

2017年7月26日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社  
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀  
(コード番号: 4582)  
問合せ先 IR 担当 (TEL.03 - 5472 - 1125)

## オンコノバ社による小児のRAS関連疾患におけるリゴセルチブの評価 を目的とした共同臨床研究プログラムの設置の発表について

シンバイオ製薬株式会社（本社：東京都）は、2011年7月に導入した抗がん剤 rigosertib（以下「リゴセルチブ」）のライセンサーである Onconova Therapeutics, Inc.（本社：米国ペンシルベニア州、以下「オンコノバ社」）が、2017年7月25日（米国時間）に、主たる対象疾患候補である小児のRAS関連疾患におけるリゴセルチブの評価実施のための多施設共同臨床研究プログラムの開始について発表したことをお知らせいたします。

オンコノバ社は、当初は成人MDS（骨髄異形成症候群）と同様にRAS遺伝子の変異を伴うJMML（若年性骨髄単球性白血病）の臨床研究を優先します。また、米国国立がん研究所（National Cancer Institute）と協力しRAS関連疾患を患う小児患者を対象とした広範囲な臨床試験に取り組む計画です。本件の詳細につきましては、オンコノバ社のホームページをご覧ください。 <http://investor.onconova.com/releases.cfm>

当社は引き続きオンコノバ社と協力し、MDS（骨髄異形成症候群）を対象とした現在進行中のリゴセルチブ注射剤の第Ⅲ相国際共同試験及びリゴセルチブ経口剤の第Ⅰ相臨床試験を進めて参ります。

以上

※用語解説および両社の会社概要につきましては下記をご参照ください。

**【RAS関連疾患（RASopathy）】**

遺伝子中の生殖細胞系列の変異（シグナル伝達を制御するRASサブファミリー及び分裂促進因子活性化タンパク質キナーゼを変化させる変異）によって引き起こされる発生学的症候群。

**【骨髄異形成症候群（MDS: Myelodysplastic syndromes）】**

造血幹細胞の異常によって造血障害を起こし、その結果血球減少を起こす病気で、急性骨髄性白血病（AML: Acute Myeloid Leukemia）への移行が高い確率で見られる予後不良の難治性疾患です。この疾患は高齢者に多く認められるため、高齢化に伴い患者数が増加する傾向にあります。現在、優れた治療方法がなく多くの患者さんが輸血に依存するなど新しい治療方法が切望されています。

**【若年性骨髄単球性白血病（JMML : Juvenile Myelomonocytic Leukemia）】**

乳児期に発症することが多い小児の血液腫瘍の一種で、骨髄異形成症候群(MDS)/骨髄増殖性腫瘍(MPN)に分類されます。JMMLの発症率は100万人あたり1~2例で、日本では年間約20例が発症すると推測されています。

**【オンコノバ社会社概要】**

米国ペンシルベニア州及びニュージャージー州に拠点を置く、バイオ医薬品に特化した製薬企業です。1998年の同社設立時より、がん治療並びに正常細胞の保護に注力し、自社の所有する125以上の新規化学療法薬候補からなる医薬品化学ライブラリーを基に、新規の分子・生物学的治療を目的とした低分子治療薬を発見、最適化してきました。同社は、リゴセルチブの全世界における開発・販売権を保有しております。同社の詳細についてはウェブサイト (<http://www.onconova.com/>) をご覧下さい。

**【当社会社概要】**

シンバイオ製薬株式会社は、米国アムジェン社元副社長で、アムジェン株式会社（現在は武田薬品工業株式会社が全事業を譲受）の実質的な創業者である吉田文紀が2005年3月に設立した医薬品企業です。経営理念は「共創・共生」（共に創り、共に生きる）で表され、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」の経営理念で結び、満たされない医療ニーズに応じてゆくことにより、社会的責任及び経営責任を果たすことを事業目的としています。なお、2016年5月に米国完全子会社 SymBio Pharma USA, Inc.（本社：米国カリフォルニア州 メンローパーク、社長：吉田文紀）を設立しました。