



Better Health, Brighter Future

News Release

2025 年 6 月 2 日

会社名 武田薬品工業株式会社
代表者 代表取締役社長 CEO クリストフ・ウェバー
(コード番号 4502 東証プライム市場)
報道関係問合せ先 ジャパンコミュニケーションズ
多田 毅 090-4924-9360
E-mail: tsuyoshi.tada@takeda.com

**Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症における瀉血の必要性を減少させ、
ヘマトクリット値のコントロール改善を示した rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の
全 32 週間の結果をハイライトした米国臨床腫瘍学会での
プレナリープレゼンテーションにおける発表について**

当社および Protagonist Therapeutics, Inc.は、2025 年6月 1 日(米国中部標準時)、主要評価項目およびすべての主要な副次評価項目を達成した、真性多血症(PV)患者さんを対象として rusfertide を評価する無作為化プラセボ対照第 3 相 VERIFY 試験の詳細な結果を、米国臨床腫瘍学会において発表しました。詳細は、添付をご覧ください。

なお、本件のトップライン結果は 2025 年3月3日に「Protagonist Therapeutics 社との真性多血症患者さんを対象とした rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の良好なトップライン結果について」において公表しております。

また、本試験結果による当社の 2026 年3月期(2025 年度)の業績に与える影響は軽微です。

以上



News Release

2025 年 6 月 1 日

Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症における瀉血の必要性を減少させ、 ヘマトクリット値のコントロール改善を示した rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の 全 32 週間の結果をハイライトした米国臨床腫瘍学会での プレナリープレゼンテーションにおける発表について

- rusfertide と現在の標準治療を併用した場合、high リスクおよび low リスクの PV 群において臨床的奏功割合が 2 倍以上に増加し、プラセボと現在の標準治療を併用した場合と比較して、主要評価項目である瀉血の必要性が有意に減少
- すべての主要な副次評価項目も統計学的に有意な結果を示し、プラセボ群と比較し rusfertide 群では瀉血を必要とする患者さんの割合が約 3 分の 1 に減少し、ヘマトクリット値のコントロールが 4 倍改善され、患者報告アウトカムも改善
- rusfertide に関連する重篤な有害事象は報告されず
- rusfertide は米国 FDA から希少疾病用医薬品 (オーファンドラグ) 指定およびファストトラック指定を受ける

Protagonist Therapeutics, Inc. (以下、「Protagonist Therapeutics 社」と武田薬品工業株式会社(以下、「武田薬品」))は、2025 年 6 月 1 日 (米国時間)、主要評価項目およびすべての主要な副次評価項目を達成した、真性多血症 (PV) 患者さんを対象として rusfertide を評価する無作為化プラセボ対照第 3 相 VERIFY 試験の詳細な結果を発表しましたので、お知らせします。このデータは、6 月 1 日午後 2 時 09 分 (米国中部標準時) 第 61 回米国臨床腫瘍学会 (ASCO) 年次総会のプレナリーセッション (LBA3) のレイトブレーキングオーラルプレゼンテーションにて発表されます。

PV は赤血球の過剰産生 (赤血球増多症) を特徴とし、血液の粘度が増加 (過粘稠) し、脳卒中、深部静脈血栓症、肺塞栓症などの生命を脅かす血栓症を引き起こす可能性があります。PV 患者さんは、重度の疲労、集中困難、夜間発汗、皮膚掻痒症などの負担のある症状を経験し、生活の上での機能や生活の質 (QOL) に悪影響を及ぼす可能性があります。ヘマトクリット値は、体内の総血液量に対する赤血球の割合です。PV の治療目標は、血栓症を予防し、症状を緩和するため、ヘマトクリット値を 45% 未満に減少させ維持することですが、多くの患者さんは現在の標準治療を受けても、ヘマトクリット値のコントロールができない状態を経験することがあります。

rusfertide は、開発中のファースト・イン・クラスのヘプシジンのペプチド模倣薬であり、PV 患者さんのヘマトクリット値コントロールのために鉄の恒常性と赤血球産生を調節する可能性について、第 3 相 VERIFY 試験で評価されています。この試験では、頻繁な瀉血に依存する患者さんが、細胞減少療法

の有無にかかわらず、現在の標準治療に追加して週 1 回の rusfertide またはプラセボを受けるように無作為に割り付けられました。

Moffitt Cancer Center の血液専門医であり、VERIFY 試験の主任研究者である Dr. Andrew T. Kuykendall M.D.は「PV は、衰弱にともなう症状や深刻な血栓性イベントのリスクなど、患者さんにとって重大な問題を引き起こすため、ヘマトクリット値のコントロールは患者さんのアウトカム改善に重要です。VERIFY 試験は、細胞減少療法を受けている患者さんを含む、瀉血依存の患者さんに対し、rusfertide での治療がヘマトクリット値をコントロールすることを示しました。これらの結果は、rusfertide が PV 患者さんの標準治療の一部となる可能性を示唆しています」と述べています。

本試験は、主要評価項目である臨床的奏功割合を達成しました。臨床的奏効とは、20 週から 32 週間に瀉血の対象でないことを指しています。試験結果において、rusfertide と現在の標準治療を併用した患者さんの 76.9%が臨床的奏効を達成し、プラセボと現在の標準治療を併用したグループでは 32.9%でした ($p<0.0001$)¹。rusfertide 群で観察された反応は、リスクの有無や併用されている細胞減少療法の種類にかかわらず、すべてのサブグループで一貫していました¹。さらに、VERIFY 試験において、rusfertide 群はプラセボ群に比べて以下の主要な副次評価項目すべてで統計学的に有意な結果を示しました。

- rusfertide と現在の標準治療を併用した患者さん 1 人あたりの平均瀉血回数は 0.5 回であり、プラセボと現在の標準治療を併用した患者さん 1 人あたりの平均瀉血回数は 1.8 回でした (0~32 週目; $p<0.0001$)¹。
 - rusfertide と現在の標準治療を併用した患者さんの 27%が 0 週から 32 週間に瀉血を必要とした一方、プラセボと現在の標準治療を併用した患者さんでは 78%でした。
 - rusfertide 群における 0 週から 32 週の平均瀉血回数は、リスクの有無や併用されている細胞減少療法の使用を含むすべてのサブグループにおいて、プラセボ群と比較して減少していました。
- rusfertide と現在の標準治療を併用した患者さんの 62.6%がヘマトクリット値を 45%未満に維持した一方、プラセボと現在の標準治療の併用では 14.4%の患者さんが維持しました ($p<0.0001$)¹。
- rusfertide は、PROMIS Fatigue² ($p<0.03$) および MFSAF Total Symptom Score³ ($p<0.03$) において、ベースラインから 32 週までの平均変化において統計学的に有意な改善を示しました。rusfertide は、PV 患者さんの疲労および症状負担の患者報告アウトカム (PRO) において統計的に有意な改善を前向きに示した最初の開発中治療薬です¹。

rusfertide は概ね良好な忍容性を示しました。ほとんどの有害事象は低グレードであり重篤ではなく、rusfertide と関係すると見なされる重篤な有害事象は報告されませんでした。主要分析時点で、rusfertide と現在の標準治療を併用した患者さんにおいてプラセボと現在の標準治療を併用した場合と比較してがんのリスク増加の証拠はありませんでした。がんイベントは rusfertide 群の患者さん 1 人 (0.7%) およびプラセボ群の患者さん 7 人 (4.8%) で報告されました。治療に伴う最も一般的な有害事象は、局所注射部位反応 (55.9%)、貧血 (15.9%)、疲労 (15.2%) でした¹。

Protagonist Therapeutics 社の社長兼 CEO である Dinesh V. Patel Ph.D.は「これらの発見は、PV に対するファースト・イン・クラスの赤血球増加症特異的治療薬としての rusfertide の可能性を示し、当社のペプチド技術プラットフォームによる 10 年以上の科学的革新を裏付けています。VERIFY 試験に参加していただいたすべての患者さん、試験スタッフ、および研究者に感謝します。世界中の PV 患者さんの標準治療を革新する可能性を持つ rusfertide 治療を前進させるうえで、武田薬品とパートナーシップを組めることを嬉しく思います」と述べています。

武田薬品の Oncology Therapeutic Area Unit Head の Phuong Khanh (P.K.) Morrow, M.D. は「これらの有望で重要なデータは、現在の標準治療を受けているものの十分なヘマトクリット値のコントロールが達成できていない可能性のある、幅広い PV 患者さんに対する rusfertide の潜在的な恩恵を力強く裏付けています。今年後半に VERIFY 試験から追加データを受け取り、rusfertide を承認申請に向けて進め、Protagonist Therapeutics 社との協力を続けることで、この革新的な治療薬を患者さんにお届けすることを楽しみにしています」と述べています。

rusfertide は米国食品医薬品局 (FDA) から希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ) 指定およびファストトラック指定を受けています。

武田薬品の投資家向けカンファレンスコールおよびウェブキャスト詳細

武田薬品は、本件に関する投資家向けのカンファレンスコールを以下の日時に開催いたします。

開催日時:

米国中部時間 (CDT) 6 月 1 日 (日) 午後 6 時～6 時 45 分

米国東部時間 (EDT) 6 月 1 日 (日) 午後 7 時～7 時 45 分

日本時間 (JST) 6 月 2 日 (月) 午前 8 時～8 時 45 分

本コールは Zoom プラットフォームおよび Zoom の同時通訳機能を使用して実施されます。

以下のリンクより事前登録をお願いいたします:

https://zoom.us/webinar/register/WN_rNp8tpIiRsemQRawBCDRMA#/registration

イベント終了後、オンデマンドの再放送が武田薬品のウェブサイトにて視聴可能となります。

Protagonist Therapeutics 社 投資家向けカンファレンスコールおよびウェブキャスト詳細

以下の日程で Protagonist Therapeutics 社の投資家向け最新情報に関するカンファレンスコールが開催されます。

開催日時:

米国太平洋時間 (PDT) 6 月 2 日 (月) 午前 5 時～6 時

米国東部時間 (EDT) 6 月 2 日 (月) 午前 8 時～9 時

米国内投資家:1-877-300-8521
海外投資家 :1-412-317-6026
カンファレンスコール ID:10199589

イベントのウェブキャストはこちらからご視聴いただけます:

https://viaavid.webcasts.com/starthere.jsp?ei=1718556&tp_key=360d3b714d

プレゼンテーションの再放送は、イベント終了後に「Protagonist Investor Relations Events and Presentations」ウェブページでご覧いただけます。

VERIFY 試験について

現在進行中の第 3 相 VERIFY 試験(NCT05210790)は、PV 患者さん 293 人を対象に、156 週間にわたって rusfertide を評価する 3 部構成のグローバル無作為化プラセボ対照試験です。この試験では、ハイドロキシウレア、インターフェロン、および/またはルキシソリチニブが含まれる可能性がある現在の標準治療にもかかわらず瀉血依存の制御不能なヘマトクリットを持つ患者さんに対して、週 1 回の自己注射による rusfertide の有効性と安全性を評価しています。主要評価項目は、20 週から 32 週の間に瀉血を要しない患者さんの割合でした。瀉血適応性を満たすためには、試験参加者は基準値よりも 3%以上高いヘマトクリット値が 45%以上、またはヘマトクリット値が 48%以上である必要がありました。

すべての患者さんは、現在、プラセボと現在の標準治療の併用と、rusfertide と現在の標準治療の併用を評価する無作為化プラセボ対照の構成を完了し、オープンラベルの構成に移行しています。

Protagonist Therapeutics 社について

Protagonist Therapeutics 社は、後期開発段階のバイオ医薬品企業です。Protagonist Therapeutics 社の独自の発見プラットフォームから派生した 2 つの新規ペプチドが現在、第 3 相臨床試験に進んでおり、2025 年には FDA への新薬申請が予定されています。Icotrokinra (旧 JNJ-2113) は、Interleukin-23 受容体(“IL-23R”)を選択的に阻害するファースト・イン・クラスの開発中の経口ペプチドであり、JNJ Innovative Medicines (以下、「JNJ」、旧 Janssen Biotech, Inc.)にライセンス供与されています。Icotrokinra は、Protagonist Therapeutics 社と JNJ の科学者による共同発見として、両社の IL-23R に関する提携のもとで生まれ、Protagonist Therapeutics 社が第 1 相試験までの開発を主に担当し、第 2 相試験以降は JNJ が担当しています。rusfertide は、天然ホルモンであるヘプシジンのミメティックであり、現在、希少な血液疾患である真性多血症の第 3 相試験に進んでいます。rusfertide は、2024 年に締結された全世界での提携およびライセンス契約に基づき、武田薬品と共同開発され、共同で商業化される予定です。この契約に基づき、Protagonist Therapeutics 社は NDA 提出までの開発を主に担当しています。また、Protagonist Therapeutics 社は IL-17、経口ペプチドアンタゴニスト PN-881、経口ヘプシジンプログラム、経口肥満プログラムなど、臨床的および商業的に検証された標的に対応する複数の経口薬創薬プログラムを前臨床段階で進めています。

Protagonist Therapeutics 社やパイプライン医薬品候補、臨床試験の詳細については、同社のウェブサイト(www.protagonist-inc.com)をご覧ください。

武田薬品について

武田薬品工業株式会社 ([TSE:4502/NYSE:TAK](https://www.takeda.com/jp/)) は、世界中の人々の健康と、輝かしい未来に貢献することを目指しています。消化器系・炎症性疾患、希少疾患、血漿分画製剤、オンコロジー(がん)、ニューロサイエンス(神経精神疾患)、ワクチンといった主要な疾患領域および事業分野において、革新的な医薬品の創出に向けて取り組んでいます。パートナーとともに、強固かつ多様なパイプラインを構築することで新たな治療選択肢をお届けし、患者さんの生活の質の向上に貢献できるよう活動しています。武田薬品は、日本に本社を置き、自らの企業理念に基づき患者さんを中心に考えるというバリュー(価値観)を根幹とする、研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニーです。2世紀以上にわたり形作られてきた価値観に基づき、社会における存在意義(パーパス)を果たすため、約80の国と地域で活動しています。詳細については、<https://www.takeda.com/jp/> をご覧ください。

Protagonist Therapeutics 社の将来の見通しに関する注意事項

本ニュースリリースには、1995年の私的証券訴訟改革法の「セーフハーバー」規定上の意味における将来の見通しに関する記述が含まれています。これらの将来の見通しに関する記述には、rusfertideの潜在的な利益および創薬プログラムにおける開発と発表のタイミングに関する記述が含まれます。「予想する(anticipates)」、「信じる(believes)」、「かもしれない(may)」、「するだろう(will)」、「期待する(expects)」などの将来の見通しに関する用語、またはこれらの否定形や複数形、同様の表現が含まれます。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包しており、製品候補を開発および商品化する当社の能力、Janssen社および武田薬品との提携契約に基づくマイルストンの支払いを獲得する能力など、実際の結果や事象が予想と大きく異なる可能性があります。これらの可能性には製品候補のパイプラインを構築するためのプログラムを使用および拡張する能力、製品候補の規制当局の承認を取得および維持する能力、競争の激しい業界で事業を展開し、当社よりも多くのリソースを持つ競合他社との競争に成功する能力、および製品候補の知的財産権を取得して適切に保護する能力などを含みますが、これらに限定されません。事業に影響を及ぼすこれらおよびその他のリスク要因に関する追加情報は、米国証券取引委員会に提出された最新のForm 10-KおよびForm 10-Qの定期報告書に含まれる「リスク要因」の項目等、米国証券取引委員会への定期提出書類に記載されています。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、当社の実際の業績、財務状況と流動性、および当社が事業を展開する業界の発展は、本ニュースリリースに含まれる将来の見通しに関する記述とは大きく異なる可能性があります。本ニュースリリースに記載されている将来の見通しに関する記述は、本ニュースリリースの日付時点でのものです。Protagonist Therapeutics社は、本ニュースリリースの日付以降、新しい情報、将来の出来事、またはその他の結果として、将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。

武田薬品の重要な注意事項

本注意事項において、「ニュースリリース」とは、本ニュースリリースに関して武田薬品工業株式会社(以下、「武田薬品」)によって説明又は配布された本書類並びに一切の口頭のプレゼンテーション、質疑応答及び書面又は口頭の資料を意味します。本ニュースリリース(それに関する口頭の説明及び質疑応答を含みます)は、いかなる法域においても、いかなる有価証券の購入、取得、申込み、交換、売却その他の処分の提案、案内若しくは勧誘又はいかなる投票若しくは承認の勧誘のいずれの一部を構成、表明又は形成するものではなく、またこれを行うことを意図しておりません。本ニュースリリースにより株式

又は有価証券の募集を公に行うものではありません。米国 1933 年証券法の登録又は登録免除の要件に基づいて行うものを除き、米国において有価証券の募集は行われません。本ニュースリリースは、(投資、取得、処分その他の取引の検討のためではなく) 情報提供のみを目的として受領者により使用されるという条件の下で(受領者に対して提供される追加情報と共に) 提供されております。当該制限を遵守しなかった場合には、適用のある証券法違反となる可能性があります。

武田薬品が直接的に、又は間接的に投資している会社は別々の会社になります。本ニュースリリースにおいて、「武田薬品」という用語は、武田薬品及びその子会社全般を参照するものとして便宜上使われていることがあります。同様に、「当社(we, us 及び our)」という用語は、子会社全般又はそこで勤務する者を参照していることもあり得ます。これらの用語は、特定の会社を明らかにすることが有益な目的を与えない場合に用いられることもあり得ます。

武田薬品の将来に関する見通し情報

本ニュースリリースに関して配布された資料には、武田薬品の見積もり、予測、目標及び計画を含む武田薬品の将来の事業、将来のポジション及び業績に関する将来見通し情報、理念又は見解が含まれています。将来見通し情報は、「目標にする(targets)」、「計画する(plans)」、「信じる(believes)」、「望む(hopes)」、「継続する(continues)」、「期待する(expects)」、「めざす(aims)」、「意図する(intends)」、「確実にする(ensures)」、「だろう(will)」、「かもしれない(may)」、「すべきであろう(should)」、「であろう(would)」、「かもしれない(could)」、「予想される(anticipates)」、「見込む(estimates)」、「予想する(projects)」、「予測する(forecasts)」、「見通し(outlook)」などの用語若しくは同様の表現又はそれらの否定表現を含むことが多いですが、それに限られるものではありません。これら将来見通し情報は、多くの重要な要因に関する前提に基づいており、実際の結果は、将来見通し情報において明示又は暗示された将来の結果とは大きく異なる可能性があります。その重要な要因には、日本及び米国の一般的な経済条件並びに国際貿易関係に関する状況を含む武田薬品のグローバルな事業を取り巻く経済状況、競合製品の出現と開発、税金、関税その他の貿易関連規則を含む関連法規の変更、臨床的成功及び規制当局による判断とその時期の不確実性を含む新製品開発に内在する困難、新製品及び既存製品の商業的成功の不確実性、製造における困難又は遅延、金利及び為替の変動、市場で販売された製品又は候補製品の安全性又は有効性に関するクレーム又は懸念、新規コロナウイルス・パンデミックのような健康危機、温室効果ガス排出量の削減又はその他環境目標の達成を可能にする武田薬品の環境・サステナビリティに対する取り組みの成功、人工知能(AI)を含むデジタル技術の統合をはじめとする、業務効率化、生産性向上又はコスト削減に向けた武田薬品の取り組み、その他の事業再編に向けた取り組みが、期待されるベネフィットに寄与する程度、武田薬品のウェブサイト(<https://www.takeda.com/jp/investors/sec-filings-and-security-reports/>) 又は www.sec.gov において閲覧可能な米国証券取引委員会に提出した Form 20-F による最新の年次報告書並びに武田薬品の他の報告書において特定されたその他の要因が含まれます。武田薬品は、法律や証券取引所の規則により要請される場合を除き、本ニュースリリースに含まれる、又は武田薬品が提示するいかなる将来見通し情報を更新する義務を負うものではありません。過去の実績は将来の経営結果の指針とはならず、また、本ニュースリリースにおける武田薬品の経営結果及び情報は武田薬品の将来の経営結果を示すものではなく、また、その予測、予想、保証又は見積もりではありません。

医療情報

本ニュースリリースには、製品に関する情報が含まれておりますが、それらの製品は、すべての国で発売されているものではなく、また国によって異なる商標、効能、用量等で販売されている場合もあります。

ここに記載されている情報は、開発品を含むいかなる医療用医薬品を勧誘、宣伝又は広告するものではありません。

-
1. Kuykendall A et al. Results From VERIFY, a Phase 3, Double-Blind, Placebo (PBO)-Controlled Study of Rusfertide for Treatment of Polycythemia Vera (PV). Oral presentation at: American Society of Clinical Oncology (ASCO) Annual Meeting, June 1, 2025. Chicago, IL. LBA3.
 2. PROMIS Fatigue Short Form 8a Total T-Score
 3. MFSAF v4.0 Total Symptom Score 7