



2022年5月26日

各位

会社名 ステラファーマ株式会社
代表者名 代表取締役社長 上原 幸樹
(コード番号: 4888 東証グロース)
問合せ先 取締役管理本部長 藤井 祐一
(TEL 06-4707-1516)

再発悪性神経膠腫を対象とした 適応疾患の拡大に関する承認申請の状況について

当社は、開発パイプラインの一つである、再発悪性神経膠腫^{*1}を対象とした SPM-011 の開発について、日本国内において 2012 年 11 月に第 I 相試験を、2016 年 2 月に第 II 相試験（以下「JG002 試験」という。）をそれぞれ開始し、2020 年 7 月に JG002 試験の治験終了届を提出いたしました。

JG002 試験は、探索的試験として、その実行可能性を考慮し、比較対照群を設けず、BNCT のみ評価を行う単群での試験、かつ症例数が 24 例と小規模な試験設計となっております。また、主要評価項目は、BNCT 施術 1 年後における生存割合とし、有効性及び安全性について評価しております。JG002 試験の結果は、再発膠芽腫^{*1} 24 例の 1 年生存率が 79.2%と、試験開始前の設定期待値 60%を超える結果となりました。当該試験結果をもって、先駆け審査指定制度^{*2}の枠組みにおいて独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）と承認申請に向けた協議を行ってまいりました。

しかしながら、主要評価項目である生存率は、年齢やがんの組織型（grade）、術前の全身状態等、患者背景因子の影響を受ける可能性があることから、PMDA との協議内容を踏まえ、JG002 試験の結果のみをもって有効性を説明することは困難であると判断し、治験データを評価するための新たなデータを追加的に取得する必要があるとの結論に至っております。

このため、当社は、より効率的に BNCT の有効性を評価するための新たな評価手法として、JG002 試験と同時期に、JG002 試験に参加された患者様と同様の疾患背景を有する患者様の生存状況に関するデータを全国の病院にご協力いただきながら遡って収集し、JG002 試験と比較するレトロスペクティブ調査^{*3}（以下「レトロ調査」という。）による追加データの取得をもって、データを補強することを計画し、PMDA と計画内容の相談を継続してまいりました。

PMDA との相談を経て、重要な患者背景因子等で調整を行った場合におけるレトロ調査の必要症例数の算出を進めてまいりましたが、特に治療履歴の項目において JG002 試験に参加された患者様で構成する群（以下、「BNCT 群」という。）と異なる症例が多いことから、比較対象となり得る調整後データは想定以上に限定的であり、BNCT の有効性を検証するためには、当初の目論見より相当数のレトロ調査による症例データの追加が必要なことに加え、BNCT 群においても新たな症例データの追加が必要となる見通しとなりました。

以上を踏まえ、開発計画の合理性を慎重に検討した上で、本日開催の取締役会において、計画していたレトロ調査を中止し、JG002 試験の結果に基づき承認申請を行う前提であった再発悪性神経膠腫の開発計画を変更することを決定いたしました。

新たな開発計画については、現時点で未定ですが、JG002 試験の結果のとおり、当社は、再発悪性神経膠腫に対して BNCT の一定の有効性は示されたと考えております。JG002 試験においては、主要評価項目

である生存率が患者背景因子の影響を受ける可能性があること、単群試験であり、症例数が小規模な試験データであることが承認申請の可否に関するネックとなっております。これらの要素を排除するため、新たな試験の実施を視野に入れ、関係者とも協議した上で、引き続き開発計画の立案に取り組んでまいります。

なお、レトロ調査の中止に伴う当期の業績予想（2022年5月10日公表）への影響は軽微であります。

また、開発計画に変更に伴う当期の業績予想及び事業計画への影響は精査中であり、新たな開発計画の決定次第、速やかにお知らせいたします。

※1 悪性神経膠腫

神経膠腫とは、脳に発生する悪性腫瘍で原発性脳腫瘍の約30%を占めます。神経膠腫は、その悪性度によって4段階（グレードI～IV）に分類され、中でもグレードIII～IVに分類される悪性度が高い神経膠腫を悪性神経膠腫と呼び、さらにグレードIVの神経膠腫を膠芽腫と呼びます。膠芽腫を含む悪性神経膠腫は、現在なお治療が困難な疾患とされています。

※2 先駆け審査指定制度

一定の要件を満たす新薬等について、厚生労働省が、開発の比較的早期の段階から薬事承認に係る相談・審査等において優先的な取扱いを行う制度です。具体的には、「①治療薬の画期性、②対象疾患の重篤性、③対象疾患にかかる極めて高い有効性、④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思」の4つの要件を満たす画期的な新薬等を開発段階で対象品目に指定し、新たに整備された相談の枠組みを優先的に適用し、かつ優先審査を適用することにより、審査期間を6ヶ月（通常は12ヶ月）まで短縮することを目指すものとされています。

当社は、再発悪性神経膠腫と切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）について、対象品目の指定を受けています。

※3 レトロスペクティブ調査

レトロスペクティブ調査とは、疫学調査で用いられる方法の一つで、調査を開始した時点から過去に遡って対象者の情報を集めることから、後ろ向き研究とも呼ばれます。

以上