



※本リリースは、米国アスピリアン・セラピューティクス社が2018年1月16日（現地時間）に発表したもの（<http://www.aspyriantherapeutics.com/news-room/>）の和文抄訳です。資料の内容および解釈については、英語が優先されますので、あわせてご参照ください。

アスピリアン・セラピューティクス社は、再発性頭頸部扁平上皮がんを対象とした「RM-1929」の臨床開発の進捗として、米国食品医薬品局（FDA）によるファストトラック指定を受けたこと、日本における臨床試験の開始、および本治療法のもたらす抗腫瘍免疫反応の評価も含めた複数のピボタル試験を2018年初頭に開始する計画をお知らせいたします。

- 「RM-1929」が、FDAより再発性頭頸部扁平上皮がんの一次化学療法と二次化学療法のいずれにおいても効果が現れなかった患者を対象とした治療法として、ファストトラック指定を受ける
- 2018年の第1四半期中に「RM-1929」のピボタル試験を開始予定
- 「RM-1929」の日本における第Ⅰ相臨床試験を開始

光免疫療法によるがん治療法の開発を推進するバイオテクノロジー企業であるアスピリアン・セラピューティクス社（本社：サンディエゴ、米国カリフォルニア州、以下「アスピリアン」）は、米国食品医薬品局（FDA）により、局所再発性頭頸部扁平上皮がんに対し、一次化学療法、二次化学療法のいずれにおいても効果が現れなかった患者に向けた治療法として、ファストトラック指定を受けたことをお知らせいたします。

アスピリアンの会長である三木谷 浩史は、次のように述べています。「アスピリアンが、現状に変革を起こすイノベーションをもたらし始めていることを、大変嬉しく思っています。アスピリアンはイノベーションを通じ、人々ががんを克服して生きること（Conquering Cancer, for Life）を実現できるような世界を目指しています。無謀な挑戦だと思う方もいらっしゃるかもしれませんが、私たちはその最終目標に向けて力を尽くしていきます」

「RM-1929」は、現在、米国内において、再発性頭頸部扁平上皮がんに対する第Ⅱ相臨床試験を推進しております（RM-1929/101 試験 [NCT02422979](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02422979)）。すでに患者登録を終え、2018年の第2四半期に主要結果の発表を予定しています。また、FDAとのEnd of Phase II Meetingにおいて、第Ⅱ相臨床試験の暫定的な臨床データについての協議を実施しました。現在、FDAの連邦規則集 Volume 7, Title 21 の Subpart E「Accelerated Approval of Biological Products for Serious or Life-Threatening Illnesses」に基づく迅速な承認に向けた戦略を含め、ピボタル試験のデザインについても討議を実施しております。アスピリアンは、FDAからのフィードバックを踏まえ、「RM-1929」を再発性頭頸部扁平上皮がんに対するグローバル試験開始を2018年の第1四半期中に予定しています。

アスピリアンのチーフ・メディカル・オフィサーのメリル・ビール博士は、次のようにコメントしています。「一次化学療法、二次化学療法を試みても効果が現れなかった局所再発性頭頸部扁平上皮がん患者に対する First-in-class のターゲット治療法として、FDA が「RM-1929」をファストトラック指定としたことをとても嬉しく思います。ファストトラック指定は、大きなアンメット・メディカル・ニーズに対処する「RM-1929」の潜在的な可能性を認めたものと言えます。第Ⅱ相臨床試験の中間結果は、現在承認されている標準治療の過去の臨床試験データと比較して、臨床的意義のある評価項目である全奏効率、無増悪生存率、全生存率において効果があることを示しています。また、頭頸部は QOL（クオリティ・オブ・ライフ）を維持するには重要なエリアですが、これらのデータは、「RM-1929」が頭頸部にある正常な細胞を保全しつつ、腫瘍を治療する潜在力を秘めていることを裏付けるものでもあり、私たちはピボタル試験の開始に向けて取り組んでいきます」

ピボタル試験では、「RM-1929」単体および免疫チェックポイント阻害剤との併用による、局所および転移性頭頸部扁平上皮がんの治療に対する評価を行います。アスピリアンの実施した試験では、「RM-1929」を使用した治療により、迅速な腫瘍の破壊が起こるだけでなく、腫瘍に対する自然免疫および獲得免疫の活性化をもたらすことがすでに示されています。

アスピリアンの President 兼 CEO であるミゲル・ガルシア＝グズマンは次のように述べています。「2018 年初頭に『RM-1929』の再発性頭頸部扁平上皮がんに対するピボタル試験の開始を迎えるアスピリアンのチームを称えたいと思います。FDA が再発性頭頸部扁平上皮がん患者の治療のために『RM-1929』をファストトラック指定したことは、この重症疾患に対する大きなアンメット・メディカル・ニーズを認めたことを示しています。第Ⅱ相臨床試験の中間結果に基づけば、『RM-1929』は単剤として、現在のいかなる治療法でも効果を得られなかった患者に、治療目的での効果的な治療法を提供できる潜在力を秘めています。さらに、私たちの非臨床および臨床データによれば、『RM-1929』のもたらす腫瘍の破壊は、さらなる抗腫瘍効果の増強をもたらす免疫応答の活性化を促進している可能性があります。先見性のある三木谷会長の強力なリーダーシップと、患者にとって最良の治療法を開発するという私たちの信念に従い、『RM-1929』と免疫チェックポイント阻害剤の併用がもたらす効果を評価する試験を 2018 年初頭に開始する予定です。併用試験は、『RM-1929』のもつ抗腫瘍効果と、T 細胞の活性化を通じた抗腫瘍効果の相乗効果を評価することを目的としています」

日本における「RM-1929」の臨床開発の前進を図るため、アスピリアンは独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）へ治験計画届を提出し、再発性頭頸部扁平上皮がんの日本人患者に対する第Ⅰ相臨床試験に着手しました。

また、「RM-1929」に加え、腫瘍微小環境における免疫応答抑制を緩和し、全身の抗腫瘍免疫応答を誘導する新たな手法に関する非臨床試験にも取り組んでいます。この手法が、Anti-PD1 抗体などの他の免疫応答の活性を目的とした薬剤に効果を示さない腫瘍に対する抗腫瘍効果をもたらすことを期待しています。非臨床データによると、本手法を用いて対象の腫瘍に特異的に反応する CD8 陽性 T 細胞を介した強力な抗腫瘍効果が期待できるとともに、対象の腫瘍に対する特異的な免疫記憶を誘導する可能性を持つことを示しています。今後もアスピリアンはこれらの革新的な免疫療法の臨床試験を推進していきます。

## RM-1929 について

セツキシマブと IRDye 700DX®の複合体である「RM-1929」は、頭頸部扁平上皮、食道、肺、結腸、膵臓などのがんにおいて多種の固形腫瘍で発現する上皮成長因子受容体（EGFR）を標的にします。この最先端治療法は抗体コンジュゲートを用いて、正確にがん細胞を攻撃します。抗体が腫瘍に結合した後、結合色素は赤色光に反応し、迅速な抗腫瘍効果を誘発します。腫瘍選択性と局所的活性化による二重の特異性には、周囲の正常な細胞や組織へのダメージを最小限に留め、局所的腫瘍を制御することを、がん患者と医師は期待することができます。

「RM-1929」は被験薬であり、どの国でも使用は認められていません。

治験の詳細については、下記サイト（英語）の研究結果をご参照ください。

ClinicalTrials.gov:

[Study of RM-1929 and Photoimmunotherapy in Patients With Recurrent Head and Neck Cancer](#)

## アスピリアン・セラピューティクス社について

アスピリアン・セラピューティクス社は、臨床開発ステージの非上場バイオベンチャーです。私共は固形腫瘍治療のため、新規機序のより精密な標的薬の開発に取り組んでいます。アスピリアンは、「ガン克服。生きる。」というミッションを掲げています。アスピリアンの企業展望そして戦略は、この長期的なミッションと一致しています。研究、開発、商業活動のそれぞれを統合的に行い、患者、社会、社員、パートナーそして投資家に最大の価値を提供することでミッションの実現に取り組んでまいります。

アスピリアンは、アメリカ国立がん研究所（National Cancer Institute）より、光免疫療法プラットフォームの独占的なライセンスを獲得しており、光免疫療法の開発のために LI-COR（アメリカネブラスカ州リンカーン）より、IRDye 700DX®色素のライセンスを得ています。現在、頭頸部、食道、肺、脳、膵臓、結腸直腸、乳房、グリア芽腫、および卵巣といった種々のがん治療の可能性を持つモノクローナル抗体に関する研究を進めています。

## お問い合わせ

プレスリリースおよび事業やパートナーシップに関するお問い合わせは、以下の E メールアドレスからご連絡ください。

担当 : Abhijit Bhatia

E メール: [info@aspyriantherapeutics.com](mailto:info@aspyriantherapeutics.com)

以 上

## <フォワード・ルッキング・ステートメント（将来予想に関する記述）>

このプレスリリースに含まれる表現は、1995年米国民事証券訴訟改革法（Private Securities Litigation Reform Act of 1995）セーフ・ハーバー条項にある将来の見通しに関する声明に相当します。同声明は、様々なリスクや不確定要素、仮定を含むため、実際の結果や計画、経験は公開された情報と実質的に異なる場合があります。「将来の見通し」に関する声明では、「RM-1929」のようなアスピリアン・セラピューティクス社製品に関連するサービスの商用化、規制、販売承認の取り組みに関する情報を含みます。製品の販売承認や商業的成功は定期的なものではなく、達成されない場合もあります。将来の見通しに関する表明は潜在的な利益、「RM-1929」の安全と効率性、規制書類の現状を示します。このような声明では、「予期する」、「信じる」、「推定する」、「見通す」、「期待する」、「意図する」、「可能性のある」、「場合がある」、「提案する」、「計画する」、「戦略を立てる」、「するであろう」、「する」などの表現が使われ、いずれも現在の私共の信念と期待に基づいて用いられます。さらに、このプレスリリースでは治験データに関する意見を述べる上で、「重要な」、「注目すべき」、「異常な」というような表現が使用されます。継続的である治験研究は、様々なリスクや不確定要素を含み、特に「RM-1929」製造段階での問題、危険状況の発生、治療上の利益が見込めない状況など様々なリスク、不確定要素に左右されることがあります。そのため、実際の結果は公開された情報と実質的に異なる場合や、承認や「RM-1929」に関する商用化について不確定である場合があります。私共は、情報を新しく得た時や将来に発展があった時、あるいはそのような時でなくとも、フォワード・ルッキング・ステートメント（将来予想に関する記述）を公に更新する責務は引き受けません。