

2020年6月22日

ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社

## キメラ抗原受容体 T 細胞 (CAR T 細胞) 療法 lisocabtagene maraleucel、 再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫に係る再生医療等製品製造販売承認を申請

ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社 (本社：東京都新宿区、代表取締役社長：ジャン＝クリストフ・バルラン) は、当社のグループ会社であるセルジーン株式会社 (本社：東京都千代田区、代表取締役社長：ジャン＝クリストフ・バルラン) が、本日、CD19 を標的とする自家キメラ抗原受容体 T 細胞 (CAR T 細胞) 療法 lisocabtagene maraleucel (liso-cel 又は JCAR017) について、再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫を対象とした再生医療等製品製造販売承認申請を行いましたことをお知らせします。

今回の承認申請は、再発又は難治性の B 細胞非ホジキンリンパ腫患者を対象とした外国第 1 相臨床試験及び再発又は難治性のアグレッシブ B 細胞非ホジキンリンパ腫患者を対象とした国際共同第 2 相臨床試験で得られた有効性及び安全性の結果に基づいています。

大細胞型 B 細胞リンパ腫は、非ホジキンリンパ腫に該当し、びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL) をはじめとする複数の病型が含まれます。再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫に対する標準的な治療法は確立しておらず<sup>1</sup>、新たな治療法の開発が期待されています。

lisocabtagene maraleucel は、「アグレッシブ B 細胞性非ホジキンリンパ腫 (NHL)」を対象疾患として厚生労働省より希少疾病用再生医療等製品に指定されています。海外では、米国食品医薬品局 (FDA) から「DLBCL 非特定型 (de novo、インドレントリンパ腫からの転化)、縦隔原発性 B 細胞性リンパ腫 (PMBCL)、及び Grade 3b 濾胞性リンパ腫 (FL) を含む再発又は難治性のアグレッシブ大細胞型 B 細胞性 NHL」を対象疾患とした Breakthrough Therapy に、欧州医薬品庁 (EMA) 医薬品委員会 (CHMP) 及び先進治療委員会 (CAT) から「再発又は難治性の DLBCL」を対象疾患とした Priority Medicines (PRIME) に指定されています。

### lisocabtagene maraleucel について

lisocabtagene maraleucel (liso-cel 又は JCAR017) は、正常な B 細胞の発生時に細胞表面に発現し、B 細胞が悪性化した後も維持される CD19 を標的として設計された自家キメラ抗原受容体 T 細胞 (CAR T 細胞) 療法です。lisocabtagene maraleucel は、CD19 陽性細胞への特異性をもたらす抗 CD19 一本鎖抗体 (scFv) 標的領域、膜貫通ドメイン、T 細胞の増殖性及び持続性を高めると考えられる 4-1BB 共刺激領域、及び CD3 ゼータ T 細胞活性化領域から構成されており、CD19 発現細胞に作用することを目的としています。lisocabtagene maraleucel では、CAR T 細胞の組成 (CD8 細胞及び CD4 細胞) を予め定めることにより、製品間の組成のばらつきを抑制できると考えられますが、規定された組成と臨床的な意義の関連性については、まだ明らかになっていません。

### ブリストル・マイヤーズ スクイブ社：がん研究の最前線

ブリストル・マイヤーズ スクイブ社は、患者さんを全ての活動の中心に据えています。当社は、患者さんに質の高い長期生存をもたらす、治癒を実現することを目標にがん研究を行っています。サイエンスにおける豊富な経験を生かし、最先端の技術と創薬プラットフォームを駆使して、患者さんのために革新的な治療法を開発し、提供しています。

当社は、血液疾患領域およびがん免疫領域における革新的な研究と実績を通じて、さまざまながん腫において生存期間の改善をもたらすとともに、さまざまな治療法を探索し、豊富かつ多様なパイプラインを構築しています。免疫細胞療法分野においては、多数の疾患でCART細胞療法を導入し、細胞・遺伝子治療の標的の発見や技術の発展につながる早期パイプラインを拡大しています。また、多発性骨髄腫における承認済の療法、および早期・中期開発段階にある有望な化合物を生み出す基盤として、タンパク質ホメオスタシスなどの新たなプラットフォームを活用し、主要な生物学的経路を標的としたがん治療法の研究を進めています。当社は、さまざまな免疫経路を標的とした治療法の開発に取り組み、腫瘍、腫瘍の微小環境および免疫系の相互作用に着目することで、より多くの患者さんが奏功を示す治療を提供できるよう、更なる進化を目指しています。このような複数の治療アプローチを融合させることは、がん治療の新たな選択肢を提供し、免疫療法に対する耐性を克服するために重要です。当社は、革新的な医薬品を患者さんに提供するため、社内でイノベーションを創出するとともに、学术界、政府、アドボカシー団体、バイオテクノロジー企業と提携しています。

### ブリストル・マイヤーズ スクイブ社について

ブリストル・マイヤーズ スクイブ社は、深刻な病気を抱える患者さんを助けるための革新的な医薬品を開発し、提供することを使命とするグローバルなバイオフーマ製薬企業です。ブリストル・マイヤーズ スクイブ社に関する詳細については、[BMS.com](https://www.bms.com) をご覧くださいか、[LinkedIn](#)、[Twitter](#)、[YouTube](#)、[Facebook](#) および [Instagram](#) をご覧ください。

セルジーン社およびジュノ・セラピューティクス社は、ブリストル・マイヤーズ スクイブ社の100%子会社です。米国以外の幾つかの国では、現地法の規定により、セルジーン社およびジュノ・セラピューティクス社は「Celgene, a Bristol Myers Squibb Company」および「Juno Therapeutics, a Bristol Myers Squibb Company」と称されています。

### 将来予測等に関する記述の注意事項

本プレスリリースは、特に医薬品の研究、開発および商業化について、1995年民間有価証券訴訟改正法の趣旨の範疇に含まれる「将来予測に関する記述」を含んでいます。歴史的事実ではない全ての記述は、将来予測であるか、将来予測であると見なされるものです。そうした将来予測に関する記述は過去の実績ならびに将来の業績、目標、計画および目的に関する現在の予想および予測に基づくものであり、今後数年間で予測が困難あるいは当社の支配下でない遅延、転換または変更を来す内的または外的要因を含む内在的リスク、仮定および不確実性を伴い、将来の業績、目標、計画および目的が、本文書で記述または示唆されている内容と大きく異なる結果となる可能性があります。これらのリスク、仮定、不確実性およびその他の要因には、特に、**liso-cel**が本プレスリリースに記載された適応症の承認を現在想定している時期に受けられないまたは全く受けられない可能性、また承認された場合でも、そのような製品候補が本プレスリリースに記載された適応症で商業的に成功するかどうかは不明であるという点が含まれています。将来予測に関するいかなる記述も保証されるものではありません。本プレスリリースの将来予測に関する記述は、ブリストル・マイヤーズ スクイブ社の事業と市場に影響を与える多くのリスクおよび不確定要素、特にブリストル・マイヤーズ スクイブ社の2019年12月31日に終了した事業年度通期報告書 (Form 10-K)、その後の四半期報告書 (Form 10-Q) および当期報告書 (Form 8-K) など、当社が証券取引委員会に提出した報告書にリスク要因として記されている不確定要素と共に評価されるべきです。本プレスリリースに記載された将来予測等に関する記述は、本プレスリリースの発表日時点での予測であり、準拠法で特段の定めのない限り、ブリストル・マイヤーズ スクイブ社は、新たな知見、今後の出来事等に因るか否かを問わず、一切の将来予測等に関する記述について、公に更新または修正する義務を負うものではありません。

### 参考文献

1. 日本血液学会 造血器腫瘍診療ガイドライン 2018年版