

MEDIA RELEASE

2022年6月9日

報道関係各位

ノバルティス ファーマ株式会社

この資料は、ノバルティス（スイス・バーゼル）が2022年5月28日（現地時間）に発表したものを日本語に翻訳（要約）したもので、参考資料として提供するものです。資料の内容および解釈については、英語が優先されます。本適応症は日本では未承認です。英語版は、<https://www.novartis.com> をご参照下さい。

ノバルティス、「キムリア®」が再発または難治性の濾胞性リンパ腫の成人患者に対する CAR-T 細胞療法として FDA 承認を取得

- ELARA 試験において「キムリア」投与患者の 68%に完全奏効が認められ、全奏効率は 86%にのぼり、優れた安全性プロファイルも確認¹
- 「キムリア」投与による持続的な臨床的ベネフィットを確認- 完全奏効を達成した患者のうち、85%が 12 カ月後も奏効を維持¹
- 「キムリア」は外来投与が可能であり、治療の柔軟性が高まり、患者やケアチームの治療負担を軽減する可能性^{1,2}
- 「キムリア」は現在、3つの適応症で米国食品医薬品局（FDA）の承認を受けており、成人および小児両方で承認されている唯一の CAR-T 細胞療法¹

2022年5月28日、スイス・バーゼル発—ノバルティスは本日、米国食品医薬品局（FDA）から2ライン以上の全身療法後の再発または難治性（r/r）の濾胞性リンパ腫（FL）の成人患者の治療薬として CAR-T 細胞療法「キムリア®」（一般名：チサゲンレクルユーセル、以下「キムリア」）の迅速承認を得たことを発表しました。迅速承認プログラムに従って、この適応症の承認の継続には、検証的試験での臨床的ベネフィットの検証および説明が条件として課されています。

「キムリア」は現在、3つの適応症で FDA の承認を受けており、成人および小児両方に承認されている唯一の CAR-T 細胞療法です¹。

ノバルティスの米国のイノベティブメディスンのプレジデントである Victor Bulto は、「本日、『キムリア』の3つ目の適応症に対する承認を FDA から得られたことを嬉しく思います。長期奏効をもたらす可能性のあるこの治療選択肢が、濾胞性リンパ腫患者における絶え間なく続く治療サイクルの連鎖を断ち切る助けとなるものと期待しています。」と述べ、「私たちは、細胞療法における先駆けとなる研究を足がかりとして、患者さんへの影響を念頭に革新的な研究を続けていくという使命を負っています。」と続けました。

今回の承認は、単群非盲検試験である第 II 相 ELARA 試験のデータに基づいています。この試験では患者 90 例の有効性を評価し、追跡期間の中央値は約 17 カ月

でした。完全奏効を達成した 68%を含め、キムリアの投与を受けた患者の 86%が奏効を達成しました¹。

完全奏効を達成した患者のうち、最初に奏効が確認されてから 12 カ月時点の奏効維持率は 85%であり、本治療による奏効の長期持続が示されました¹。キムリアは、多くの前治療歴、難治性疾患、初回治療開始後 24 カ月以内の疾患進行歴（POD24）、巨大病変、または濾胞性リンパ腫国際予後指標（FLIPI）スコア High 等を有する高リスク患者において有効であることが示されました¹。

追跡期間の中央値 21 カ月時点で安全性の評価が可能であった患者 97 例で、「キムリア」は優れた安全性プロファイルを示しました¹。患者の 53%にサイトカイン放出症候群（CRS）（Lee 尺度で定義されるグレードを問わず）が発現しましたが、グレード 3 以上の CRS が報告された症例はありませんでした¹。患者の 43%に神経学的事象（グレードを問わず）が発現しましたが、グレード 3 以上の神経学的事象が認められたのは患者の 6%でした¹。患者の 18%（97 例中 17 例）は外来で投与を受けました³。

ペンシルベニア大学 ペレルマン医学大学院の教授（慢性リンパ球性白血病・リンパ腫臨床ケア研究／ロバート&マルガリータ・ルイス・ドレイファス）かつ、アブラムソンがんセンターのリンパ腫プログラム責任者であり、ELARA 試験の治験責任医師でもある Stephen J. Schuster（MD）は、「再発または難治性の濾胞性リンパ腫患者は予後不良であり、意義のある持続的な奏効が得られないまま、いくつもの治療を受け続けなければなりません。」と述べました。「この新しい有効な選択肢は濾胞性リンパ腫患者に長期ベネフィットをもたらす可能性があります。」と続けました。

濾胞性リンパ腫は一般に悪性度の低い種類のがんですが、FL 患者が受ける治療ライン数は中央値で 4 ラインで、多ければ 13 ラインを受けることもあります^{4,5}。複数の全身療法が利用可能ですが、これらのレジメンの有効性は後の治療ラインになるほど急速に低下します⁶。

リンフォーマ・リサーチ・ファンデーションの最高経営責任者である Meghan Gutierrez は、「『キムリア』が承認されたことで、再発または難治性の濾胞性リンパ腫患者には新たな治療選択肢と患者アウトカム改善の新たな希望がもたらされます。」と述べ「この単回投与の治療選択肢を持つことは、医療提供者がこの種の血液がんアプローチする方法を転換するのに役立つでしょう。私たちは患者のベネフィットのために科学研究の加速に貢献している方々を称賛します。」と続けました。

2022 年 5 月初旬、欧州委員会は、「キムリア」を 2 ライン以上の全身療法後の r / r FL 成人患者の治療薬として承認しました。これは、欧州連合内の患者が「キムリア」を利用できる 3 つ目の適応症となります。

細胞・遺伝子治療に対するノバルティスの取り組みについて

ノバルティスでは、4 つのがん治療プラットフォーム（放射性リガンド療法、標的療法、免疫療法、および細胞・遺伝子治療）を独自の戦略として注力しています。この一環として、より多くの患者さんががんから解放された状態で生活できるように、細胞療法による治癒を目指しています。私たちは引き続き、時代に即したイノベーションをさらに前進させるために、科学を開拓し、製造とサプライチェーンのプロセスに投資していきます。

ノバルティスは世界で最初に CAR-T の研究に大規模な投資を行い、世界的規模で CAR-T 治験を開始した製薬会社です。ペンシルベニア大学ペレルマン医学部と共同で開発し、世界で初めて承認された CAR-T 細胞療法の「キムリア」は、CAR-T 細胞療法に対するノバルティスの取り組みの基盤です。

ノバルティスは、「キムリア」をひとりでも多くの患者さんに届けるために取り組んでいます。現在、30 カ国で 1 つ以上の適応症に対し、370 以上の医療機関で「キムリア」が使用可能です。臨床試験および実際の診療において、6,900 例を超える患者さんが投与を受けられました。ノバルティスは、今後も、これまでの経験を活かして次世代 CAR-T 細胞療法の開発を行い、細胞治療の先駆として取り組んでいきます。ノバルティスの新しい T-Charge™ プラットフォームを利用し、適応症を造血器腫瘍全体に拡大させ、さらに他のがん患者さんにも治癒の希望をもたらすことが期待されています。

免責事項

本リリースには、現時点における将来の予想と期待が含まれています。したがって、その内容に関して、また、将来の結果については、不確実な要素や予見できないリスクなどにより、現在の予想と異なる場合があることをご了承ください。なお、詳細につきましては、ノバルティスが米国証券取引委員会に届けております Form20-F をご参照ください。

ノバルティスについて

ノバルティスは、より充実したすこやかな毎日のために、これからの医薬の未来を描いています。私たちは、医薬品のグローバルリーディングカンパニーとして、革新的な科学とデジタルテクノロジーを駆使し、医療ニーズの高い領域で変革をもたらす治療法を開発を行っており、新薬開発のために、常に世界トップクラスの研究開発費を投資しています。ノバルティスの製品は、世界中の8億人以上の患者さんに届けられています。また、私たちは、ノバルティスの最新の治療法に多くの人々がアクセスできるように革新的な方法を追求しています。約11万人の社員が世界中のノバルティスで働いており、その国籍は140カ国以上におよびます。詳細はホームページをご覧ください。

<https://www.novartis.com>

以上

参考文献

1. Kymriah [prescribing information]. East Hanover, NJ: Novartis Pharmaceuticals Corp; 2022.
2. Fowler, NH. et.al. Assessment of Healthcare Resource Utilization and Costs in Patients with Relapsed or Refractory Follicular Lymphoma Undergoing CAR-T Cell Therapy with Tisagenlecleucel: Results from the Elara Study. Abstract #3533. 2021 American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting, Dec 11-14, Atlanta, GA and Virtual.
3. Fowler, N.H., et al. Tisagenlecleucel in adult relapsed or refractory follicular lymphoma: the phase 2 ELARA trial. Nature Medicine. 2021;10.1038/s41591-021-01622-0.
4. Data on File, Novartis, 2020.
5. Schuster, S., et al. Chimeric antigen receptor T cells in refractory B-cell lymphomas. NEJM. 2017;377(26):2545–2554.
6. Sutamtewagul, G. & Link, B.K. Novel treatment approaches and future perspectives in follicular lymphoma. Ther Adv Hematol. 2019; 10:1–20.