトクラクス」について、急性骨髄性白血病 (Acute Myeloid Leukemia: AML) を予定される効能・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。

AML は最も悪性度が高く、治療困難な血液がんのひとつで、生存率が極めて低い疾患です<sup>1,2</sup>。治療法やケアの進歩にもかかわらず、AML と診断された患者さんの 5 年生存率は約 28%にとどまっています<sup>3</sup>。また AML は世界で最も多い急性白血病で、現在、全世界で 16 万人が AML を有し、10 万人当たりの新規発症数は 103 人と推定されています<sup>4</sup>。本邦における AML の総患者数は、約 7,000 人と報告されています<sup>5</sup>。

日本では、強力な寛解導入療法の適応とならない未治療の AML に対する標準的治療はなく、使用可能な治療法は低用量シタラピン単剤療法のみです。60 歳以上の AML 患者さんのうち、最適な結果を得るために必要とされる強力な化学療法を行うことのできる患者さんは約 3 分の 1 に過ぎません<sup>6</sup>。



ベネトクラスの AML に対する適応症については、現在日本において開発中であり、その安全性および有効性は確立されていません。国内において AML の効能・効果が承認された場合、ベネトクラスにとって再発／難治性の慢性リンパ性白血病および小リンパ球性リンパ腫に続く、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、当社が持つ生物学の中心分野における深い知識を、最先端の技術と独自に組み合わせ、科学者、臨床専門家、同業企業、支援団体、患者さんなどのパートナーと協力して、がん治療に変革をもたらす医薬品の発見と開発に努めています。当社は、一部の非常に消耗性の高い広範囲ながんの治療法において、革新的な進歩を実現することに重点を置いています。また、患者さんが当社のがん治療薬を使用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。現在、アッヴィのがん分野のポートフォリオは、市販されている医薬品と複数の新規分子を含むパイプラインで構成されています。それらは 20 種類を超える、異なる型の腫瘍について、300 件以上の臨床試験において世界中で評価されています。詳細については <http://www.abbvie.com/oncology> をご覧ください。

### ベネトクラスについて

ベネトクラスは 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。いくつかの血液がんでは、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。ベネトクラスは、BCL-2 タンパク質を標的とし、がん細胞により失われた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。これら数社の共同で 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、複数の臨床試験においてベネトクラスを評価しています。ベネトクラスは、米国を含め 50 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。患者さん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、神経疾患、アイケア、ウイルス、ウイメンズヘルス、消化器疾患、さらに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。Twitter アカウント [@abbvie](https://twitter.com/abbvie)、[Facebook](https://www.facebook.com/abbvie)、[LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/abbvie) や [Instagram](https://www.instagram.com/abbvie) でも情報を公開しています。



日本においては、1,200 人を超える社員が、医療用医薬品の開発、輸入、製造販売に従事しています。自己免疫疾患、新生児、肝疾患、神経疾患、がんの各領域を中心に、患者さんの人生を豊かにしたいと願い、日々の業務に取り組んでいます。詳しくは、[www.abbvie.co.jp](http://www.abbvie.co.jp)をご覧ください。

- 
1. Döhner H, et al. Acute myeloid leukemia. N Engl J Med. 2015;373(12):1136-1152.
  2. American Cancer Society (2018). Typical Treatment of Most Types of Acute Myeloid Leukemia (Except Acute Promyelocytic M3). <https://www.cancer.org/cancer/acute-myeloid-leukemia/treating/typical-treatment-of-aml.html>.
  3. National Cancer Institute (2018). Acute Myeloid Leukemia - SEER Stat Fact Sheets. <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/amyl.html>.
  4. Puty, T.C., Sarraf, J.S., Do Carmo Almeida, T.C. et al. Evaluation of the impact of single-nucleotide polymorphisms on treatment response, survival and toxicity with cytarabine and anthracyclines in patients with acute myeloid leukaemia: a systematic review protocol. Syst Rev 8, 109 (2019).
  5. 厚生労働省患者調査(平成 29 年) <https://www.mhlw.go.jp/toukei/saikin/hw/kanja/10syoubyo/>
  6. Texas Oncology (2018). Acute Myeloid Leukemia Consolidation. <https://www.texasoncology.com/types-of-cancer/leukemia/acute-myeloid-leukemia/acute-myeloid-leukemia-consolidation>.