

報道関係者各位

2026年6月19日

日本セルヴィエ株式会社

「ティブソボ®錠 250mg」、*IDH1* 遺伝子変異陽性の胆道がんに対し 国内初の *IDH1* 阻害薬として適応追加の承認を取得

- 国内初の *IDH1* 遺伝子変異陽性の治癒切除不能な胆道がんに対する分子標的薬
- *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を対象にティブソボの有効性と安全性を評価した海外第Ⅲ相試験（ClarIDHy 試験）および日本人患者を対象とした国内第Ⅱ相試験（CL2-95031-008 試験）の成績に基づく承認
- 1日1回の経口投与による分子標的治療

日本セルヴィエ株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役：アントニー・マレ）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、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がんに対する適応追加の承認を本日、厚生労働省より取得しましたので、お知らせします。*IDH1* 遺伝子変異を標的として本適応の承認を取得した治療薬として本邦初となります。

今回の承認は、*IDH1* 遺伝子変異陽性で化学療法歴のある切除不能又は転移性の胆管がん（CCA）患者を対象とした海外第Ⅲ相試験 [AG120-C-005（ClarIDHy）試験]、および日本人患者を対象とした国内第Ⅱ相試験（CL2-95031-008 試験）の結果に基づいています。

胆道がんは、発生部位により胆管がん（肝内、肝門部領域、遠位）、胆のうがん、十二指腸乳頭部がんに分類されます。中でも、肝内胆管がん（iCCA）は近年国内で増加傾向にあり、その10～20%に *IDH1* 遺伝子変異が認められると報告されています¹。*IDH1* 遺伝子変異陽性の胆管がんは予後不良な希少がんですが、海外第Ⅲ相試験（ClarIDHy 試験）において、ティブソボは主要評価項目である独立画像判定機関（IRC）判定による無増悪生存期間（PFS）の有意な延長を示しました。

代表取締役のアントニー・マレは、「胆道がんの多くは進行期で発見されるため、治癒切除可能例は少数に限られます。一次治療後の標準的な化学療法において病勢が進行した後の治療選択肢は極めて限定的であり、二次治療において、特に生存期間の延長効果に寄与する新たな治療選択肢の確立が急務となっていました。これまで国内において、胆道がんの *IDH1* 遺伝子変異を標的とする承認薬剤は存在しませんでした。今回の承認により、バイオマーカーに基づく個別化医療としての新たな治療選択肢を日本の患者さんに提供できることを大変嬉しく思います」と述べるとともに、「胆道がんは患者数が比較的少ない希少がん領域ではありますが、日本セルヴィエは、こうしたアンメット・メディカル・ニーズの高い領域に注力し、革新的な医薬品を日本市場へ導入し続けることで、医療上の課題解決に貢献するという強いコミットメントを持っています。私たちは今後も、患者さんとそのご家族の大切な日々を支えるために、全力で取り組んでまいります」と語っています。

Press Release

ティブソボは、変異型イソクエン酸脱水素酵素 1 (IDH1) の酵素活性を阻害することで、腫瘍細胞における 2-ヒドロキシグルタル酸 (2-HG) の産生を阻害し、IDH1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病 (AML) 細胞の分化を誘導することにより、腫瘍増殖抑制作用を示すと考えられています。ただし、胆道がんに対する抗腫瘍効果に関する詳細な作用機序は解明されていません。ティブソボは、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として国内製造販売承認を取得しており、今回の承認により胆道がんへの適応が追加されました。

添付文書情報 (追加部分のみ抜粋)

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	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
用法及び用量	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。
承認日	2026 年 6 月 19 日

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。胆管がんは胆管上皮由来の希少がんであり²、進行期で診断されることが多く³、5 年生存率は肝外および肝内胆管がんいずれも 9~10%、遠隔転移例では 2%と予後不良です⁴。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⁵。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⁶。

海外第 III 相試験 [AG120-C-005 (ClarIDHy) 試験] について⁷

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 185 例をティブソボ群又はプラセボ群に 2 : 1 の割合で無作為に割り付け、ティブソボ 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、プラセボからティブソボ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、ティブソボ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 [ティブソボ群 2.7 カ月、プラセボ群 1.4 カ月 (それぞれ中央値)、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、プラセボ群と比較してティブソボ群で統計学的に有意な延長は認められませんでした [ティブソボ群 10.3 カ月、プラセボ群 7.5 カ月 (それぞれ中央値)] が、プラセボからティブソボへのクロスオーバーの影響を調整した感度分析では、プラセボ群の OS 中央値は 5.1 カ月であり、ティブソボ群ではプラセボ群と比較した HR は 0.49 (95% CI : 0.34~0.70、p<0.0001) でした。副作用発現頻度は 62.7% (104/166 例) であり、主な副作用は下痢 21.1% (35 例)、悪心 20.5% (34 例)、疲労 16.9% (28 例)、嘔吐

Press Release

8.4%（14例）、食欲減退 7.2%（12例）、頭痛 6.0%（10例）、心電図 QT 延長 5.4%（9例）などでした。

*プラセボ群の患者は、画像評価により疾患進行が認められた場合にタイプソボ群へのクロスオーバーを可能とし、クロスオーバー前後の OS を分けて評価することを事前規定していました。クロスオーバーした患者は、70.5%（43/61例）でした。

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ん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>

セルヴィエは、財団によって運営される独立系グローバル製薬企業です。独自のガバナンスモデルを持つ当グループは、患者さんに貢献するための治療の進歩に取り組むとともに、医薬品のライフサイクルのあらゆる段階において患者さんの声を反映しています。循環器領域および静脈疾患領域におけるグローバルリーディングカンパニーとして、セルヴィエはオンコロジーおよびニューロロジー分野においてもリーディング・イノベーターとなることを目指しています。特に希少がんや神経疾患での標的治療ソリューションの提供に注力しており、主力医薬品売上高の約 20%を研究開発に投資しています。

フランスに本社を置くセルヴィエは、2万人を超える従業員を擁し、130カ国以上で医薬品を提供する強固なグローバルネットワークを有しています。2024/2025 会計年度は 69 億ユーロの収益を達成しました。

出典

¹ Angela Lamarca, Jorge Barriuso, Mairéad G. McNamara, Juan W. Valle. Molecular targeted therapies: Ready for "prime time" in biliary tract cancer: Journal of Hepatology 2020 vol. 73 170–185

² Saha SK et al.: Nature 2014; 513(7516): 110-4. (PMID : 25043045)

³ Van Dyke AL et al.: Cancer 2019; 125: 1489-98 (PMID : 30645774)

⁴ American Cancer Society. Cancer Facts & Figures 2021

⁵ 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

⁶ 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

⁷ 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