



2026年3月9日

各位

会社名 アステラス製薬株式会社
代表取締役社長 CEO 岡村 直樹
(コード:4503、東証プライム)
(URL <https://www.astellas.com/jp/>)
決算期 3月
問い合わせ先 チーフコミュニケーションズ&IR オフィサー
加藤 信子
(Tel:03-3244-3201)

XOSPATA™(ギルテリチニブ) 強力な化学療法に適応のある 未治療 FLT3 遺伝子変異陽性 AML を対象とした 第 III 相 PASHA 試験のトップライン結果が判明

アステラス製薬株式会社(本社:東京、以下「アステラス製薬」)は、HOVON 財団(本部:オランダ ロッテルダム)主導のもと実施された、XOSPATA™(ギルテリチニブ)の第 III 相 PASHA 試験(HOVON 156 / AMLSG 28-18)の主要解析において、全生存期間(Overall Survival:OS)の統計学的に有意な改善が認められず、主要評価項目を達成しなかったことをお知らせします。本試験は、強力な化学療法に適応のある未治療 FLT3 (FMS-like tyrosine kinase 3) 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病(Acute Myeloid Leukemia:AML)患者を対象に、ギルテリチニブ群と midostaurin 群を比較しています。

一方で、未治療 FLT3 遺伝子変異陽性 AML において、ギルテリチニブは midostaurin と比較して同程度の OS ベネフィットを示しました。治療下で発現した有害事象およびグレード 3 以上の有害事象の発現率は、両治療群間で同程度でした。アステラス製薬と HOVON 財団は、副次評価項目、サブグループ解析、ならびに化学療法との併用におけるギルテリチニブの安全性を含め、PASHA 試験から得られたデータの包括的な評価を完了するとともに、今後の結果の公表について、治験担当医師らと連携していきます。

ギルテリチニブは、病態の進行や予後不良に関連する遺伝子変異として知られる FLT3 の遺伝子内縦列重複変異体[FLT3-ITD (Internal Tandem Duplication)]、およびチロシンキナーゼドメイン変異体[FLT3-TKD (Tyrosine Kinase Domain)]に対する阻害活性を有する FLT3 阻害剤です¹。ギルテリチニブは XOSPATA™として、米国、日本、中国および複数の欧州諸国を含む世界中の多くの国と地域で、FLT3 遺伝子変異陽性の再発/難治性急性骨髄性白血病(AML)を有する成人患者の治療薬として提供されています。

アステラス製薬は、AML 領域における治療成績の向上に向けて、*FLT3* 遺伝子変異を標的とした研究を引き続き推進して参ります。

本件によるアステラス製薬の通期(2026 年 3 月期)連結業績への影響は軽微です。

以上

ギルテリチニブについて

ギルテリチニブは、*FLT3*(FMS-like tyrosine kinase 3)の遺伝子内縦列重複変異体 [FLT3-ITD (Internal Tandem Duplication)]、およびチロシンキナーゼドメイン変異体[FLT3-TKD (Tyrosine Kinase Domain)] に対する阻害活性を有する *FLT3* 阻害剤です¹。FLT3-ITD は、病態の進行や予後不良に関連する遺伝子変異として知られています。ギルテリチニブは、アステラス製薬と寿製薬株式会社の共同研究により見出されました。アステラス製薬はギルテリチニブについて、全世界での開発、製造、ならびに商業化に関する独占的な権利を有します²。ギルテリチニブは、再発/難治性 *FLT3* 変異 AML を有する成人患者を対象に、ギルテリチニブと救援化学療法を比較した、非盲検多施設無作為化第 III 相 ADMIRAL (NCT02421939)試験において評価されました³。

急性骨髄性白血病(AML)について

AML は、骨髄と血液に影響を及ぼすがんであり、加齢とともに患者数が増加します^{4,5}。AML と診断された約 3 分の 1 の患者に *FLT3* 遺伝子変異が認められます。FLT3-ITD 変異は、無病生存期間や全生存期間を短縮させると共に、再発リスクの増加にも関連しています。*FLT3* 遺伝子変異の有無は、AML 治療の過程、および再発後においても変化する可能性があります⁶⁻⁹。

アステラス製薬株式会社について

アステラス製薬は、科学の進歩を患者さんの「価値」に変えることを目指すグローバルライフサイエンス企業です。私たちは、がんや、眼科・泌尿器疾患、免疫、ウイメンズヘルスなどの多様な領域において、革新的な治療法を提供しています。研究開発プログラムを通じて、アンメットメディカルニーズの高い疾患領域において新たなヘルスケアソリューションを開拓しています。

アステラス製薬の詳細については、www.astellas.com をご覧ください。

HOVON 財団について

HOVON AMLSG コンソーシアムは、HOVON 財団の支援のもと、以下の各国・地域の白血病研究グループとの協働により、第 III 相 PASHA 試験(HOVON 156 / AMLSG 28-18)を実施しました:オーストラリア(ALLG)、オーストリアおよびドイツ(AMLSG)、ベルギーおよびオランダ(HOVON)、フィンランド・ノルウェー・スウェーデン(Nordic AML)、フランス(ALFA および FILO)、アイルランド(Cancer Trials Ireland)、リトアニア、スペイン(CETLAM)、スイス(SAKK)。本試験は、国境を越えたアカデミアによる幅広い連携のもとに実施されたものであり、AML 研究のさらなる進展に向けた国際的な協働の意義を示すものです。

注意事項

このプレスリリースに記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んで

います。さまざまな要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、このプレスリリースに含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

参考文献

- 1 Daver N, Schlenk RF, Russel NH, et al. Targeting FLT3 mutations in AML: review of current knowledge and evidence. *Leukemia*. 2019;33,299-312.
- 2 Data on file. Northbrook, Ill. Astellas Pharma US Inc.
- 3 CT.gov. A Study of ASP2215 Versus Salvage Chemotherapy in Patients With Relapsed or Refractory Acute Myeloid Leukemia (AML) With FMS-like Tyrosine Kinase (FLT3) Mutation. Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02421939>. Last accessed: March 2026.
- 4 American Cancer Society. What Is Acute Myeloid Leukemia (AML)? Available at: <https://www.cancer.org/cancer/acute-myeloid-leukemia/about/what-is-aml.html>. Last accessed: March 2026.
- 5 American Cancer Society. Key Statistics for Acute Myeloid Leukemia (AML). Available at: <https://www.cancer.org/cancer/acute-myeloid-leukemia/about/key-statistics.html>. Last accessed: March 2026.
- 6 Whitman SP, Maharry K, Radmacher MD, et al. FLT3 internal tandem duplication associates with adverse outcome and gene- and microRNA-expression signatures in patients 60 years of age or older with primary cytogenetically normal acute myeloid leukemia: a Cancer and Leukemia Group B study. *Blood*. 2010;116(18),3622-3626.
- 7 Whitman SP, Archer KJ, Feng L, et al. Absence of the wild-type allele predicts poor prognosis in adult de novo acute myeloid leukemia with normal cytogenetics and the internal tandem duplication of FLT3: a Cancer and Leukemia Group B study. *Cancer Res*. 2001;61(19),7233-7239.
- 8 Visser O, Trama A, Maynadié M, et al. Incidence, survival and prevalence of myeloid malignancies in Europe. *Eur J Cancer*. 2012;48,3257-3266.
- 9 Warren M, Luthra R, Yin CC, et al. Clinical impact of change of FLT3 mutation status in acute myeloid leukemia patients. *Mod Pathol*. 2012;25(10):1405-12.

お問い合わせ先:

アステラス製薬株式会社

広報

TEL: 03-3244-3201