

関係各位

2022年3月30日  
大鵬薬品工業株式会社  
Taiho Oncology, Inc.

**進行胆管がんに対する治療薬として  
フチバチニブの新薬承認申請を優先審査指定で米国 FDA が受理**

大鵬薬品工業株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：小林将之、以下「大鵬薬品」）とその米国子会社の Taiho Oncology, Inc.（所在地：米国ニュージャージー州プリンストン、以下「大鵬オンコロジー」）は、前治療歴を有する *FGFR2* 遺伝子再構成（融合遺伝子を含む）を伴う進行胆管がんを対象とした共有結合型 FGFR 阻害剤フチバチニブ（開発コード：TAS-120 以下「本剤」）の新薬承認申請を、米国食品医薬品局（以下「FDA」）が優先審査指定で受理したことをお知らせします。FDA は審査終了目標日（PDUFA action date）を 2022 年 9 月 30 日としています。

米国における本剤の新薬承認申請は第 II 相 FOENIX-CCA2 試験データに基づくものです。同試験結果は米国癌学会 (AACR) 2021 で発表<sup>1</sup> しています。このデータに基づき、2021 年、本剤は前治療歴を有する *FGFR2* 遺伝子再構成（融合遺伝子を含む）を伴う進行胆管がんに対し FDA よりブレークスルーセラピー（画期的治療薬）指定<sup>2</sup> を取得しました。

大鵬薬品 専務取締役 宇津木照洋は「今回の米国 FDA の新薬承認申請受理は、新しい治療選択肢を待っている患者さんにフチバチニブを届けるという私たちの目標に向けての大切な一歩です。この薬剤を必要としている方々へお届けできるよう、大鵬グループ丸となり継続して全力を尽くしてまいります。」と述べています。

大鵬オンコロジー 臨床開発担当バイスプレジデントの Volker Wacheck は「一

次治療後については標準療法が十分に確立していない<sup>3</sup>ことから、フチバチニブは一部の胆管がん患者さんに対する標的治療として大きな可能性を秘めていると信じ、この化合物を開発してきました。引き続き、優先審査下で検討を進めるFDAとの協議を継続してまいります。」と述べています。

大鵬グループは革新的新薬の研究開発を通し、今後も世界中の患者さんと医療関係者への貢献を目指します。

#### 【胆管がんについて】

米国では毎年約8,000人が胆管がん（肝内、肝外含む）と診断され<sup>4</sup>、全世界では10万人あたり約0.3~6人が胆管がん罹患しています<sup>5</sup>。胆管がんは主に65歳以上に多く<sup>6</sup>、治療選択肢は限られています。胆管がんのうち、約10~16%に腫瘍特異的に発現しハイブリッド遺伝子を形成する*FGFR2* 遺伝子再構成（融合遺伝子を含む）が認められ、<sup>7、8、9、10、11</sup> 今回のフチバチニブの米国における新薬承認申請は、この遺伝子異常を持つ胆管がん患者さんを対象としています。

#### 【フチバチニブについて】

フチバチニブ（開発コード：TAS-120）は、FGFR1、2、3、4を不可逆的かつ選択的に阻害する経口のチロシンキナーゼ阻害剤です。化学療法などの前治療歴がある胆管がん患者さんを含む、*FGFR1-4*に遺伝子異常を持つ進行固形がんへの治療薬として開発しています。フチバチニブは選択的かつ不可逆的にFGFR1-4のATP結合部位に結合しFGFRを介するシグナル伝達経路を阻害することで、*FGFR1-4*遺伝子異常を持つ腫瘍細胞の増殖を抑制し細胞死を誘導します。

フチバチニブは、胆管がんの治療薬としてFDAよりオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を2018年5月に、また2021年4月に前治療歴を有する*FGFR2* 遺伝子再構成（融合遺伝子を含む）を伴う進行胆管がんに対してブレイクスルーセラピー（画期的治療薬）指定を受けています。

#### 【FOENIX-CCA2試験について】

FOENIX-CCA2試験は、*FGFR2* 遺伝子融合またはその他の再構成を有する局所進行性または転移性の切除不能な肝内胆管がん患者103名を対象とした第Ⅱb相試験です。全身療法の治療歴のある患者さんを対象に、病勢進行または許容できない毒性が認められるまで1日1回フチバチニブ20mgを投与しました。本試験の主要評価項目は客観的奏効率（ORR）でした。

### 【大鵬薬品について】

大鵬薬品は、大塚ホールディングス株式会社の事業会社で「私たちは人びとの健康を高め 満ち足りた笑顔あふれる 社会づくりに貢献します。」を企業理念とし、「がん」、「免疫・アレルギー」、「泌尿器」の3領域に注力する研究開発型スペシャリティファーマです。特にがん領域においては、国内におけるリーディングカンパニーの一つとして知られており、グローバル化も積極的に推進しています。がん領域以外にも生活の質の向上に貢献できる製品を販売しています。また、コンシューマーヘルスケア事業でも生活者志向を第一に愛情豊かな暮らしを支える製品作りに注力しています。大鵬薬品の詳細については、<https://www.taiho.co.jp> をご参照ください。

### 【大鵬オンコロジーについて】

大鵬オンコロジーのミッションは、がん患者さん、そのご家族そして介護者の生活を改善することです。同社は経口抗がん剤の開発に注力し、開発した薬剤をさまざまながん種を対象に米国において販売しています。現在拡大している大鵬オンコロジーの抗がん剤パイプラインは選択的分子標的薬で構成され、世界クラスの臨床開発組織によって導かれています。大鵬オンコロジーは、大塚ホールディングスの一員である大鵬薬品の子会社です。米国ニュージャージー州プリンストンに本社を置き、その親会社のヨーロッパ（スイス連邦、ツーク州）とカナダ（オンタリオ州オークビル）における事業運営を統括しています。大鵬オンコロジーの詳細については、<https://www.taihooncology.com/us> をご参照ください。

1. [https://aacrjournals.org/cancerres/article/81/13\\_Supplement/CT010/669687/Abstract-CT010-Primary-results-of-phase-2-FOENIX](https://aacrjournals.org/cancerres/article/81/13_Supplement/CT010/669687/Abstract-CT010-Primary-results-of-phase-2-FOENIX)
2. <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy>
3. The Cholangiocarcinoma Foundation. Treatment options. <https://cholangiocarcinoma.org/treatment-options/>. Accessed March 2022.
4. American Cancer Society. Key statistics for bile duct cancer. [https://www.cancer.org/cancer/bile-duct-cancer/about/key-statistics.html#:~:text=Bile%20duct%20cancer%20\(cholangiocarcinoma\)%20is,diagnosed%20with%20it%20each%20year](https://www.cancer.org/cancer/bile-duct-cancer/about/key-statistics.html#:~:text=Bile%20duct%20cancer%20(cholangiocarcinoma)%20is,diagnosed%20with%20it%20each%20year). Accessed March 2022.
5. Banales, J M, Marin, J JG, Lamarca, A, et al. Cholangiocarcinoma 2020: the next horizon in mechanisms and management. *Nature Reviews Gastroenterology & Hepatology*. 17: 557–588 (2020). [https://www.nature.com/articles/s41575-020-0310-z#:~:text=Cholangiocarcinoma%20\(CCA\)%20includes%20a%20cluster,~3%25%20of%20gastrointestinal%20malignancies](https://www.nature.com/articles/s41575-020-0310-z#:~:text=Cholangiocarcinoma%20(CCA)%20includes%20a%20cluster,~3%25%20of%20gastrointestinal%20malignancies). Accessed March 2022.
6. The Cholangiocarcinoma Foundation. Key statistics. <https://cholangiocarcinoma.org/key-statistics/>. Accessed March 2022.
7. Arai Y, Totoki Y, Hosoda F, et al. Fibroblast growth factor receptor 2 tyrosine kinase fusions define a unique molecular subtype of cholangiocarcinoma. *Hepatology*. Apr 2014;59(4):1427-34. 10.1002/hep.26890.
8. Javle M, Bekaii-Saab T, Jain A, et al. Biliary cancer: Utility of next-generation sequencing for clinical management. *Cancer*. Dec 15 2016;122(24):3838-3847. 10.1002/cncr.30254.
9. Sia D, Losic B, Moeini A, et al. Massive parallel sequencing uncovers actionable FGFR2-PPHLN1 fusion and ARAF mutations in intrahepatic cholangiocarcinoma. *Nat Commun*. Jan 22 2015;6:6087. 10.1038/ncomms7087.

10. Silverman IM, Murugesan K, Lihou CF, et al. Comprehensive genomic profiling in FIGHT-202 reveals the landscape of actionable alterations in advanced cholangiocarcinoma. *Journal of Clinical Oncology*. 2019;37(15\_suppl):4080-4080.10.1200/JCO.2019.37.15\_suppl.4080.
11. Javle MM, Murugesan K, Shroff RT, et al. Profiling of 3,634 cholangiocarcinomas (CCA) to identify genomic alterations (GA), tumor mutational burden (TMB), and genomic loss of heterozygosity (gLOH). *Journal of Clinical Oncology*. 2019;37(15\_suppl):4087-4087.10.1200/JCO.2019.37.15\_suppl.4087.