



2022年8月4日

各 位

会 社 名 ラクオリア創薬株式会社  
代 表 者 名 代表取締役 武内 博文  
(コード番号：4579)  
問 合 せ 先 取締役 須藤 正樹  
(TEL. 052-446-6100)

## 米国シロス社が欧州におけるタミバロテンの骨髄異形成症候群（MDS）に対する オーファンドラッグ指定の進展について発表

このたび、当社連結子会社のテムリック株式会社（以下「テムリック」）の導出先であるSyros Pharmaceuticals Inc.（本社：米国マサチューセッツ州、以下「シロス社」）が、テムリックが同社に導出したレチノイン酸受容体 $\alpha$ 作動薬（タミバロテン/TM-411/SY-1425、以下「タミバロテン」）につきまして、欧州医薬品庁（EMA: European Medical Agency）が骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたオーファンドラッグ指定に関する肯定的意見を出したことを発表しましたのでお知らせします。

なお、本件は、東京証券取引所の規則に定める適時開示には該当いたしません。有用な情報と判断したため、任意開示いたします。

欧州連合におけるオーファンドラッグ指定は、人口10,000人中5人未満の割合で発生し、生命に大きな影響を与える稀な疾病の治療に対する薬剤開発を支援することを目的とした制度です。オーファンドラッグ指定を受けた薬剤は、販売開始後10年間の市場独占性や臨床開発段階におけるEMA相談費用の減額等、経済的および規制上の様々なメリットを得ることができます。オーファンドラッグ指定は、EMAが出した肯定的意見に基づいて欧州委員会が指定することで行われます。

シロス社は、現在、タミバロテンにつきまして、米国においてRARA陽性未治療高リスクMDS患者群に対してアザシチジンとの併用による第Ⅲ相臨床試験（SELECT-MDS-1）を実施中です。シロス社は試験データの公表を2023年の第4四半期ないし2024年の第1四半期に行い、2024年中にNDA申請を行うことを計画しています。なお、米国におきましては、2022年2月、米国食品医薬品局（FDA: Food and Drug Administration）から、MDSを対象としたオーファンドラッグ指定を既に受けております。

今回のEMAからのオーファンドラッグ指定に関する肯定的意見について、シロス社のChief Medical OfficerであるDavid A. Roth氏は以下のように述べております。

「EMAがタミバロテンのオーファンドラッグ指定に対して肯定的意見を出したことをうれしく思います。これは有効かつ忍容性と利便性を兼ね備えた治療法を待ち望んでいるMDS患者のみならず、みなさまにとって重要なマイルストーンです。タミバロテンには、現在の標準治療を変え、高リスクMDSに対する世界初のターゲット治療薬となる可能性があると考えています。試験データの公表に向けて、当社は引き続きSELECT-MDS-1試験を推進してまいります。」

MDSのほかには、シロス社はRARA陽性の未治療unfit（高齢者等標準化学療法に不適）急性骨髄性白血病（AML）を対象としてタミバロテンをベネトクラクス/アザシチジンと併用した三剤併用療法の第Ⅱ相臨床試験（SELECT-AML-1）を実施中であり、本試験の結果の一部が本年中に公表される予定です。なお、AMLにつきましても、タミバロテンは既に米国FDAと欧州EMAからオーファンドラッグの指定を受けております。

テムリックは2015年9月に、北米および欧州におけるタミバロテンのがん治療薬としての開発販売権をシロス社に許諾するライセンス契約を締結しており、開発段階に応じたマイルストーンおよび販売後のロイヤルティを受けとる権利を保有しております。本件に伴いテムリックが受け取る一時金はございませんが、今回の欧州におけるオーファンドラッグ指定の進展はタミバロテンの中長期的な価値向上に資するものとテムリックおよび当社は考えております。

テムリックおよび当社は、シロス社との連携をより強固にすることにより、必要とされる支援を遅滞なく実施するよう務め、今後のマイルストーン収益およびロイヤルティ収益の早期獲得を目指して、効率良い業務マネジメントにおいて尽力して参ります。

以 上

<ご参考>

シロス社の公式発表は、シロス社のホームページをご覧ください。

<https://ir.syros.com/press-releases/detail/253/syros-receives-positive-opinion-on-orphan-drug-designation>