

報道関係者各位

2025 年 6 月 30 日

日本セルヴィエ株式会社

がん化学療法後に増悪した *IDH1* 遺伝子変異陽性の治癒切除不能な 胆道癌を対象とする抗悪性腫瘍剤「イボシデニブ」の 製造販売承認事項一部変更承認申請について

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、2025 年 6 月 30 日、抗悪性腫瘍剤「イボシデニブ」（一般名）について、がん化学療法後に増悪した *IDH1* 遺伝子変異陽性の治癒切除不能な胆道癌を対象として、製造販売承認事項一部変更承認申請を厚生労働省に行いましたので、お知らせします。

イボシデニブは、変異型イソクエン酸脱水素酵素 1 (*IDH1*) を選択的に阻害する分子標的薬であり、変異型 *IDH1* の酵素活性を阻害することで、腫瘍細胞におけるがん代謝物である 2-ヒドロキシグルタル酸 (2-HG) の産生を抑え、*IDH1* 遺伝子変異陽性の腫瘍細胞の分化を誘導することにより、腫瘍の増殖を抑制します。2025 年 3 月 27 日に *IDH1* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病の治療薬（製品名：ティブソボ®錠 250mg）として国内製造販売承認を取得しています。

今般の承認申請は、*IDH1* 遺伝子変異陽性で既治療の切除不能又は転移性の胆管がん (CCA) 患者を対象として有効性及び安全性を検証した海外第Ⅲ相試験 [AG120-C-005 (ClarIDHy) 試験] 及び *IDH1* 遺伝子変異陽性で既治療の切除不能又は転移性の CCA 日本人患者を対象として有効性及び安全性を評価した国内第Ⅱ相試験 (CL2-95031-008 試験) の結果に基づくものです。

日本セルヴィエ代表取締役のアントニー・マレは、次のように述べています。「胆道がんは悪性度の高いがんであり、切除不能な胆道がんにおいては有効な治療選択肢が限られています。現在、二次治療において、生存期間の延長効果が明確に示された標準治療は確立されておらず、いくつかの分子標的薬が承認されているものの、胆道がんを対象として *IDH1* 遺伝子変異を標的とする薬剤は国内で承認されておりません。私たちは、*IDH1* 遺伝子変異陽性の胆道がん患者さまに対し、一日も早く新たな治療選択肢をお届けできるよう、全力で取り組んでまいります。」

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。

胆道がんについて

胆道がんは、胆道にできるがんの総称で、発生部位によって胆管がん、胆のうがん、乳頭部がんに分類されます。胆管がんはさらに、肝内胆管がんと肝外胆管がんに分けられ、肝外胆管がんは発生部位により肝門部領域胆管がんと遠位胆管がんに分類されます。胆道がんの症状には、黄疸、右わき腹の痛み、体重減少などがありますが、肝内胆管がんや胆のうがんでは、早期には症状が現れにくいことがあります¹。令和5年厚生労働省患者調査によると、肝内胆管がんの患者数は5,000人、肝外胆管がんは19,000人、胆のうがんは8,000人、乳頭部がんは7,000人であり、胆道がんの総患者数は約39,000人と推計されます²。

海外第III相試験 [AG120-C-005 (ClarIDHy) 試験] について³

海外第III相試験 [AG120-C-005 (ClarIDHy) 試験] は、*IDH1* 遺伝子変異陽性で既治療の切除不能又は転移性の胆管がん (CCA) 患者を対象に実施した無作為化二重盲検比較試験です。被験者を本剤群又はプラセボ群に2:1の割合で無作為に割り付け、本剤 500mg 又はプラセボを1日1回投与し、RECISTver. 1.1に基づく画像評価により進行が認められた場合、プラセボから本剤へのクロスオーバーが認められました。主要評価項目である無増悪生存期間 (PFS) において、本剤群ではプラセボ群と比較して有意な改善が示されました [ハザード比 (HR) 0.37、95%信頼区間 (CI) : 0.25~0.54、 $p<0.0001$]。また、副次評価項目である全生存期間 (OS) については、プラセボから本剤へのクロスオーバーを調整済みの OS において統計学的に有意な改善が示されました (HR 0.49、95% CI : 0.34~0.70、 $p<0.0001$)。

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、長期的なイノベーションを促進し、患者さまに意義ある社会的影響を創出して、持続可能な世界に貢献することを使命とする非営利財団が運営す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、希少がんの領域でリーディング・カンパニーになることを目指しています。また、神経疾患の領域では、患者さまのプロファイリングに基づき、プレジジョンメディシンによる標的治療薬に注力しています。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 国立がん研究センターがん情報サービス 「胆道がん」

https://ganjoho.jp/public/cancer/biliary_tract/about.html

² 厚生労働省 令和 5 年患者調査 全国編 第 160 表「総患者数、傷病基本分類別」

https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat_infid=000040234427

³ Zhu AX, Macarulla T, Javle MM, et al. Final Overall Survival Efficacy Results of Ivosidenib for Patients With Advanced Cholangiocarcinoma With IDH1 Mutation: The Phase 3 Randomized Clinical ClarIDHy Trial. JAMA Oncol. 2021;7(11):1669-1677. doi:10.1001/jamaoncol.2021.3836