

本プレスリリースには、医療用医薬品や開発品の情報を含むものがありますが、これらは医療用医薬品や開発品のプロモーション、広告を目的とするものではありません。

報道関係者各位

2025 年 8 月 25 日

アレクシオンファーマ合同会社

コセルゴ®、神経線維腫症 1 型（NF1）患者さんにおける 叢状神経線維腫（PN）の国内初となる成人用法用量追加の承認を取得

NF1 PN の成人患者さんを対象とした最大規模かつ唯一のプラセボ対照試験である 国際共同第 III 相臨床試験の肯定的な結果に基づく承認

アレクシオンファーマ合同会社（本社：東京都港区、社長：濱村美砂子、以下アレクシオンファーマ）は、コセルゴ®カプセル（一般名：セルメチニブ硫酸塩、以下「コセルゴ」）が本日、神経線維腫症 1 型（neurofibromatosis type 1: NF1）の症候性かつ手術不能な叢状（そうじょう）神経線維腫（plexiform neurofibromas: PN）に対する、成人用法用量追加の承認を取得したことをお知らせします¹。「コセルゴ」は、NF1 における PN を効能効果として、小児患者さんを対象に 2022 年に日本で承認されています。

厚生労働省による本承認は、2025 年の米国臨床腫瘍学会（ASCO）年次総会で発表され、*The Lancet* 誌に[掲載](#)された、国際共同第 III 相臨床試験 KOMET 試験の肯定的な結果に基づきます²。

NF1 は希少な進行性の遺伝性疾患であり、通常、幼児期に診断され、成人期にまで進行がみられる症候があります。この疾患はあらゆる臓器に影響を及ぼす可能性があり、脳、脊髄および神経において非悪性腫瘍の増殖がみられることがあります³⁻⁷。

名古屋大学医学部附属病院リハビリテーション科教授であり、日本レックリングハウゼン病学会の理事長でもある西田佳弘医師は、次のように述べています。「PN を有する NF1 の成人患者さんは、持続性または突発性の痛み、臓器機能不全、外観上の変形等、PN による大きな負の影響に直面することがあり、これらは患者さんを身体的にも精神的にも消耗させます。今回の承認により、国内で小児の治療に使用されてきた『コセルゴ』の対象が成人に拡大されることにより、成人患者さんにも初めて疾患の病態を標的とする治療を提供できることとなります」

アレクシオンファーマ社長の濱村美砂子は次のように述べています。「NF1 患者さんにおける PN は、成人でも悩まされることが多いにもかかわらず、小児期を過ぎた患者さんの治療選択肢は限られてきました。NF1 PN を有する特定の小児に対し初めて承認された治療薬として 10 年を超える開発および実臨床での使用実績と、NF1 PN の成人を対象とした国際治験として最大規模の KOMET 試験の結果に基づき、『コセルゴ』が成人患者さんの主要な治療目標を達成する見込みが示されました。成人を対象とする今回の承認は、NF1 という生涯にわたる疾患をもつ幅広い年代の患者さんの治療に対する当社の取り組みを前進させるものです」

KOMET 試験における「コセルゴ」の安全性は、既知のプロファイルおよび小児患者さんにおける既存のデータと一致しており、新たな安全性所見や兆候は特定されませんでした。日本以外の国においても、規制当局による審査が進行中です。

注釈

神経線維腫症 1 型 (neurofibromatosis type 1: NF1) について

NF1 は希少な進行性の遺伝性疾患であり、NF1 遺伝子の遺伝的または自然な突然変異により発症します^{6,8}。NF1 は、皮膚や皮下にできる柔らかいしこり（皮膚の神経線維腫）に加え、患者さんの 30～50%にみられる神経鞘の腫瘍（叢状神経線維腫：PN）など、さまざまな症状を伴います^{8,9}。PN は、外観上の変形、運動機能障害、疼痛、気道の障害、視力障害、膀胱や腸の機能障害などの病状を引き起こすことがあります⁸⁻¹²。PN は幼児期に発症し、その重症度はさまざまです。NF1 患者さんでは、平均寿命が最長で 15 年短くなる可能性があるとの報告があります^{8,10,13,14}。

国際共同第 III 相臨床試験 KOMET 試験について

KOMET 試験は、症候性かつ手術不能な叢状神経線維腫（PN）を有する神経線維腫症 1 型（NF1）の成人患者さんを対象にした「コセルゴ」の有効性及び安全性を評価することを目的とした、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の国際多施設共同第 III 相臨床試験です。本試験には、北米、南米、欧州、アジアおよびオーストラリアの 13 カ国で、全世界の成人の NF1 患者集団を反映した性別や PN の分布などの被験者のベースライン特性を持つ 145 人の成人患者さんが登録されました。登録された被験者は、「コセルゴ」投与群またはプラセボ投与群に 1:1 で無作為に割り付けられ、28 日サイクルで 12 サイクルにわたり、投与を受けました。被験者の要件は、NF1 の診断、MRI による容積測定が可能な症候性かつ手術不能な PN を 1 つ以上、スクリーニング時に記録された慢性 PN 疼痛スコア、十分な臓器および骨髄機能、および登録時に PN による慢性疼痛に対する安定した鎮痛薬の使用歴を有することでした^{2,15}。

主要評価項目は、ICR 判定により確定したサイクル 16 までの客観的奏効率（ORR）でした。ORR は、完全奏効（PN の消失）または部分奏効（20%以上の腫瘍容積の減少）が確認された患者さんの割合と定義されています。副次評価項目は、サイクル 12 時点での PN 関連の疼痛の改善、および健康関連の生活の質（HRQoL）の改善などでした^{2,15}。

12 サイクル終了後、プラセボ群の被験者は「コセルゴ」投与に切り替え、「コセルゴ」群の被験者はそのまま投与を継続して、両群ともに、さらに 12 サイクルにわたり、「コセルゴ」の投与を受けました。24 サイクルの投与を完了した被験者には、長期の延長期間に参加し、「コセルゴ」の投与を継続する選択肢が与えられました^{2,15}。

コセルゴ[®]について

コセルゴ[®]カプセル（一般名：セルメチニブ硫酸塩、以下「コセルゴ」）は、細胞増殖の促進に関与する特定の酵素（MEK1 および MEK2）を阻害するキナーゼ阻害剤です。NF1 患者さんでは、これらの酵素が過剰に活性化されることで、腫瘍細胞の制御不能な増殖が起こり、いわゆる叢状神経線維腫（PN）が出現します。これらの酵素を阻害することにより、「コセルゴ」は腫瘍細胞の増殖、すなわち PN の増殖を抑制します。

「コセルゴ」は、症候性かつ手術不能な PN を有する NF1 の特定の小児患者さんの治療薬として、米国、EU、日本、中国、その他の国で承認されています。

「コセルゴ」は、第 III 相臨床試験 KOMET 試験のデータに基づき、症候性かつ手術不能な PN を有する NF1 の成人患者さんの治療薬として、世界各国の規制当局で審査が行われており、日本やその他の国で承認を取得しています。

「コセルゴ」は、米国、EU、日本、その他の国で、NF1 の治療薬として希少疾病用医薬品指定を受けています。

アストラゼネカと MSD の戦略的提携について

2017 年 7 月、アストラゼネカと Merck & Co., Inc.（本社：米国ニュージャージー州、米国・カナダ以外では MSD）は、ファースト・イン・クラスの PARP 阻害剤であるリムパーザ[®]錠（一般名：オラパリブ、以下「リムパーザ」）に加え、「コセルゴ」を共同で開発・製品化する世界的な戦略的提携を発表しました。両社は、「リムパーザ」と「コセルゴ」について、他の新薬候補との併用療法や単剤療法として開発する可能性があります。

アレクシオンファーマ合同会社について

アレクシオンファーマ合同会社は、アストラゼネカの希少疾病部門アレクシオン・アストラゼネカ・レアディージェズ（本社：米国ボストン）の日本法人として、患者さんの人生を一変させるような治療薬の発見、開発、提供を通じて、希少疾患ならびに深刻な病状の患者さんとそのご家族への貢献に注力しています。30 年以上にわたり希少疾患領域の先駆的なリーダーであるアレクシオンは、補体系の複雑な仕組みを活用して革新的な治療薬を創製した最初の企業であり、現在も多くのアンメットニーズを有する疾患領域において、さまざまなイノベーションのもと、多様なパイプラインを構築しています。アストラゼネカの一員として、世界中の、より多くの希少疾患をもつ患者さんに治療薬をお届けできるよう、グローバル展開を拡大し続けています。

公式サイト：<https://www.alexionpharma.jp/>、公式 YouTube チャンネル：[@alexionpharma_japan](https://www.youtube.com/channel/UCaXZnZnZnZnZnZnZnZnZnZn)

アストラゼネカについて

アストラゼネカは、サイエンス志向のグローバルなバイオ医薬品企業であり、主にオンコロジー領域、希少疾患領域、循環器・腎・代謝疾患、呼吸器・免疫疾患からなるバイオフーマ領域において、医療用医薬品の創薬、開発、製造およびマーケティング・営業活動に従事しています。英国ケンブリッジを本拠地として、当社の革新的な医薬品は 125 カ国以上で販売されており、世界中で多くの患者さんに使用されています。詳細については <https://www.astrazeneca.com> または、ソーシャルメディア [@AstraZeneca](https://twitter.com/AstraZeneca) をフォローしてご覧ください。

References

1. Koselugo (selumetinib) Japanese prescribing information; August 2025.
2. Chen, AP, O'Sullivan Coyne, G, et al. KOMET : a phase 3, multicentre, international, randomised, placebo-controlled study to assess the efficacy and safety of selumetinib in adults with neurofibromatosis type 1 and symptomatic, inoperable plexiform neurofibromas. The Lancet. 2025; 405(10496):2217-2230
3. Ejerskov C, et al. Clinical characteristics and management of children and adults with neurofibromatosis type 1 and plexiform neurofibromas in Denmark: a nationwide study. Oncol Ther. 2023;11(1):97-110
4. Cancer.Net. Neurofibromatosis type 1. Available here. Accessed August 2025.
5. National Human Genome Research Institute. About neurofibromatosis. Available here. Accessed August 2025.
6. Tamura R. Current understanding of neurofibromatosis type 1, 2, and schwannomatosis. Int J Mol Sci. 2021;22(11):5850.
7. Ly KI, et al. The diagnosis and management of neurofibromatosis type 1. Med Clin N Am. 2019;103:1035-1054.
8. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Neurofibromatosis. Available here. Accessed August 2025.
9. Gross AM, et al. Selumetinib in children with inoperable plexiform neurofibromas. N Engl J Med. 2020;382(15):1430-1442.
10. Hirbe AC, et al. Neurofibromatosis type 1: a multidisciplinary approach to care. Lancet Neurol. 2014;13:834-843.
11. Dombi E, et al. Activity of selumetinib in neurofibromatosis type 1-related plexiform neurofibromas. N Engl J Med. 2016;375:2550-2560.
12. Mayo Clinic. Neurofibromatosis. Available here. Accessed August 2025.
13. National Health Service. Neurofibromatosis type 1, symptoms. Available here. Accessed August 2025.
14. Evans DGR, et al. Reduced life expectancy seen in hereditary diseases which predispose to early-onset tumors. Appl Clin Genet. 2013;6:53-61.
15. ClinicalTrials.gov. Efficacy and safety of selumetinib in adults with NF1 who have symptomatic, inoperable plexiform neurofibromas (KOMET). NCT Identifier: NCT04924608. Available here. Accessed August 2025.