



SOLVE
ON.

プレスリリース

インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社

レチファンリマブ（遺伝子組換え）

切除不能な局所再発又は転移性の肛門管扁平上皮癌に対し

日本での製造販売承認申請のお知らせ

東京 – 2025年5月15日、インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社（本社：東京都千代田区、以下「弊社」）は、レチファンリマブ（遺伝子組換え）（以下、レチファンリマブ）について、切除不能な局所再発又は転移性の肛門管扁平上皮癌を対象とした製造販売承認申請を日本において行ったことを、お知らせいたします。

本申請は、全身化学療法の治療歴のない手術不能な局所再発 又は転移性の肛門管の扁平上皮癌患者を対象にしたカルボプラチン+パクリタキセル及びレチファンリマブ又はプラセボの併用を検討する第3相、国際共同、多施設共同、二重盲検、ランダム化試験（POD1UM-303/InterAACT 2試験）の結果に基づくものです。この試験結果は、2024年9月開催の欧州臨床腫瘍学会（ESMO 2024）で発表されました¹。

なお、レチファンリマブは、2025年2月28日付で厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けています²。

弊社のカンントリーマネジャー、植田 英治（M.D., Ph.D.）は、次のように述べています。「肛門管扁平上皮がんは稀で困難な疾患であり、弊社は新たな治療選択肢の提供に尽力しています。本申請は、日本の患者さんの未充足な医療ニーズに応える重要な一歩です。」

<参考情報>

□肛門管扁平上皮がん（SCAC）について¹

肛門管扁平上皮がん（Squamous Cell Anal Carcinoma: SCAC）は、希少疾病です。主にヒトパピローマウイルス感染との関連が報告されています³。ヒト免疫不全ウイルス（HIV）はSCACの重要な増幅因子であり、欧米の報告では、HIV感染者は非感染者に比べてSCACを発症するリスクが25～35倍高いと報告されています^{4,5}。切除不能な転移性SCAC患者の5年生存率は低く、進行性疾患に対する治療法は現在存在しません⁶。

□POD1UMについて

POD1UM（PD1 Clinical Program in Multiple Malignancies）は、レチファンリマブの臨床試験プログラムであり、POD1UM-303をはじめとする複数の第1相、第2相および第3相試験を含みます。これらは、高頻度マイクロサテライト不安定性（MSI-high）の子宮内膜がんに対するレチファンリマブ単剤療法や、非小細胞肺癌患者に対するプラチナ製剤併用療法として承認取得を目指す試験など、固形がん患者を対象に行われています。

□POD1UM-303/InterAACT 2について

POD1UM -303/InterAACT2（NCT04472429）試験は、全身化学療法歴のない手術不能な局所再発または転移性SCAC患者を対象とした、プラチナ製剤化学療法（カルボプラチン+パクリタキセル*）と併用したときのレチファンリマブまたはプラセボを評価する多施設共同無作為化二重盲検プラセボ対照第3相試験です。

本試験の盲検期では、コントロール良好なHIV感染症患者を含むすべての患者を、標準治療としてのカルボプラチン+パクリタキセルと併用してレチファンリマブ500 mgを28日間サイクルで静脈内投与する群又はプラセボを最長6か月間静脈内投与する群に1:1の割合で無作為に割り付け、その後、単剤療法を含めて最長1年間実施しました。プラセボ群に割り付けられた患者については、盲検



下独立中央判定（BICR）により進行が確認された時点で、実薬療法レチファンリマブへのクロスオーバーが許容されました。

主要評価項目は、RECIST第1.1版を用いたBICRの判定による無増悪生存期間（PFS）です。主な副次評価項目には全生存期間（OS）が含まれます。その他の副次評価項目は、客観的奏効率（ORR）、奏効期間（DOR）、BICRによる病勢コントロール率（DCR）、安全性及び薬物動態です。

本治験の詳細については、<https://clinicaltrials.gov/study/NCT04472429>をご覧ください。

注 日本において、カルボプラチンおよびパクリタキセルは肛門管扁平上皮癌に対する治療薬として承認されておりません。

□レチファンリマブ(Zynyz®)について

Retifanlimab（Zynyz®）は、米国では、成人の転移性または局所再発性の進行メルケル細胞癌（MCC）の治療を適応とするPD-1を阻害する静注製剤です。本適応は、腫瘍奏効率及び奏効期間に基づき、迅速承認されました。本適応に対する承認の継続には、検証的試験における臨床的ベネフィットの検証及び説明が条件とされています。

Zynyzは米国ではIncyteが販売しています。Incyteは2017年に、レチファンリマブの全世界での使用権に関する独占的提携・ライセンス契約をMacroGenics, Inc.と締結しました。

ZynyzはIncyteの登録商標です。

□Incyteについて

Incyteは、未充足の医療ニーズを持つ患者に対する解決策の提供を使命とするグローバル・バイオ医薬品企業です。独自の治療薬の研究・開発・商業化を通じて、オンコロジーおよび炎症・自己免疫領域において、画期的な医薬品と強力なパイプラインを有しています。本社は米国デラウェア州ウィルミントンにあり、北米・欧州・アジアに展開しています。

Incyteに関する詳細な情報は、ウェブサイト（[Incyte.com](https://www.incyte.com)）または弊社ソーシャルメディア

（[LinkedIn](#), [X](#), [Instagram](#), [Facebook](#), [YouTube](#)）をご覧ください。

インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社に関する詳細は、[Incyte.jp](https://www.incyte.jp)をご覧ください。

将来の見通しに関する記述

本プレスリリースに含まれる将来の見通しに関する記述は、当社の現時点での予測に基づくもので、リスクや不確実性から、実際の結果が大きく異なる場合があります。またそうしたリスクや不確実性には、予想外の展開およびリスクとして、予期しない遅滞、今後の研究開発や臨床試験結果が薬事承認基準を満たすことまたは開発継続を保証することに失敗するか不十分なものとなる可能性、臨床試験のための十分な症例数を予定どおりに組み入れる能力、米国食品医薬品局（FDA）、欧州医薬品庁（EMA）、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）、厚生労働省による決定、提携パートナーとの関係への当社の依存度、当社の製品や提携パートナーの製品の有効性および安全性、当社の製品や提携パートナーの製品の市場における受容度、市場における競合状況、販売・マーケティング・製造・流通の要件、予想を上回る経費、訴訟や戦略的活動に関連する経費、米国証券取引委員会に提出した報告書（2025年3月31日締めForm 10-Qに記載した四半期報告書を含む）で随時詳述したその他のリスクがあります。弊社にはこうした将来の見通しに関する記述を更新する意図はなく、その義務も負いません。

免責事項

本プレスリリースに記載された医薬品の情報は、Incyteの企業情報の開示を目的としたものであり、開発中の医薬品を含むいかなる製品の広告や販売促進を意図するものではありません。



SOLVE
ON.

. 本件に関するお問い合わせ先
メディア関係のみなさま
media@incyte.com

投資家のみなさま
ir@incyte.com

メディア関係のみなさま（日本）
Tel : 0120-094-139
jpmedinfo@incyte.com



SOLVE
ON.

出典

1. <https://investor.incyte.com/news-releases/news-release-details/incytes-retifanlimab-zynyzr-extends-progression-free-survival>
2. 「希少疾病用医薬品の指定について」(医薬薬審発 0228 第3号 令和7年2月28日)
<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T250228I0040.pdf>
3. Morris V, Eng C. J Gastrointest Oncol. 2016;7:721-726.
4. Wang C-CJ, et al. Surg Oncol Clin N Am. 2017;26:17-31.
5. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology: Cancer in People with HIV. Version 1.2021. 2021.
6. Eng C, et al. Oncotarget 2014;5:11133-11142.
7. Zynyz® (retifanlimab) [US Package Insert; 2023年3月