

<報道関係各位>

2026年1月22日

ギリアド・サイエンシズ株式会社

## **Brexucabtagene autoleucel、マントル細胞リンパ腫およびB細胞性急性リンパ芽球性白血病に対する希少疾病用再生医療等製品に指定**

ギリアド・サイエンシズ株式会社（以下「ギリアド」、本社：東京都千代田区、代表取締役社長：ケネット・ブライスティング）は、1月16日、Brexucabtagene autoleucel が厚生労働省より、マントル細胞リンパ腫（MCL）およびB細胞性急性リンパ芽球性白血病（B-ALL）に対する希少疾病用再生医療等製品に指定されたことをお知らせします。

希少疾病用再生医療等製品は、国内の対象患者数が5万人未満であること、医療上の必要性が特に高いなどの条件に合致するものについて、厚生労働大臣が指定するものです<sup>1</sup>。

MCL は、悪性リンパ腫である非ホジキンリンパ腫に分類され、リンパ節のマントル帯に由来する B 細胞性腫瘍です。国内においては悪性リンパ腫の約 3%を占めており、MCL の患者数は 2023 年の厚生労働省の患者調査によると約 2,000 人<sup>2</sup>と報告されています。そして多くの患者さんが再発を繰り返し、最終的には死に至る重篤な難治性疾患で、全生存期間は 5~7 年程度とされています<sup>3</sup>。また、MCL は標準治療が確立されておらず<sup>4</sup>、治療の転帰は治療ライン数が増えるにつれて悪化し、予後不良である<sup>5</sup>ことから、MCL に対する新たな治療選択肢が望まれています。

急性リンパ芽球性白血病（ALL）は、血液、骨髄およびその他臓器中の B 細胞または T 細胞系列の未成熟リンパ球のクローニング増殖により引き起こされる多様なリンパ系疾患の一群です。国内における ALL の患者数は、2023 年の厚生労働省の患者調査によると約 9,000 人<sup>6</sup>と報告されています。ALL 患者さんの 5~10% は一次治療に対して抵抗性を示し、30~60% が再発を来し<sup>7</sup>、再発した患者さんの 5 年全生存率は 10% 未満と報告されています<sup>8</sup>。特に成人の ALL 患者さんでは、治療ラインが増えるにつれて複合的完全寛解率が低下し、既存治療を行った場合でも予後不良であることから、新たな治療選択肢が期待されています。B-ALL は ALL の約 75% を占めるとされています<sup>9</sup>。

Brexucabtagene autoleucel は CD19 抗原を標的とする新規の CAR T 細胞製品で、ギリアド・カンパニーである Kite Pharma, Inc.（以下「Kite」）が実施した ZUMA-2 試験<sup>10</sup>の成績に基づ

き、再発・難治性の MCL に対する初の CAR T 細胞療法として米国および欧州にて 2020 年に承認され、現在までに 40 の国と地域で適応が認められています。

成人の再発・難治性の B-ALL については、Kite が実施した ZUMA-3 試験<sup>1)</sup>の成績に基づき、2021 年に米国にて、2022 年に欧州にて承認され、現在までに 39 の国と地域で適応が認められています。

#### Kite について

ギリアド・カンパニーである Kite は、カリフォルニア州サンタモニカを本拠とするバイオ医薬品企業です。Kite は、がんの治療や治癒の可能性を追求する細胞療法に注力し、グローバルリーダーとして、多くの患者さんに CAR-T 細胞療法を提供してきました。Kite は、プロセスデベロップメントから、ベクター製造、臨床試験向けおよび商用向け製造について、企業が自社で保有するものとしては世界最大規模の細胞治療法の製造ネットワークを有しています。 詳細については、[www.kitepharma.com](http://www.kitepharma.com) をご覧ください。

#### ギリアド・サイエンシズについて

ギリアド・サイエンシズは、全ての人々にとって、より健康な世界の実現を目指し、30 年以上にわたり医療の革新を追求し、飛躍的な進歩を遂げてきたバイオ医薬品企業です。当社は、HIV、ウイルス性肝炎、COVID-19、がんなどの生命を脅かす疾患の予防と治療のため、革新的な医薬品の開発に取り組んでいます。カリフォルニア州フォスター・シティに本社を置き、世界 35 カ国以上で事業を行っています。

<sup>1</sup> <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html> 「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要」

<sup>2</sup> [https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat\\_infid=000040234427](https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat_infid=000040234427) 「政府統計の総合窓口(e-Stat)」統計で見る日本患者調査 令和 5 年度患者調査 全国編 表番号 Z160 (総患者数、傷病基本分類別)

<sup>3</sup> Chihara D, Asano N, Ohmachi K, et al. Ki-67 is a strong predictor of central nervous system relapse in patients with mantle cell lymphoma (MCL). Ann Oncol. 2015;26(5):966-73.

<sup>4</sup> 日本血液学会造血器腫瘍診療ガイドライン第3.1版 (2024年版)

<sup>5</sup> Kumar A, Sha F, Toure A, et al. Patterns of Survival in Patients with Recurrent Mantle Cell Lymphoma in the Modern Era: Progressive Shortening in Response Duration and Survival After Each Relapse. Blood Cancer J 2019;9:50.

<sup>6</sup> [https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat\\_infid=000040234427](https://www.e-stat.go.jp/stat-search/files?stat_infid=000040234427) 「政府統計の総合窓口(e-Stat)」統計で見る日本患者調査 令和 5 年度患者調査 全国編 表番号 Z160 (総患者数、傷病基本分類別)

<sup>7</sup> Bruzzese A, Martino EA, Labanca C, Carida G, et al. Therapeutic strategies for relapsed or refractory B-cell acute lymphoblastic leukemia in adult patients: Optimizing the use of monoclonal antibodies. Eur J Haematol 2025.

<sup>8</sup> Ronson A, Taito A, Rowe JM. Treatment of relapsed/refractory acute lymphoblastic leukemia in adults. Curr

Oncol Rep 2016; 18 (6):39.

<sup>9</sup> Terwilliger T, Abdul-Hay M. Acute Lymphoblastic Leukemia: A comprehensive review and 2017 update. Blood Cancer J 2017;7(6):e577

<sup>10</sup> <https://clinicaltrials.gov/> (ZUMA-2[cohort-1, -2] NCT#: NCT02601313)

<sup>11</sup> <https://clinicaltrials.gov/> (ZUMA-3 NCT#: NCT02614066)