

報道関係者各位

2025 年 9 月 19 日

日本セルヴィエ株式会社

抗悪性腫瘍剤「ボラニゴ®錠 10mg」及び「ボラニゴ®錠 40mg」 *IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫の治療薬として 国内製造販売承認を取得

- *IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫に対し、国内初の分子標的薬として新たな治療選択肢を提供

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「ボラニゴ®錠 10mg」及び「ボラニゴ®錠 40mg」（一般名：ボラシデニブ クエン酸水和物、以下「ボラニゴ®」）について、「*IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫」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。

ボラニゴ®は、変異型イソクエン酸脱水素酵素（*IDH*）1 及び *IDH2* を阻害する分子標的薬であり、変異型 *IDH1* 及び *IDH2* 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* 又は *IDH2* 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。

本剤は、2024 年 12 月に *IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫を対象として希少疾病用医薬品（オーファンドラグ）に指定されました。また、2024 年 12 月、手術歴があり、放射線療法又は化学療法による治療歴のない *IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性のグレード 2 の残存又は再発の星細胞腫及び乏突起膠腫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（INDIGO 試験）の結果に基づき、製造販売承認申請を行い、この度 2025 年 9 月 19 日付で承認を取得いたしました。

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。「国内の臨床試験にご参加いただいた患者さま、ならびに医療関係者の皆さまに心より感謝申し上げます。神経膠腫の領域では、長年にわたり治療法の進展が乏しく、がんの進行を抑えるための手術後の治療選択肢が限られています。ボラニゴは、*IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫を対象として承認された国内初の治療薬です。今回の承認を受け、*IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫の患者さまに対し、新たな治療選択肢を一日も早くお届けできるよう、引き続き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。

ボラニゴ®の概要

販売名	ボラニゴ®錠 10mg、ボラニゴ®錠 40mg
一般名	ボラシデニブ クエン酸水和物
効能又は効果	<i>IDH1</i> 又は <i>IDH2</i> 遺伝子変異陽性の神経膠腫
用法及び用量	通常、成人には、ボラシデニブとして 40mg を 1 日 1 回、空腹時に経口投与する。 通常、12 歳以上の小児には、ボラシデニブとして体重に応じて以下を 1 日 1 回、空腹時に経口投与する。 40kg 未満：20mg 40kg 以上：40mg 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 9 月 19 日

神経膠腫（グリオーマ）について^{1, 2}

神経膠腫（グリオーマ）は、悪性の脳腫瘍の 1 つであり、神経膠腫が大きくなると、腫瘍や脳浮腫によって脳の機能が影響を受けることで、さまざまな症状が起こります。神経膠腫は、星細胞腫、乏突起膠腫、膠芽腫などに分類され、さらに病理組織学的な悪性度と予後の組合せに応じてグレード 2～4 に分けられます。

- 星細胞腫、*IDH* 変異型（グレード 2～4）
- 乏突起膠腫、*IDH* 変異型及び 1p/19q 共欠失（グレード 2～3）
- 膠芽腫、*IDH* 野生型（グレード 4）

国際共同第Ⅲ相試験 [AG881-C-004 試験 (INDIGO 試験)] について³

国際共同第Ⅲ相試験 [AG881-C-004 試験 (INDIGO 試験)] は、手術歴があり、放射線療法又は化学療法による治療歴のない *IDH1* 又は *IDH2* 遺伝子変異陽性のグレード 2 の残存又は再発の星細胞腫及び乏突起膠腫患者を対象に実施した無作為化二重盲検プラセボ対照比較試験です。患者を、本剤を投与する群とプラセボを投与する群に無作為に割り付け、本剤 40mg 又はプラセボを 1 日 1 回経口投与しました。

主要評価項目である無増悪生存期間（PFS：Progression-Free Survival）の中央値は、中間解析時点（2022 年 9 月 6 日データカットオフ）において、本剤群では 27.7 カ月で、プラセボ群の 11.1 カ月と比較して統計学的に有意な延長が認められました（ハザード比：0.39、95%信頼区間：0.27, 0.56、 $p < 0.0001$ ）。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について⁴

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、患者さまにとって意義ある社会的価値を創出し、持続可能な社会の実現に貢献することを使命とする、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。利益の100%をグループの成長とイノベーションに再投資し、長期的な研究開発を推進しています。循環器・代謝性および静脈疾患の分野で世界的なリーダーであるセルヴィエグループは、希少がん領域でのリーディング企業を目指し、研究開発予算の約70%をオンコロジー領域に投資しています。また、神経疾患領域にも注力しており、患者さまのプロファイリングに基づくプレジジョンメディシンによる標的治療の開発を進めています。フランスに本社を置くセルヴィエグループは、約140カ国で事業を展開しており、2023～2024年度には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 「神経膠腫（グリオーマ）」

<https://ganjoho.jp/public/cancer/glioma/index.html>

² Louis DN, Perry A, Wesseling P, Brat DJ, Cree IA, Figarella-Branger D, Hawkins C, Ng HK, Pfister SM, Reifenberger G, Soffietti R, von Deimling A, Ellison DW. The 2021 WHO Classification of Tumors of the Central Nervous System: a summary. *Neuro Oncol.* 2021 Aug 2;23(8):1231-1251. doi: 10.1093/neuonc/noab106. PMID: 34185076; PMCID: PMC8328013.

³ Mellinghoff, I. K., van den Bent, M. J., Blumenthal, D. T., Touat, M., Peters, K. B., Clarke, J., Mendez, J., Yust-Katz, S., Welsh, L., Mason, W. P., Ducray, F., Umemura, Y., Nabors, B., Holdhoff, M., Hottinger, A. F., Arakawa, Y., Sepulveda, J. M., Wick, W., Soffietti, R., ... Cloughesy, T. F. (2023). Vorasidenib in IDH1- or IDH2-Mutant Low-Grade Glioma. *New England Journal of Medicine*, 389(7), 589-601.

⁴ 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>