



Better Health, Brighter Future

News Release

2025年3月3日

会社名 武田薬品工業株式会社
代表者 代表取締役社長 CEO クリストフ・ウェバー
(コード番号 4502 東証プライム市場)
報道関係問合せ先 ジャパンコミュニケーションズ
多田 毅 090-4924-9360
E-mail: tsuyoshi.tada@takeda.com

Protagonist Therapeutics 社との真性多血症患者さんを対象とした rusfertide の第3相 VERIFY 試験の良好なトップライン結果について

当社および Protagonist Therapeutics, Inc. は、本日、真性多血症 (PV) 患者さんを対象とした rusfertide の第3相 VERIFY 試験の良好なトップライン結果を公表しました。詳細は、添付をご覧ください。

なお、本試験結果による当社の 2025年3月期 (2024年度) の業績に与える影響は軽微です。

以上



News Release

Protagonist Therapeutics 社との真性多血症患者さんを対象とした rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の良好なトプライン結果について

- － 試験は主要評価項目を達成し、rusfertide の臨床的奏功割合がプラセボと比較して有意に高い値を示す
- － 欧州連合 (EU) の主要評価項目および患者報告アウトカムを含む 4 つの主要な副次評価項目すべてを達成
- － rusfertide は概ね良好な耐容性を示し、新たな安全性の問題は観察されず

Protagonist Therapeutics, Inc. (以下、「Protagonist Therapeutics 社」)と武田薬品工業株式会社(以下、「武田薬品」)は 2025 年 3 月 3 日(米国時間)、瀉血依存の真性多血症 (PV) 患者さんの標準治療に追加する治療として、rusfertide またはプラセボによる治療に無作為に割り付けた第 3 相 VERIFY 試験の良好なトプライン結果についてお知らせします。本試験は主要評価項目および 4 つの主要な副次評価項目すべてを達成しました。rusfertide は、米国食品医薬品局 (FDA) から希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ) 指定およびファストトラック指定を受けた、ファースト・イン・クラスの開発中ヘプシジンのペプチド模倣薬です。

試験の主な結果は以下の通りです:

- 本試験は主要評価項目を達成し、PV 患者さんにおける rusfertide 治療群の臨床的奏功割合¹は 77%で、プラセボ群の 33%と比較して有意に高い値を示しました (20~32 週目; $p < 0.0001$)。この試験の主要評価項目は、反応を示した患者さんの割合であり、瀉血を要しないことによって定義されました。
- EU 規制当局のための事前指定された主要評価項目でもある、最初の主要な副次評価項目も達成され、rusfertide 群の患者さん 1 人あたりの平均瀉血回数は 0.5 で、プラセボ群の 1.8 回と比較して有意に少ない値を示しました (0~32 週目; $p < 0.0001$)。
- 他の 3 つの事前指定された主要な副次評価項目であるヘマトクリット管理² および PROMIS Fatigue SF-8a³ と MFSAF TSS-7⁴ を使用した患者報告アウトカムも統計学的に有意に達成されました。
- rusfertide は第 3 相 VERIFY 試験で概ね良好な耐容性を示し、安全性はこれまでの rusfertide 臨床試験と一致していました。新たな安全性の問題は観察されませんでした。ほとんどの有害事象はグレード 1-2 の注射部位反応であり、報告されたすべての重篤な有害事象は薬剤とは無関係と見なされました。rusfertide 治療群の患者さんとプラセボ群の患者さんの間でのがんのリスク増加の証拠はありませんでした。

Protagonist Therapeutics 社の最高医療責任者である Arturo Molina M.D., M.S.は「第3相 VERIFY 試験の主要およびすべての主要な副次評価項目における良好な結果は、標準治療にもかかわらず適切なヘマトクリット管理を実現できない PV 患者さんのアンメット・メディカル・ニーズに応えるファースト・イン・クラスの赤血球増加症治療薬としての rusfertide の可能性を示す有力な証拠です。2025 年の今後の医学会でこれらの有望な結果の詳細を発表する予定です。当社は、VERIFY 試験を可能にした患者さん、試験スタッフ、および主要研究者に深く感謝しています」と述べています。

PV 患者さんは、生命を脅かす心血管および血栓性イベントのリスクが高くなります。多くの PV 患者さんは、赤血球の過剰によって引き起こされるヘマトクリット値の上昇を管理するために定期的な瀉血および細胞減少療法が必要です。瀉血は負担となり、症状を悪化させる可能性があり、これは重度の疲労、視覚障害、鉄欠乏などの症状を呈し、生活の質(QOL)に影響を与える可能性を含みます。現在の治療ガイドラインでは、ヘマトクリット値を 45%未満に減少させることが、PV 患者さんの主要な治療目標として推奨されています。

武田薬品のリサーチ&開発 プレジデントのアンドリュー・プランプは「私たちは今回の結果に勇気づけられ、PV と共存する患者さんに役立つ rusfertide の可能性に期待を寄せています。PV 患者さんは治療負担が大きく、重篤な症状が QOL に影響を及ぼす可能性があります。PV などの骨髄系の腫瘍を含む造血器腫瘍患者さんに追加の治療選択肢をもたらすことに深くコミットしています」と述べています。

Protagonist Therapeutics 社の社長兼 CEO である Dinesh V. Patel Ph.D.は「これまでの印象的な臨床データの全体は、rusfertide が PV 患者さんの生活に意味のある良好な影響を与える可能性を示しています。パートナーである武田薬品と協力して、規制当局にこれらの結果を提出することを楽しみにしています。本日の試験結果は、当社の 10 年間にわたるヘプシジンプログラムの重要な転換点を示しており、アンメット・メディカル・ニーズを満たすための高度に差別化されたペプチドベースの医薬品を革新する私たちのプラットフォームと専門性をさらに裏付けるものです」と述べています。

Protagonist Therapeutics 社と武田薬品の間でのライセンスおよび提携契約に基づき、Protagonist Therapeutics 社はこれらの良好な結果に伴い 25 百万米ドルのマイルストーン支払いを受けます。このマイルストーンは、VERIFY 臨床試験報告書の完了後に支払われます。

本試験結果による武田薬品の 2025 年 3 月期(2024 年度)の業績に与える影響は軽微です。

Protagonist Therapeutics 社は、以下の詳細でカンファレンスコールおよびウェブキャストを開催します。

Protagonist Investor Conference Call and Webcast Details

The dial-in numbers for Protagonist's investor update on Monday, March 3rd at 8:30 am ET are:

US-based Investors: 1-877-300-8521

International Investors: 1-412-317-6026

Conference Call ID: 1793905

https://viaavid.webcasts.com/starthere.jsp?ei=1708360&tp_key=94f2832555

プレゼンテーションの再放送は、イベント終了後に「Protagonist Investor Relations Events and Presentations」ウェブページでご覧いただけます。

VERIFY 試験について

現在進行中の第3相 VERIFY 試験 (NCT05210790) は、PV 患者さん 293 人を対象に、156 週間にわたって rusfertide を評価する3部構成のグローバル無作為化プラセボ対照試験です。この試験では、ハイドロキシウレア、インターフェロン、および/またはルキソリチニブが含まれる可能性がある標準治療にもかかわらず瀉血依存の制御不能なヘマトクリットを持つ患者さんに対して、週1回の自己注射による rusfertide の有効性と安全性を評価しています。主要評価項目は、20 週から 32 週の間に瀉血を要しない患者さんの割合でした。瀉血適応性を満たすためには、試験参加者は基準値よりも 3%以上高いヘマトクリット値が 45%以上、またはヘマトクリット値が 48%以上である必要がありました。

すべての患者さんは、現在、rusfertide と現在の治療を評価する無作為化プラセボ対照の構成を完了し、オープンラベルの構成に移行しています。

Protagonist Therapeutics 社について

Protagonist Therapeutics 社は、後期開発段階のバイオ医薬品企業です。Protagonist Therapeutics 社の独自の発見プラットフォームから派生した2つの新規ペプチドが現在、第3相臨床試験に進んでおり、2025年にはFDAへの新薬申請が予定されています。Icotrokinra (旧 JNJ-2113) は、Interleukin-23 受容体 ("IL-23R") を選択的に阻害するファースト・イン・クラスの開発中の経口ペプチドであり、JNJ Innovative Medicines (以下、「JNJ」、旧 Janssen Biotech, Inc.) にライセンス供与されています。Icotrokinra は、Protagonist Therapeutics 社と JNJ の科学者による共同発見として、両社の IL-23R に関する提携のもとで生まれ、Protagonist Therapeutics 社が第1相試験までの開発を主に担当し、第2相試験以降は JNJ が担当しています。rusfertide は、天然ホルモンであるヘプシジンのミメティックであり、現在、希少な血液疾患である真性多血症の第3相試験に進んでいます。rusfertide は、2024年に締結された全世界での提携およびライセンス契約に基づき、武田薬品と共同開発され、共同で商業化される予定です。この契約に基づき、Protagonist Therapeutics 社は NDA 提出までの開発を主に担当しています。また、Protagonist Therapeutics 社は IL-17、経口ペプチドアンタゴニスト PN-881、経口ヘプシジ

ンプログラム、経口肥満プログラムなど、臨床的および商業的に検証された標的に対応する複数の経口薬創薬プログラムを前臨床段階で進めています。

Protagonist Therapeutics 社やパイプライン医薬品候補、臨床試験の詳細については、同社のウェブサイト(www.protagonist-inc.com)をご覧ください。

武田薬品について

武田薬品工業株式会社(TSE: 4502/NYSE: TAK)は、世界中の人々の健康と、輝かしい未来に貢献することを目指しています。消化器系・炎症性疾患、希少疾患、血漿分画製剤、オンコロジー(がん)、ニューロサイエンス(神経精神疾患)、ワクチンといった主要な疾患領域および事業分野において、革新的な医薬品の創出に向けて取り組んでいます。パートナーとともに、強固かつ多様なパイプラインを構築することで新たな治療選択肢をお届けし、患者さんの生活の質の向上に貢献できるよう活動しています。武田薬品は、日本に本社を置き、自らの企業理念に基づき患者さんを中心に考えるというバリュー(価値観)を根幹とする、研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニーです。2世紀以上にわたり形作られてきた価値観に基づき、社会における存在意義(パーパス)を果たすため、約80の国と地域で活動しています。詳細については <https://www.takeda.com/jp/>をご覧ください。

Protagonist Therapeutics 社の将来の見通しに関する注意事項

本ニュースリリースには、1995年の私的証券訴訟改革法の「セーフハーバー」規定上の意味における将来の見通しに関する記述が含まれています。これらの将来の見通しに関する記述には、rusfertide の潜在的な利益、rusfertide の臨床試験データのタイミング、および創薬プログラムにおける開発と発表のタイミングに関する記述が含まれます。「予想する(anticipates)」、「信じる(believes)」、「かもしれない(may)」、「するだろう(will)」、「期待する(expects)」などの将来の見通しに関する用語、またはこれらの否定形や複数形、同様の表現が含まれます。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包しており、製品候補を開発および商品化する当社の能力、Janssen社および武田薬品との提携契約に基づくマイルストンの支払いを獲得する能力など、実際の結果や事象が予想と大きく異なる可能性があります。これらの可能性には製品候補のパイプラインを構築するためのプログラムを使用および拡張する能力、製品候補の規制当局の承認を取得および維持する能力、競争の激しい業界で事業を展開し、当社よりも多くのリソースを持つ競合他社との競争に成功する能力、および製品候補の知的財産権を取得して適切に保護する能力などを含みますが、これらに限定されません。事業に影響を及ぼすこれらおよびその他のリスク要因に関する追加情報は、米国証券取引委員会に提出された最新のForm 10-KおよびForm 10-Qの定期報告書に含まれる「リスク要因」の項目等、米国証券取引委員会への定期提出書類に記載されています。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、当社の実際の業績、財務状況と流動性、および当社が事業を展開する業界の発展は、本ニュースリリースに含まれる将来の見通しに関する記述とは大きく異なる可能性があります。本ニュースリリースに記載されている将来の見通しに関する記述は、本ニュースリリースの日付時

点でのものです。Protagonist Therapeutics 社は、本ニュースリリースの日付以降、新しい情報、将来の出来事、またはその他の結果として、将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。

武田薬品の重要な注意事項

本注意事項において、「ニュースリリース」とは、本ニュースリリースに関して武田薬品工業株式会社(以下、「武田薬品」)によって説明又は配布された本書類並びに一切の口頭のプレゼンテーション、質疑応答及び書面又は口頭の資料を意味します。本ニュースリリース(それに関する口頭の説明及び質疑応答を含みます)は、いかなる法域においても、いかなる有価証券の購入、取得、申込み、交換、売却その他の処分の提案、案内若しくは勧誘又はいかなる投票若しくは承認の勧誘のいずれの一部を構成、表明又は形成するものではなく、またこれを行うことを意図しておりません。本ニュースリリースにより株式又は有価証券の募集を公に行うものではありません。米国 1933 年証券法の登録又は登録免除の要件に基づいて行うものを除き、米国において有価証券の募集は行われません。本ニュースリリースは、(投資、取得、処分その他の取引の検討のためではなく)情報提供のみを目的として受領者により使用されるという条件の下で(受領者に対して提供される追加情報と共に)提供されております。当該制限を遵守しなかった場合には、適用のある証券法違反となる可能性があります。武田薬品が直接的に、又は間接的に投資している会社は別々の会社になります。本ニュースリリースにおいて、「武田薬品」という用語は、武田薬品及びその子会社全般を参照するものとして便宜上使われていることがあります。同様に、「当社(we, us 及び our)」という用語は、子会社全般又はそこで勤務する者を参照していることもあり得ます。これらの用語は、特定の会社を明らかにすることが有益な目的を与えない場合に用いられることもあり得ます。

武田薬品の将来に関する見通し情報

本ニュースリリース及び本ニュースリリースに関して配布された資料には、武田薬品の見積もり、予測、目標及び計画を含む武田薬品の将来の事業、将来のポジション及び業績に関する将来見通し情報、理念又は見解が含まれています。将来見通し情報は、「目標にする(targets)」、「計画する(plans)」、「信じる(believes)」、「望む(hopes)」、「継続する(continues)」、「期待する(expects)」、「めざす(aims)」、「意図する(intends)」、「確実にする(ensures)」、「だろう(will)」、「かもしれない(may)」、「すべきであろう(should)」、「であろう(would)」、「かもしれない(could)」、「予想される(anticipates)」、「見込む(estimates)」、「予想する(projects)」、「予測する(forecasts)」、「見通し(outlook)」などの用語若しくは同様の表現又はそれらの否定表現を含むことが多いですが、それに限られるものではありません。これら将来見通し情報は、多くの重要な要因に関する前提に基づいており、実際の結果は、将来見通し情報において明示又は暗示された将来の結果とは大きく異なる可能性があります。その重要な要因には、日本及び米国の一般的な経済条件を含む武田薬品のグローバルな事業を取り巻く経済状況、競合製品の出現と開発、関連法規の変更、臨床的成功及び規制当局による判断とその時期の不確実性を含む新製品開発に内在する困難、新製品及び既存製品の商業的成功の不確実性、製造における困難又は遅延、金利及び為替の変動、市場で販売された製品又は候補製品の安全性又は有効性に関する

クレーム又は懸念、新規コロナウイルス・パンデミックのような健康危機、温室効果ガス排出量の削減又はその他環境目標の達成を可能にする武田薬品の環境・サステナビリティに対する取り組みの成功、人工知能(AI)を含むデジタル技術の統合をはじめとする、業務効率化、生産性向上又はコスト削減に向けた武田薬品の取り組みや、その他の事業再編に向けた取り組みが、期待されるベネフィットに寄与する程度、武田薬品のウェブサイト (<https://www.takeda.com/jp/investors/sec-filings-and-security-reports/>) 又は www.sec.gov において閲覧可能な米国証券取引委員会に提出した Form 20-F による最新の年次報告書並びに武田薬品の他の報告書において特定されたその他の要因が含まれます。武田薬品は、法律や証券取引所の規則により要請される場合を除き、本ニュースリリースに含まれる、又は武田薬品が提示するいかなる将来見通し情報を更新する義務を負うものではありません。過去の実績は将来の経営結果の指針とはならず、また、本ニュースリリースにおける武田薬品の経営結果及び情報は武田薬品の将来の経営結果を示すものではなく、また、その予測、予想、保証又は見積もりではありません。

医療情報

本ニュースリリースには、製品に関する情報が含まれておりますが、それらの製品は、すべての国で発売されているものではなく、また国によって異なる商標、効能、用量等で販売されている場合もあります。ここに記載されている情報は、開発品を含むいかなる医療用医薬品を勧誘、宣伝又は広告するものではありません。

^[1] A responder is a patient who completed weeks 0–32 of the study, was not phlebotomy eligible and did not receive a phlebotomy during weeks 20-32. To meet phlebotomy eligibility, patients in the study were required to have: confirmed hematocrit $\geq 45\%$ that was $\geq 3\%$ higher than their baseline hematocrit value, or hematocrit $\geq 48\%$. See “About VERIFY” section.

^[2] Proportion of patients with hematocrit less than 45%.

^[3] Mean change from baseline to week 32 using PROMIS Fatigue SF-8a, a questionnaire that measures patient-reported fatigue symptoms and their impact on daily life.

^[4] Mean change from baseline to week 32 using MFSAF TSS-7 v. 4.0, a questionnaire that measures patient reporting of seven key symptoms related to myelofibrosis (many of which are common among PV patients as well).