

報道関係者各位

2025年3月27日

日本セルヴィエ株式会社

抗悪性腫瘍剤「ティブソボ®錠 250mg」 *IDH1* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病の治療薬として 国内製造販売承認を取得

日本セルヴィエ株式会社（本社：東京都文京区、代表取締役：アントニー・マレ、以下「日本セルヴィエ」）は、抗悪性腫瘍剤「ティブソボ®錠 250mg」（一般名：イボシデニブ、以下「ティブソボ®」）について、「*IDH1* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病」を効能又は効果として、本日、国内製造販売承認を取得しましたことをお知らせいたします。

ティブソボ®は、変異型イソクエン酸脱水素酵素 1（*IDH1*）を阻害する分子標的薬で、変異型 *IDH1* の酵素活性を阻害することにより、腫瘍細胞におけるがん代謝物の産生を阻害し、腫瘍の形成を抑制します。本剤は、*IDH1* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病（AML）患者を対象として有効性及び安全性を検証した国際共同第Ⅲ相試験（AG120-C-009 試験）の結果に基づき、2024年6月に厚生労働省より *IDH1* 遺伝子変異陽性の AML を対象として希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の指定を受け、同年同月に製造販売承認申請を行い、この度 2025年3月27日付で承認を取得いたしました。2025年3月現在、世界 42 か国で承認されています。

日本セルヴィエ代表取締役のアントニー・マレは、「国内の臨床試験にご参加いただいた患者さまと医療関係者の皆さまに感謝申し上げます。*IDH1* 遺伝子変異陽性の AML は、特に高齢者や強力な寛解導入療法が適応とならない患者さまに対して治療選択肢が限られており、高いアンメット・メディカル・ニーズがあります。*IDH1* 遺伝子変異陽性の AML 患者さまに、新たな治療選択肢を一日も早くお届けできるよう邁進してまいります」と述べています。

日本セルヴィエは、新たな治療選択肢を提供することで、患者さまと医療関係者の皆さまの医療ニーズにお応えし、がん領域における治療の発展に貢献できるよう努めてまいります。

ティブソボ®錠 250mg の概要

販売名	ティブソボ®錠 250mg
一般名	イボシデニブ
効能又は効果	IDH1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病
用法及び用量	アザシチジンとの併用において、通常、成人にはイボシデニブとして1日1回500mgを経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。
製造販売元	日本セルヴィエ株式会社
製造販売承認日	2025年3月27日

急性骨髄性白血病（AML）について

急性骨髄性白血病（AML）は、急速に進行する造血器悪性腫瘍で、適切な治療がなされない場合は感染症や出血により短期間で致死的になる重篤な疾患です¹。令和5年患者調査²によると、日本全国のAMLによる入院及び外来の患者数は13,000人で、日本人AML患者のIDH1遺伝子変異陽性率〔急性前骨髄球性白血病（APL）を除く〕は9.5%と算出されます³。

国際共同第Ⅲ相試験 [AG120-C-009 試験 (AGILE 試験)] について⁴

国際共同第Ⅲ相試験 [AG120-C-009 試験 (AGILE 試験)] は、強力な寛解導入療法の適応とならない未治療のIDH1遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病患者を対象に実施した無作為化二重盲検比較試験です。被験者を1:1の割合で本剤+アザシチジン群又はプラセボ+アザシチジン群に無作為に割り付け、1サイクルを28日間として、本剤500mg又はプラセボは1日1回連日経口投与し、アザシチジンは75mg/m²/日を各サイクルの最初の7日間1日1回静脈内又は皮下投与しました。疾患進行又は許容できない有害事象が発現しない限り、投与は最低6サイクル継続しました。

主要評価項目である無イベント生存期間（EFS：Event-Free Survival）において、プラセボ+アザシチジン群に対する本剤+アザシチジン群のハザード比は0.33（95%信頼区間：0.16～0.69）でした（データカットオフ日：2021年3月18日）。また、副次評価項目である全生存期間（OS：Overall Survival）の中央値は、プラセボ+アザシチジン群の7.9カ月に対し、本剤+アザシチジン群では29.3カ月であり、ハザード比は0.42（95%信頼区間：0.27～0.65）でした（データカットオフ日：2022年6月30日）。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について⁵

希少疾病用医薬品は、対象患者数が国内において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、厚生労働大臣が指定した医薬品です。希少疾病用医薬品として指定され、かつ優先審査に該当するとされた場合、優先審査の対象となり、より早く患者さまと医療現場へお届けできるようになります。

日本セルヴィエについて

<https://nihonservier.co.jp>

日本セルヴィエは、1981年に設立され、国内製薬会社とのライセンス契約を通じて、セルヴィエグループの医療用医薬品を国内の患者さまに提供してまいりました。近年はオンコロジー領域をはじめとするアンメット・メディカル・ニーズがある領域に注力し、日本の医療に貢献することを目指しております。

セルヴィエグループについて

<https://servier.com>

セルヴィエグループは、長期的なビジョンに基づき、患者さまのニーズに応えるため治療の向上に取り組むことを使命とする非営利財団によって運営される国際的な製薬グループです。循環器・代謝性及び静脈疾患の領域の世界的リーダーであるセルヴィエグループは、希少がんに焦点をあて、がん領域において信頼される革新的なプレイヤーになることを目指しています。また、神経疾患領域では、プレシジョンメディシンの考えに基づき、患者さまのプロファイリングに基づく標的治療薬の提供に注力しています。フランスに本社を置くセルヴィエグループは、約140カ国で医薬品を提供しており、2024年は59億ユーロの収益を達成しました。

¹ 日本臨床腫瘍学会（編）．新臨床腫瘍学 改訂第6版．南江堂，2021，p574

² 厚生労働省 令和5年患者調査 全国編 第160表「総患者数，傷病基本分類」
https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat_infid=000040234427

³ Yamaguchi S, Iwanaga E, Tokunaga K, Nanri T, Shimomura T, Suzushima H, et al. *IDH1* and *IDH2* mutations confer an adverse effect in patients with acute myeloid leukemia lacking the *NPM1* mutation. *Eur J Haematol.* 2014;92(6):471-477.

⁴ Montesinos P, Recher C, Vives S, Zarzycka E, Wang J, Bertani G, et al. Ivosidenib and Azacitidine in *IDH1*-Mutated Acute Myeloid Leukemia. *N Eng J Med.* 2022;386(16):1519-31.

⁵ 厚生労働省「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要」
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>