

2022年5月23日



特定非営利活動法人  
血液情報広場・つばさ

162 - 0041 東京都新宿区早稲田鶴町 533  
早稲田大学前郵便局々留

03-3207-8503 (月～金 12時～17時)  
03-3203-2570 (Fax)

理事長

ジェンマブ株式会社  
代表取締役社長 高木実加様

前略、御免くださいませ。

本日は平素のお働きに心より敬意を表すと共に、epcoritamab の開発の加速および早期薬事申請を日本での研究開発元であり薬事申請者である御社にお願いいたしくご連絡いたしました。

はじめに

私の立場を申し上げます。私は1986年に長男が小児白血病と診断されたことから、当時の医療状況では唯一治せるかもしれないと言われた骨髄移植の可能性を求めて、骨髄バンク設立運動を開始しました。長男には当時骨髄移植の必須条件だったHLA一致ドナーがいなかったため、既にアメリカで運営を開始していた全米骨髄バンクと同じシステムを日本にも創設する必要である、と示唆されたからでした。やがて設立運動は全国的な広がりとなって、1991年に骨髄移植推進財団(現・日本骨髄バンク)が設立されました。

しかし骨髄バンク設立の2か月後に長男は逝去しました。あの時、救命の可能性のある治療法(薬)が存在するのに、血縁ドナーがない、システム(骨髄バンク)がない、治療を受けている国が違う、など何らかの条件の違いでその治療や薬が手に入らない当事者がいてはならない、と切実に思いました。その経験をもとに設立したのが、後にNPO法人となる血液情報広場・つばさです。

それからの経緯

長男が罹患して骨髄バンクの必要性と同時に求めたことは、医療・創薬の専門性の高い情報でした。以来、全国の血液の病気と闘う患者及び家族の方々に、治療情報の提供や、患者のより質の高い闘病生活を願い、電話相談・情報誌の発行・全国各地での専門医による講演を含む患者向け公開フォーラム開催を実施しています。

白血病を初めとする血液の病気、そして移植療法について繰り返し学ぶ過程で、私たちは血液疾患にはリンパ性と骨髄性があり、急性と慢性にも区分されることを理解してきました。

同時に、血液がんの中には薬だけで治る疾患があることにも理解が進みました。移植に頼らずに薬で治療ができれば、決して治癒率が高くない上に長期に副作用が遺るかもしれないリスクな医療に頼らずに済みます。骨髄バンクの充実に協力しながらも、次第に私たちは、医・薬から新規治療薬の情報がもたらされると、その薬の1日も早い承認を求めて厚労省に働きかけるようになりました。また欧米で先に承認された血液がんの治療薬の情報があれば、それが本邦でもできるだけ早く使えるように請願を繰り返して、欧米とのドラッグラグ解消にも努めて来ました。

近年は、分子標的薬、抗体薬のほかに CAR-T 細胞療法など画期的な治療法が開発されて、本当に良い時代が到来していることを実感しております。しかし一方で、至適薬が開発されても、該当する疾患の全ての患者に効果があるわけではない、ということも理解しております。

繰り返しになりますが、「たくさんの薬・治療法があるにも関わらず、自身にとっての至適な薬は今のところ無い」とわかった患者にとっての失望は、骨髄移植という治療法がそこにありながらわが子にその治療を受けさせてやれなかった母にはわかります。また、いったんは治癒したと思われた自身の疾患が再発したとわかった時の患者さんの失望感はいかばかりか、と思います。

お願い

以上述べました思いから、悪性リンパ腫の一種であるびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫で至適な治療を受けながらも再発してしまった患者のために御社によって epcoritamab が開発中であることを知り、こうして急ぎお願いを申し上げる次第です。

以下に、びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫と epcoritamab について私が知り得た知見を申し述べ、当法人よりの epcoritamab 開発と薬事申請をお急ぎいただきたい旨の説明と致します。

- ・ 日本国内における悪性リンパ腫の新規罹患数は約 36,000 人、年間死亡数は約 13,000 人とされており<sup>(1)</sup>、その数は年々増加傾向にある<sup>(2)</sup>。国内での非ホジキンリンパ腫は悪性リンパ腫の 90-95%程度とされていることから、非ホジキンリンパ腫の新規罹患数は約 32,000 人、年間死亡数は約 12,000 人に上ると推定される。<sup>(3)</sup>
- ・ びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫は、非ホジキンリンパ腫の中でも発生頻度の高い病型であり、非ホジキンリンパ腫の 30~40%を占めることから<sup>(4)</sup>、国内のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫の年間の新規患者数は約 9,600 人~12,800 人であると考えられる。
- ・ 新規のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫の患者においては、その優れた有効性により R-CHOP 療法が長年にわたり標準治療になっている。一方で、再発した場合の二次治療以降は有用な治療法が未だに確立していないため、さまざまな薬物療法が取り入れられているが、十分な臨床成績は残念ながら得られていない。
- ・ すでに数種類の治療を受け体力的に弱っている患者には、化学療法以外の治療法が望まれている。
- ・ 現在開発中の、二重特異性抗体による免疫療法である epcoritamab は皮下注射であるこ

とからあらゆる診療環境の下でも投与することができ、患者の治療へのアクセスを可能にする。

・ 第 I/II 相の試験において、12mg 以上の epcoritamab を投与された患者のうち、効果が認められた患者の割合（全奏効率）は 68%、腫瘍の消失が認められた割合（完全奏効率）は 45% だった。<sup>(5)</sup> また CAR-T 治療後の患者においても腫瘍の縮小効果が認められたことから、再発・難治のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫の治療薬として血液内科専門医からも大いに期待されている。

以上に鑑みて、NPO 法人血液情報広場・つばさは、一日でも早く期待の新薬の開発が行われ、すでに複数の治療法を経て長く闘病している患者にとって、場所を問わず治療にアクセスでき、迅速で効果的な治療が選択できるようになることを切望しております。

末筆ながら、御社の皆様のご健勝を心から祈念いたします。

かしこ

注記：以下より情報を取得しました。

- (1) がん情報サービス, 2021
- (2) 日本血液学会 2018
- (3) 日本血液学会 2018
- (4) Ghielmini et al. 2013, Dubois et al. 2016, Lymphoma Study Group of Japanese 2000
- (5) Hutchings M et al., Dose escalation of subcutaneous epcoritamab in patients with relapsed or refractory B-cell non-Hodgkin lymphoma: an open-label, phase 1/2 study. Lancet 2021; 398 (10306):1157-1169