



2021年12月24日

エーザイ株式会社
バイオジェン・インク

アルツハイマー病治療薬候補レカネマブについて米国 FDA よりファストトラック指定を受領

エーザイ株式会社(本社:東京都、代表執行役 CEO:内藤晴夫、以下 エーザイ)とバイオジェン・インク(Nasdaq: BIIB、本社:米国マサチューセッツ州ケンブリッジ、CEO:ミシェル・ヴォナツス、以下 バイオジェン)は、このたび、抗アミロイドβ(Aβ)プロトフィブリル抗体レカネマブ(開発品コード: BAN2401)について、米国食品医薬品局(FDA)よりファストトラック指定(Fast Track designation)を受領しましたのでお知らせします。本指定は、2021年6月にFDAによるレカネマブのブレイクスルーセラピーの指定に続くものです。ファストトラック指定ならびにブレイクスルーセラピー指定は、アルツハイマー病(AD)などのアンメット・メディカル・ニーズの高い重篤な疾患や生命に関わる疾患に対する新たな治療法の開発を促進、加速するための制度であり、FDAとのより多くの協議の場を持つことが可能です。

エーザイは、レカネマブについて、2021年9月に迅速承認制度に基づき、FDAに早期AD治療薬として生物製剤ライセンス申請(Biologics License Application: BLA)の段階的申請(Rolling Submission)を開始し、非臨床、臨床、CMC(化学・製造および品質管理)の3つのパートからなる申請資料のうち、非臨床および臨床パートについて既に提出を完了しています。本BLAは、主として、Aβの脳内蓄積が確認された早期ADを対象とした臨床第Ⅱb相試験(201試験)による臨床症状、バイオマーカーおよび安全性データに基づき、迅速承認制度を活用しています。本試験において、レカネマブは高い脳内Aβ除去作用と複数の臨床エンドポイントでの一貫した臨床症状の悪化抑制を示し、その脳内Aβ除去の程度と臨床エンドポイントへの効果との相関は、Aβが臨床的有用性を予測するサロゲートマーカーになり得ることを示唆しています。

レカネマブについては、早期ADを対象とした臨床第Ⅲ相試験(Clarity AD)が進行中であり、2021年3月に1,795人の被験者登録を完了しました。FDAは、Clarity AD試験の結果について、レカネマブの臨床的有用性の検証試験として評価することに合意しています。また、Clarity AD試験の盲検下における安全性情報については、段階的申請をサポートするデータとして用いられる予定です。また、ADのより早期ステージにあたる脳内Aβ蓄積が境界域レベルおよび陽性レベルのプレクリニカルADを対象とした臨床第Ⅲ相AHEAD 3-45試験を行っています。さらに、レカネマブの皮下注射製剤の臨床第Ⅰ相試験が進行中です。

ADは進行性の深刻な疾患ですが、治療選択肢が限られています。エーザイとバイオジェンは、新たな治療オプションを待ち望んでいる早期AD当事者様とご家族、医療関係者の皆様に、それらを一日でも早く提供できるよう全力を尽くしてまいります。

以上

本件に関する報道関係お問い合わせ先	
<p>エーザイ株式会社 PR 部 TEL:03-3817-5120</p>	<p>バイオジェン・インク パブリック アフェアーズ public.affairs@biogen.com</p>

参考資料

1. レカネマブ(開発品コード: BAN2401)について

レカネマブは、BioArctic AB(本社: スウェーデン、以下 バイオアークティック)とエーザイの共同研究から得られた、可溶性のアミロイド β ($A\beta$) 凝集体(プロトフィブリル)に対するヒトモノクローナル抗体です。レカネマブは、アルツハイマー病(AD)を惹起させる因子の一つと考えられている、神経毒性を有する $A\beta$ プロトフィブリルに選択的に結合して無毒化し、脳内からこれを除去することで AD の病態進行を抑制する疾患修飾作用が示唆されています。早期 AD を対象とした大規模臨床第 II 相試験(201 試験)においては、事前に規定した 18 カ月投与における解析の結果は、脳内 $A\beta$ 蓄積量の減少 ($p < 0.0001$) と ADCOMS*による臨床症状の悪化抑制 ($p < 0.05$) を示しました。なお、12 カ月投与時における主要評価項目**は達成しませんでした。201 試験(コア期間)の後、投与を休止していた 9～59 カ月の無投与期間(ギャップ期間: 平均 24 カ月、参加者 180 人)を経て、レカネマブ 10mg/kg bi-weekly 投与の安全性と有効性を評価する Open-Label Extension (OLE) 試験が進行中です。

エーザイは、本抗体について、2007 年 12 月にバイオアークティックとのライセンス契約により、全世界における AD を対象とした研究・開発・製造・販売に関する権利を取得しています。2014 年 3 月に、エーザイとバイオジェンはレカネマブに関する共同開発・共同販促に関する契約を締結し、2017 年 10 月に内容の一部変更契約を締結しています。現在、臨床第 II 相試験(201 試験)の OLE 試験に加えて、早期 AD を対象とした検証用の一本の臨床第 III 相試験(Clarity AD)を実施中です。2020 年 7 月、臨床症状は正常で、AD のより早期ステージにあたる脳内 $A\beta$ 蓄積が境界域レベルおよび陽性レベルのプレクリニカル AD を対象とした臨床第 III 相試験(AHEAD 3-45 試験)を米国の AD および関連する認知症の学術的臨床試験のための基盤を提供する Alzheimer's Clinical Trials Consortium (ACTC) と共同で開始しました。ACTC は、National Institutes of Health、National Institute on Aging による資金提供を受けています。

* ADCOMS (Alzheimer's Disease Composite Score): アルツハイマー病コンポジットスコアは、早期 AD の変化を感度よく検出することを目的とし、ADAS-cog (Alzheimer's Disease Assessment Scale-cognitive subscale)、MMSE (Mini-Mental State Examination)、CDR (Clinical Dementia Rating) の 3 つの臨床評価尺度を組み合わせたエーザイが開発した評価指標で、ADCOMS スケールの範囲は 0.00 から 1.97 で、スコアが高いほど障害が大きいことを示します。

** 投与 12 カ月時点において ADCOMS による臨床症状の抑制がプラセボ投与群に対し 25% 低下する確率が 80% 以上としていました。

2. 米国食品医薬品局(FDA)におけるファストトラック指定について

ファストトラック(Fast Track)とは、重篤な疾患に対する新たな治療法やアンメット・メディカル・ニーズを満たす可能性のある薬剤について、開発から審査の迅速化を目的としたものです。既存薬がない場合だけでなく、既存薬の有効性・安全性を上回ることが期待される場合も指定対象となります。ファストトラックに指定されると FDA との協議などを持つ機会が増え、また、臨床試験結果によっては、新薬承認申請時に迅速承認(Accelerated Approval)や優先審査(Priority Review)の適用などの指定を受ける可能性もあります。

3. エーザイとバイオジェンによる AD 領域の提携について

エーザイとバイオジェンは、AD 治療剤の共同開発・共同販売にする提携を行っています。レカネマブについては、エーザイ主導のもとで共同開発を進めます。

4. エーザイとバイオアークティックによる AD 領域の提携について

2005 年以來、バイオアークティックは AD 治療薬の開発と商品化に関してエーザイと長期的な協力関係を築いてきました。2007 年 12 月にレカネマブの商品化契約を締結し、2015 年 5 月に AD 用抗体レカネマブバックアップの開発・商品化契約を締結しました。エーザイは、AD 向け製品の臨床開発、市場承認申請、商品化を担当しています。バイオアークティックには、AD におけるレカネマブの開発コストはありません。

5. エーザイ株式会社について

エーザイ株式会社は、本社を日本に置くグローバル製薬企業です。当事者とそのご家族の喜怒哀楽を第一義に考え、そのベネフィット向上に貢献する「ヒューマン・ヘルスケア (hhc)・コンセプト」を企業理念としています。グローバルな研究開発・生産・販売拠点ネットワークを持ち、戦略的重要領域と位置づける「神経領域」「がん領域」を中心とするアンメット・メディカル・ニーズの高い疾患をターゲットに革新的な新薬の創出と提供に取り組んでいます。

エーザイは、アルツハイマー型認知症・レビー小体型認知症治療剤「アリセプト®」の開発・販売から得た経験を活かし、エーザイ認知症プラットフォームの確立を企図し、医療機関、診断薬開発企業、研究機関やバイオベンチャーに加え、民間保険、金融、フィットネスクラブ、自動車メーカー、小売業、介護施設などと連携して、新たな便益をお届けする「認知症エコシステム」の構築をめざしています。エーザイ株式会社の詳細情報は、<https://www.eisai.co.jp>をご覧ください。

6. バイオジェン・インクについて

神経科学領域のパイオニアであるバイオジェンは、最先端の医学と科学を通じて、重篤な神経系疾患、神経変性疾患ならびにその関連疾患領域の革新的な治療法の発見および開発を行い、その成果を世界中の患者に提供しています。1978 年にチャールズ・ワイスマン、ハインツ・シェイラー、ケネス・マレー、ノーベル賞受賞者であるウォルター・ギルバートとフィリップ・シャープにより設立されたバイオジェンは、世界で歴史のあるバイオテクノロジー企業であり、多発性硬化症の領域をリードする製品ポートフォリオを持ち、脊髄性筋萎縮症の最初の治療薬を製品化いたしました。また、生物製剤の高い技術力を活かした高品質のバイオシミラーの製品化や、多発性硬化症および神経免疫疾患、アルツハイマー病および認知症、神経筋疾患、運動障害、眼疾患、神経認知障害、免疫疾患、急性神経疾患、疼痛といった神経領域の研究においても最先端の活動を展開しています。

2020 年、バイオジェンは、気候、健康、公平さが深く相互に関連する課題に対して、20 年間に 2 億 5000 万ドルを投資する大規模な取り組みを開始しました。Healthy Climate, Healthy Lives ™は、ビジネス全体で化石燃料の使用をゼロにし、著名な研究機関とのコラボレーションを構築して科学研究を進展させ、人類の健康を改善し、発展途上のコミュニティをサポートすることを目的としています。バイオジェンに関する情報については、<https://www.biogen.com/> および SNS 媒体 [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Facebook](#), [YouTube](#) をご覧ください。

7. Biogen Safe Harbor

This news release contains forward-looking statements, including statements made pursuant to the safe harbor provisions of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995, about the potential clinical effects of lecanemab; the potential benefits, safety and efficacy of lecanemab; potential regulatory discussions, submissions and approvals and the timing thereof; the expected data readout for the Clarity AD study; the treatment of Alzheimer’s disease; the anticipated benefits and potential of Biogen’s collaboration arrangements with Eisai; the potential of Biogen’s commercial business and pipeline programs, including lecanemab; and risks and uncertainties associated with drug development and commercialization. These statements may be identified by words such as “aim,” “anticipate,” “believe,” “could,” “estimate,” “expect,” “forecast,” “intend,” “may,” “plan,” “possible,” “potential,” “will,” “would” and other words and terms of similar meaning. Drug development and

commercialization involve a high degree of risk, and only a small number of research and development programs result in commercialization of a product. Results in early-stage clinical studies may not be indicative of full results or results from later stage or larger scale clinical studies and do not ensure regulatory approval. You should not place undue reliance on these statements or the scientific data presented.

These statements involve risks and uncertainties that could cause actual results to differ materially from those reflected in such statements, including without limitation unexpected concerns that may arise from additional data, analysis or results obtained during clinical studies, including the Clarity AD clinical trial and AHEAD 3-45 study; the occurrence of adverse safety events; risks of unexpected costs or delays; the risk of other unexpected hurdles; regulatory submissions may take longer or be more difficult to complete than expected; regulatory authorities may require additional information or further studies, or may fail or refuse to approve or may delay approval of Biogen's drug candidates, including lecanemab; actual timing and content of submissions to and decisions made by the regulatory authorities regarding lecanemab; uncertainty of success in the development and potential commercialization of lecanemab; failure to protect and enforce Biogen's data, intellectual property and other proprietary rights and uncertainties relating to intellectual property claims and challenges; product liability claims; third party collaboration risks; and the direct and indirect impacts of the ongoing COVID-19 pandemic on Biogen's business, results of operations and financial condition. The foregoing sets forth many, but not all, of the factors that could cause actual results to differ from Biogen's expectations in any forward-looking statement. Investors should consider this cautionary statement as well as the risk factors identified in Biogen's most recent annual or quarterly report and in other reports Biogen has filed with the U.S. Securities and Exchange Commission. These statements are based on Biogen's current beliefs and expectations and speak only as of the date of this news release. Biogen does not undertake any obligation to publicly update any forward-looking statements, whether as a result of new information, future developments or otherwise.