

**Essential Pharma 傘下の Renaissance Pharma Limited は、高リスク神経芽腫治療薬 Daretabart (hu1418K322A) について、FDA の Fast Track 指定および IND 承認を取得しました。**

- FDA は、高リスク神経芽腫における重大な未充足医療ニーズを認識し、Daretabart (hu1418K322A) に Fast Track 指定を付与し、迅速審査およびローリングレビューへのアクセスを可能にしました。
- IND 申請の FDA 承認により、再発性および難治性の高リスク神経芽腫患者を対象とした SHINE 第 II/III 相臨床試験を開始できます。
- Daretabart (hu1418K322A) の最初の商業規模 GMP バッチの製造に成功しました。
- 本プログラムは、全生存率 86.0%を示した第 II 相試験の良好なデータに基づいています。

英国 – 2026 年 4 月 21 – 開発段階の資産に注力する Essential Pharma 傘下の Renaissance Pharma Limited は本日、米国食品医薬品局 (FDA) が Daretabart (hu1418K322A) の承認を取得したことを発表しました。米国食品医薬品局 (FDA) は、希少小児がんである高リスク神経芽腫 (HRNB) の治療薬として開発中の新規抗 GD2 モノクローナル抗体、Daretabart (hu1418K322A) に対し、Fast Track 指定を付与しました。この指定は、HRNB における重大な未充足医療ニーズを認識したものであると同時に、開発期間全体を通して FDA とのより頻繁な連携、および迅速審査と随時審査の適用資格取得を支援するものです。

また、同社は FDA から治療薬申請 (IND) の承認を取得し、米国における再発または難治性の HRNB 患児を対象とした第 II/III 相臨床試験 SHINE 試験を開始できるようになったことを確認しました。Daretabart (hu1418K322A) の最初の商業規模 GMP (医薬品製造管理基準) 準拠バッチも、SHINE 試験での使用に向けて製造に成功しました。

Daretabart (hu1418K322A) は、小児がんの研究と治療における世界的リーダーである St. Jude 小児研究病院との独占ライセンス契約に基づき、Renaissance Pharma 社によって開発されています。この抗体は、神経芽細胞腫細胞に高発現する細胞表面抗原である GD2 を標的としています。GD2 に結合することで、Daretabart (hu1418K322A) は免疫介在性の腫瘍細胞殺傷効果を高めるように設計されており、同時に忍容性を向上させるための新たな構造修飾が施されています。本プログラムは、高リスク神経芽細胞腫 (HRNB) 患者を対象とした、Daretabart (hu1418K322A) の一次治療および維持療法後の治療における有効性を評価した第 II 相試験の有望なデータに基づいています。この試験では、3 年無イベント生存率 (EFS) が 73.7%、全生存率 (OS) が 86.0%

という結果が得られました。これらの結果は、2021年12月に『Journal of Clinical Oncology』誌に掲載されました。

最初の商業規模 GMP バッチの製造成功は、重要な事業上のマイルストーンであり、プログラムの進展に伴い、Renaissance Pharma が信頼性の高い高品質な供給を確保するというコミットメントを改めて示すものです。この成果は、継続的な臨床開発を支え、将来の商業化に向けた重要な一歩となります。

Essential Pharma の暫定 CEO 兼 Renaissance Pharma Limited 取締役のサイモン・ポール氏は次のように述べています。「Daretabart は、集中的な治療にもかかわらず予後が依然として著しく不十分な高リスク神経芽腫の小児患者にとって、真に大きな変化をもたらす可能性を秘めています。FDA の Fast Track 指定は、その可能性を外部から検証する重要なものであり、IND 承認と商業規模での製造能力と相まって、このプログラムの強さと成熟度を反映しています。数ヶ月にわたり水面下で懸命に取り組んできた結果、本日この最新情報を発表できることを大変嬉しく思います。私たちは迅速に開発を進めており、SHINE 試験の進捗状況に応じてデータを共有できることを楽しみにしています。本日の発表は、この進行性の癌に苦しむ小児患者にとって意義のある新たな治療選択肢として Daretabart を届けるための、また一歩前進を意味します。」

参考資料  
Furman WL, McCarville B, Shulkin BL, Davidoff A, Krasin M, Hsu CW, et al. Improved Outcome in Children With Newly Diagnosed High-Risk Neuroblastoma Treated With Chemoimmunotherapy: Updated Results of a Phase II Study Using hu14.18K322A. Journal of Clinical Oncology [Internet]. 2022 Feb 1;40(4):335–44. Available from: <http://dx.doi.org/10.1200/jco.21.01375>

<sup>2</sup> News Medical Life Sciences. European scientists target high-risk childhood cancer with liquid biopsy. Available from: <https://www.news-medical.net/news/20240129/European-scientists-target-high-risk-childhood-cancer-with-liquid-biopsy.aspx#:~:text=Neuroblastoma%20mainly%20affects%20toddlers%20and,patients%20are%20high%20Drisk%20cases>

St. Jude Children's Hospital. - <https://www.stjude.org/disease/neuroblastoma.html>

**Renaissance Pharma について**



Essential Pharma 傘下の Renaissance Pharma Limited は、開発段階の資産に注力しており、現在、希少小児疾患の治療選択肢の改善に取り組んでいます。 主要候補薬である Daretabart (hu1418K322A) は、神経芽腫の治療薬として開発されています。

### Essential Pharma について

Essential Pharma は、ニッチな患者層向けに医薬品を開発・提供するグローバル製薬企業です。

当社の拡大を続ける製品ポートフォリオは、約 70 か国の患者様に届けられており、希少疾患や心肺疾患の治療に用いられる特殊医薬品を中心に、複数の治療領域を網羅しています。当社が完全子会社である Renaissance Pharma Limited を通じて管理する最初の開発段階の資産は、高リスク神経芽腫の治療薬である抗 GD2 抗体、Daretabart (hu1418K322A) です。当社は既成概念にとらわれず、よりスマートな方法で、患者数が少ない、医療サービスが行き届いていない、あるいは希少疾患の患者様が必要な医薬品にアクセスできるように努力しています。

### 神経芽腫について

神経芽腫は小児がん全体の 7~10%を占め、小児における頭蓋外がんの中で最も多く、1 歳未満の乳幼児では最も多いがんです。毎年、ヨーロッパでは 1,500 人以上、米国では 800 人以上が診断されています。神経芽腫患者の約半数は高リスク (HRNB) であり、5 年生存率は約 50%です。現在の標準治療は、化学療法、手術、放射線療法、幹細胞移植、抗 GD2 モノクローナル抗体 (mAb) 療法などを含む、集中的かつ多角的な治療です。これらの介入にもかかわらず、HRNB1,2 に対するより効果的で忍容性の高い治療法に対する、満たされていない医療ニーズは依然として大きいです。

### お問い合わせ先

#### Essential Pharma

サイモン・ボール

暫定最高経営責任者



電話： +44 (0)1784 477 167

Email: [info@essentialpharmagroup.com](mailto:info@essentialpharmagroup.com)

**ICR Healthcare**

トレーシー・チャン／クリス・ウェルシュ

Email: [Essentialpharma@icrhealthcare.com](mailto:Essentialpharma@icrhealthcare.com)