



Better Health, Brighter Future

News Release

2026 年 8 月 29 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 ジュリー・キム
(コード番号 4502 東証プライム市場)
報道関係問合せ先 日本オンコロジー事業部
ペイシェントアドボカシー&コミュニケーション部
齋藤 有香 070-2308-3339
E-mail: yuka.saito@takeda.com

真性多血症の治療パラダイム転換につながる可能性を有する MIMRYLO™(rusfertide)の 米国食品医薬品局(FDA)の承認取得について

- 独自の作用機序を有するファーストインクラスの治療薬である MIMRYLO は、真性多血症に伴う赤血球増加症の成人患者さんに対する治療薬として承認を取得
- MIMRYLO は、真性多血症における主要な治療目標であるヘマトクリット値のコントロールを維持するとともに瀉血負担を軽減し、疲労改善に寄与
- 本承認は、第3相 VERIFY 試験において、投与20週から32週の間に患者さんの76.9%が臨床的奏効を達成した結果に基づく

当社は、2026 年 8 月 28 日(米国時間)、血液がんの一種である真性多血症(PV)の成人患者さんを対象とした赤血球増加症の治療薬として、MIMRYLO™(rusfertide)の新薬承認申請(NDA)*が、[米国食品医薬品局\(FDA\)](#)に承認されたことをお知らせします。

MIMRYLO は、体内の鉄分布および赤血球の過剰産生を調節し、血液全体に占める赤血球の割合を示すヘマトクリット値をコントロールすることを目的とした、ファースト・イン・クラスのヘプシジン模倣薬です。ヘマトクリット値を45%未満に維持することがPVにおける主要な治療目標です¹。

VERIFY 試験の治験責任医師であり、Moffitt Cancer Center 血液内科の Associate Member である Andrew T. Kuykendall M.D.は「PV 患者さんにとってヘマトクリット値のコントロールが不十分な状態は、生命を脅かす可能性のある血栓性イベントのリスク上昇などの深刻な影響を与えます。また、瀉血をはじめとする現在の標準治療法では、多くの患者さんのニーズを十分に満たせておらず、日常生活にさまざまな負担をもたらします。MIMRYLO の承認により、医療関係者および患者さんに対し、PV における赤血球の過剰産生を引き起こす赤血球増加症を標的とするファースト・イン・クラスの新たな治療選択肢が提供されます。VERIFY 試験の力強く一貫した結果により、MIMRYLO が日常診療における PV 治療を進展させ、持続的なヘマトクリット値のコントロールをもたらすことを期待しています」と述べています。

PV 治療において課題となるヘマトクリット値のコントロール不良

米国では約9万人が罹患しているPVは、赤血球の過剰産生(赤血球増加症)を特徴とし、ヘマトクリット値の上昇により血液粘度が上昇(過粘稠)し^{2,3}、脳卒中、深部静脈血栓症、肺塞栓症などの生命に関わる血栓症イベ

ントを引き起こす可能性があります⁴。ヘマトクリット値を 45%未満に維持することは、血栓性イベントを予防するとともに、重度の疲労感、そう痒(かゆみ)、集中力の低下、寝汗などの患者さんの負担となる症状の軽減につながります⁴。現在の標準治療である瀉血療法や細胞減少療法のもとでも、約 78%の患者さんでヘマトクリット値のコントロールが不十分とされています⁵。また、ヘマトクリット値のコントロールが不十分な PV 患者さんでは、心血管死または重大な心血管イベントのリスクが 4 倍高いことが報告されています⁴。

MPN Research Foundation の Chief Executive Officer である Kapila Vigés は「PV 患者さんは、重度の疲労感や慢性の血液がんとともに生きることによる精神的な負担など、複雑で目に見えにくい症状を抱えています。また、PV 患者さんの経験は一人ひとり異なることから、患者さんにとって何が最も重要であるかを理解するために、患者コミュニティの声に継続的に耳を傾ける必要があります。こうした日々の課題に、より適切に対応できる治療法が求められています。今回の意義ある承認は重要な前進を示すものであり、長年にわたり、イノベーションにより多くの治療選択肢が求められてきたこの疾患において、新たな治療選択肢をもたらすものです。私たちは、MIMRYLO が患者さんの治療目標の達成に貢献する可能性に期待を寄せています」と述べています。

MIMRYLO は PV の成人患者さんのためのファースト・イン・クラスの治療選択肢

本承認は、293 名の PV 患者さんを対象とした第 3 相グローバル無作為化 VERIFY 試験(NCT05210790)の結果に基づいており、MIMRYLO はすべての有効性評価項目を達成するとともに、良好な安全性プロファイルを示しました。本試験において、MIMRYLO を現在の標準治療と併用した患者群は、プラセボを現在の標準治療と併用した患者群と比較して、より高い奏効率を示しました。これには、ヘマトクリット値のコントロール達成、瀉血回数の減少、および患者報告アウトカム尺度である PROMIS Fatigue Short Form 8a で評価した疲労感の改善が含まれます。

VERIFY 試験において、MIMRYLO は 52 週間の投与期間を通じて概ね良好な忍容性を示しました。MIMRYLO 群で最も多く認められた治療に伴う有害事象は、局所注射部位反応および貧血でした。第 3 相試験結果の詳細については、[こちら](#)をご覧ください。

当社の President and Chief Executive Officer である Julie Kim は「MIMRYLO の承認は、当社の後期開発パイプラインの強さと、新たな治療選択肢を切実に待ち望む患者さんに真に差別化された治療法を提供するという私たちの取り組みを示すものです。私たちは現在、3 つの新薬の提供に向けた重要な転換点を迎えています。これらの新薬は、今後の成長を牽引する可能性を有するとともに、既存の治療選択肢を拡充するだけでなく、治療環境そのものを変革するイノベーションの推進に対する私たちのコミットメントを示すものです。私たちは、本承認の実現に貢献いただいた患者さん、ご家族や介護者の皆さま、患者支援団体の皆さま、そして治験担当医師・研究者の皆さまに深く感謝申し上げます」と述べています。

VERIFY 試験のオープンラベル延長試験は現在も進行中であり、当社は今後開催される医学学会においてさらなる知見を共有する予定です。また、当社は、MIMRYLO を世界中のより多くの患者さんに届けることを目指し、米国外の規制当局とも協議を進めています。

本承認による当社の 2027 年 3 月期(2026 年度)の連結業績予想に変更はありません。

MIMRYLO™について

MIMRYLO™は、鉄恒常性の維持や赤血球増加症の制御に関与する天然型ホルモンであるヘプシジンの作用を模倣したファースト・イン・クラスの皮下注射薬です。真性多血症(PV)における鉄代謝異常の根本的なメカニズムに作用することで、過剰な赤血球産生を抑制し、持続的なヘマトクリット値のコントロールを目指します。週 1 回の皮下注射で投与され、これまでの臨床試験では概ね良好な忍容性が示されています。MIMRYLO は

Protagonist Therapeutics 社により創製され、第 3 相試験まで開発が進められました。現在、武田薬品は MIMRYLO の全世界における開発および販売に関する独占的権利を有しています。

VERIFY 試験について

第 3 相 VERIFY 試験 (NCT05210790) は、真性多血症 (PV) 患者さん 293 人を対象に MIMRYLO を評価する進行中のグローバル無作為化プラセボ対照試験であり、3 つのパートで構成される 156 週間の試験として実施され、試験期間終了後も MIMRYLO によるベネフィットが認められる患者さんに対しては、治療継続期間が設けられています。本試験では、瀉血療法、ヒドロキシウレア、インターフェロン、および／またはルキシソリチニブを含む現在の標準治療においてもヘマトクリット値のコントロールが不十分で瀉血を必要とする患者さんに対して、週 1 回の自己注射による MIMRYLO の有効性および安全性を評価しています。

主要評価項目は、投与 20 週から 32 週の間に瀉血適応とならなかった患者さんの割合であり、瀉血適応は、ヘマトクリット値が 45% 以上かつベースライン値よりも 3% 以上高いこと、またはヘマトクリット値が 48% 以上であることと定義されました。32 週時点で評価された主な副次評価項目には、瀉血回数の平均、ヘマトクリット値 45% 未満を維持した患者割合、PROMIS Fatigue Short Form 8a で評価した疲労スコアの平均変化量、および Myelofibrosis Symptom Assessment Form (MFSAF) Version 4.0 で評価した総症状負荷が含まれました。

すべての患者さんは、MIMRYLO と現在の標準治療の併用群と、プラセボと現在の標準治療の併用群の有効性および安全性を評価する無作為化プラセボ対照パートへの参加が完了しており、現在はオープンラベルパートに参加しています。

真性多血症 (PV) について

PV は、赤血球の過剰産生 (赤血球増加症) を特徴とする慢性の血液がんであり、血液の粘度が増加 (過粘稠) することで、脳卒中、深部静脈血栓症、肺塞栓症などの生命に関わる血栓症イベントを引き起こ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 における主要な治療目標は、ヘマトクリット値を 45% 未満に維持することであり、血栓症イベントを防ぎ、重度の疲労感、そう痒 (かゆみ)、集中力の低下、寝汗などの症状の軽減を目指します。

武田薬品について

武田薬品工業株式会社 (TSE: 4502/NYSE: TAK) 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。

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。

将来に関する見通し情報

本ニュースリリース及び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、薬価、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。

参考文献

1. [Barbui T, et al. Philadelphia chromosome-negative classical myeloproliferative neoplasms: revised management recommendations from European LeukemiaNet. Leukemia 2018; 32\(5\), 1057-1069.](#)
2. [Vachhani PJ. Estimated prevalence of polycythemia vera in the United States \(2025-2030\): SEER analysis with modeled reporting delay. J Clin Oncol. 2026;44\(suppl 16\):e18589.](#)
3. [Lu X, Chang R. Polycythemia Vera. \[Updated 2023 Apr 24\]. In: StatPearls \[Internet\]. Treasure Island \(FL\): StatPearls Publishing; 2025 Jan-. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK557660/>](#)
4. Marchioli R, et al. *Cardiovascular events and intensity of treatment in polycythemia vera.* N Engl J Med 2013;368:22-33.
5. Verstovsek S, et al. *Real-world treatments and thrombotic events in polycythemia vera patients in the USA.* Ann Hematol 2023;102:571-581.

*Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症に対するファースト・イン・クラスの治療薬となる可能性を有する rusfertide の、米国食品医薬品局による新薬承認申請受理および優先審査指定について