



Better Health, Brighter Future

News Release

2025 年 12 月 8 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 クリストフ・ウェバー
(コード番号 4502 東証プライム市場)
報道関係問合せ先 ジャパンコミュニケーションズ
多田 毅 090-4924-9360
E-mail: tsuyoshi.tada@takeda.com

Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症におけるヘマトクリット値の持続的なコントロールを示した rusfertide 長期データの第 67 回米国血液学会 (ASH) 年次総会での発表について

当社および Protagonist Therapeutics, Inc. は、2025 年 12 月 6 日 (米国時間)、真性多血症 (PV) 患者さんを対象に rusfertide を評価する第 3 相 VERIFY 試験の新たな 52 週間の結果を、第 67 回米国血液学会 (ASH) 年次総会・展示会において口頭発表したことをお知らせします。詳細は、添付をご覧ください。

なお、本件のトップライン結果は 2025 年 3 月 3 日に「Protagonist Therapeutics 社との真性多血症患者さんを対象とした rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の良好なトップライン結果について」において公表しております。また、2025 年 6 月 2 日には「Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症における瀉血の必要性を減少させ、ヘマトクリット値のコントロール改善を示した rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の全 32 週間の結果をハイライトした米国臨床腫瘍学会でのプレナリープレゼンテーションにおける発表について」を公表しております。

本試験結果による当社の 2026 年 3 月期 (2025 年度) の業績に与える影響は軽微です。

以上



News Release

2025 年 12 月 8 日

Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症におけるヘマトクリット値の持続的なコントロールを示した rusfertide 長期データの第 67 回米国血液学会 (ASH) 年次総会での発表について

- rusfertide の第 3 相 VERIFY 試験の 52 週間の結果では、瀉血を要しない持続的なヘマトクリット値のコントロールと奏効が確認され、新たな安全性の問題は観察されず
- これらのデータは、VERIFY 試験における 32 週間の良好な主要解析結果に基づき、主要評価項目および 4 つの主要な副次評価項目を達成
- 32 週時点でプラセボから rusfertide に切り替えた患者さんは、当初から rusfertide に無作為に割り付けられた患者さんと同様の奏効率を示し、40～52 週の間に 77.9%が臨床的奏功を達成
- REVIVE 試験と長期延長の THRIVE 試験を統合した 4 年間の結果では、ベースラインと比較して年間瀉血率が 13 分の 1 に減少

Protagonist Therapeutics, Inc. (以下、「Protagonist Therapeutics 社」) と武田薬品工業株式会社 (以下、「武田薬品」) は、2025 年 12 月 6 日 (米国時間)、真性多血症 (PV) 患者さんを対象に rusfertide を評価する第 3 相 VERIFY 試験の新たな 52 週間の結果を、第 67 回米国血液学会 (ASH) 年次総会・展示会において口頭発表したことをお知らせします。これらの結果は、rusfertide の有効性と安全性をさらに裏付けるものであり、奏効の持続性を示しています。rusfertide を継続投与された患者さんのうち 61.9%が、ベースラインから 52 週まで臨床的奏功 (瀉血を要しない) を維持しました。

Moffitt Cancer Center の血液専門医であり、VERIFY 試験の主任研究者である Dr. Andrew T. Kuykendall M.D. は「52 週間のデータは、rusfertide の持続的な有効性を示し、ヘマトクリット値を維持しながら患者さんの瀉血の必要性を減らしました。32 週間の VERIFY 試験の主要結果はすでに有望でしたが、rusfertide による奏効の持続性をより深く理解することは、真性多血症の臨床判断にとって極めて重要です。THRIVE 試験の長期延長データを含むこれらの結果は、rusfertide が PV 患者さんにとって新たな標準治療として加わる可能性を再確認するものです」と述べています。

PV の治療目標は、血栓症を予防し、症状を緩和するため、ヘマトクリット値 (HCT) を 45%未満に維持することです。しかし、多くの患者さんは現在の標準治療を受けても、ヘマトクリット値のコントロールができない状況や負担の大きい症状を経験しています。VERIFY 試験は、標準治療を受けているにもかかわらず制御不能なヘマトクリットにより瀉血依存の患者さんにおける

rusfertide の有効性と安全性を評価するよう設計され、[以前報告された 32 週間の主要解析](#)で主要評価項目および 4 つの主要な副次評価項目を達成しました。VERIFY 試験のパート 1a (0～32 週) では、293 人の患者さんが rusfertide (147 人) またはプラセボ (146 人) を現在の標準治療に追加して投与されるよう無作為化されました。パート 1b (32～52 週) では、すべての参加者がオープンラベルで rusfertide を投与され、奏効の持続性が評価されました。274 人 (94%) がパート 1b に進み、267 人 (91%) が 52 週まで試験に残り、254 人がパート 2 (52～156 週) で rusfertide の投与を継続しました。

52 週時点の主な結果は以下の通りです^{1,2}：

瀉血適応性 (Phlebotomy Eligibility)

- rusfertide と現在の標準治療を併用し、試験のパート 1a および 1b を通じて治療を受けた患者さんの 61.9% が、臨床的奏功 (瀉血を要しない) を維持しました。
- パート 1a 評価期間 (20～32 週) で臨床的奏功を示した rusfertide 投与患者さんの 84.1% は、奏功を維持しました。
- 32 週でプラセボから rusfertide に切り替えた患者さんの 77.9% は、パート 1b 評価期間 (40～52 週) で臨床的奏功を示しました。
- プラセボ群における最初の瀉血までの中央値は 16 週でした。一方、rusfertide 群 (パート 1a および 1b) や、プラセボから rusfertide に切り替えた群 (パート 1b) では、中央値に到達しませんでした。

ヘマトクリット (HCT) コントロール

- rusfertide をパート 1a および 1b で継続投与された患者さん、またはパート 1b でプラセボから rusfertide に切り替えた患者さんでは、52 週まで平均ヘマトクリット値は 43% 未満を維持しました。
- パート 1a におけるプラセボ群のヘマトクリット値が初めて 45% 以上に達するまでの中央値は 8.3 週でしたが、rusfertide 群ではパート 1a および 1b を通じて中央値に到達しませんでした。

生活の質 (Quality of Life) に関する評価項目

- rusfertide をパート 1a および 1b で投与された患者さんは、PROMIS Fatigue SF-8a および MFSAF TSS7 で測定された患者報告アウトカムの改善を維持しました。

rusfertide は 52 週間の治療を通じて概ね良好な忍容性が確認されました。rusfertide 投与患者さんで治療に伴う最も一般的な有害事象 (AE) は、局所注射部位反応 (47.4%)、貧血 (25.6%)、疲労 (19.6%) で、主にグレード 1 または 2 でした。重篤な有害事象は rusfertide 投与患者さん全体の 8.1% に発生しました。

52 週の VERIFY データにおける rusfertide の奏効の持続性と安全性プロファイルは、REVIVE 試験から長期延長の THRIVE 試験に移行した 46 名の患者さんの 4 年間の解析によってさらに裏付けられています。

結果として、THRIVE 試験に移行後、rusfertide を細胞減少療法の有無にかかわらず継続投与した場合、一貫した長期的なヘマトクリット値のコントロールが示され、REVIVE 試験開始前のベー

スラインと比較して年間瀉血率が13分の1に減少しました。THRIVE試験に移行した46名の患者さんにおけるREVIVE試験開始前の年間瀉血率の平均は9.2回/年でしたが、THRIVE試験期間中の平均は0.7回/年でした³。rusfertideの安全性プロファイルは従来の観察結果と一致していました。

Protagonist Therapeutics社の最高医療責任者であるArturo Molina, M.D., M.S.は「これらのデータ全体は、rusfertideの真性多血症における安全性プロファイルが良好であること、瀉血を要しないことによって定義された持続的なヘマトクリット値のコントロールと臨床的奏効を提供できる可能性をさらに示しています。また、PV患者さんの治療選択肢を拡張、生活に前向きな影響をもたらす可能性を示唆しています。武田薬品との協働により、米国食品医薬品局（FDA）への製造販売承認申請の準備を進めることを期待しています」と述べています。

武田薬品のOncology Therapeutic Area Unit HeadのPhuong Khanh (P.K.) Morrow, M.D.は「現在利用可能な治療選択肢でヘマトクリット値を十分にコントロールできない場合、PV患者さんは血栓症の重大なリスクに直面します。私たちはPV患者さんに変化をもたらすことに尽力しています。ASHで発表されたVERIFY試験と長期延長のTHRIVE試験の包括的なデータは、rusfertideが持続的な奏効を示し、この慢性がんの管理における重要なアンメットニーズに対応する可能性を強く示しています。Protagonist Therapeutics社との協働により、rusfertideを規制当局による承認に向けて前進させ、PV患者さんのケア改善に一步近づけることを期待しています」と述べています。

rusfertideは、FDAからブレイクスルーセラピー指定、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定およびファストトラック指定を受けています。

VERIFY試験について

現在進行中の第3相VERIFY試験（NCT05210790）は、PV患者さん293人を対象に、156週間にわたってrusfertideを評価する3部構成のグローバル無作為化プラセボ対照試験です。この試験では、ハイドロキシウレア、インターフェロン、および/またはルキシソリチニブが含まれる可能性がある現在の標準治療にもかかわらず制御不能なヘマトクリットにより瀉血依存の患者さんに対して、週1回の自己注射によるrusfertideの有効性と安全性を評価しています。主要評価項目は、20週から32週の間に奏効を示した患者さんの割合でした。瀉血適応性を満たすためには、試験参加者は基準値よりも3%以上高いヘマトクリット値が45%以上、またはヘマトクリット値が48%以上である必要がありました。

すべての患者さんは、現在、プラセボと現在の標準治療の併用と、rusfertideと現在の標準治療の併用を評価する無作為化プラセボ対照の構成を完了し、オープンラベルの構成に移行しています。

THRIVE試験について

THRIVE試験（NCT06033586）は、真性多血症患者さんにおけるrusfertideの長期的な奏効の持続性および安全性プロファイルを評価する進行中のオープンラベル延長試験です。本試験には、第2相REVIVE試験（NCT04057040）に参加した46名の患者さんが含まれています。THRIVE試験への

移行が可能な患者さんは、REVIVE 試験のオープンラベル延長期間を完了し、rusfertide での治療を 12 か月以上受け、治療終了時訪問を行った患者さんです。THRIVE 試験は、ヘマトクリット値のコントロール、瀉血の必要性（瀉血回数）の減少、および週 1 回皮下投与される rusfertide の安全性を、2 年間の追加治療期間にわたって評価することを目的に行っています。

真性多血症（PV）について

真性多血症は、赤血球の過剰産生（赤血球増加症）を特徴とし、血液の粘度が増加（過粘稠）し、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を引き起こす可能性があります。ヘマトクリット（HCT）値は、体内の総血液量に対する赤血球の割合です。血栓症を防ぎ、重度の疲労、集中困難、夜間発汗、皮膚掻痒症などの負担のある症状を軽減するために、HCT 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。

Protagonist Therapeutics 社について

Protagonist Therapeutics 社は、後期開発段階のバイオ医薬品企業です。Protagonist Therapeutics 社の独自の発見プラットフォームから派生した 2 つの新規ペプチドが現在、第 3 相臨床試験に進んでおり、icotrokinra の新薬申請は 2025 年 7 月に FDA に提出済み、2025 年度末には rusfertide の新薬申請が予定されています。icotrokinra（旧 JNJ-2113）は、Interleukin-23 受容体（“IL-23R”）を選択的に阻害するファースト・イン・クラスの開発中の経口ペプチドであり、Johnson & Johnson グループ会社である Janssen Biotech, Inc. にライセンス供与されています。icotrokinra は、Protagonist Therapeutics 社と Johnson & Johnson の科学者による共同発見として、両社の IL-23R に関する提携のもとで生まれ、Protagonist Therapeutics 社が第 1 相試験までの開発を主に担当し、第 2 相試験以降は Johnson & Johnson が担当しています。rusfertide は、天然ホルモンであるヘプシジンのミメティックであり、現在、希少な血液疾患である真性多血症の第 3 相試験に進んでいます。rusfertide は、2024 年に締結された世界的な共同開発・ライセンス契約に基づき、武田薬品と共同開発・共同販売される予定であり、NDA 提出までの開発は Protagonist Therapeutics 社が主に担当します。同社はまた、IL-17 経口ペプチド拮抗薬 PN-881、肥満治療用トリプルアゴニストペプチド PN-477、経口ヘプシジンプログラムなど、臨床的および商業的に検証された標的に対する複数の前臨床段階の創薬プログラムを有しています。Protagonist Therapeutics 社、そのパイプライン薬候補および臨床試験に関する詳細情報は、同社ウェブサイト（<https://www.protagonist-inc.com/>）をご覧ください。

武田薬品について

武田薬品工業株式会社（[TSE: 4502/NYSE: TAK](https://www.takeda.com/jp/)）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。

Protagonist Therapeutics 社の将来の見通しに関する注意事項

本ニュースリリースには、1995 年の私的証券訴訟改革法の「セーフハーバー」規定上の意味における将来の見通しに関する記述が含まれています。これらの将来の見通しに関する記述には、

rusfertide の潜在的な利益および創薬プログラムにおける開発と発表のタイミングに関する記述が含まれます。「予想する (anticipates)」、「信じる (believes)」、「かもしれない (may)」、「するだろう (will)」、「期待する (expects)」などの将来の見通しに関する用語、またはこれらの否定形や複数形、同様の表現が含まれます。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包しており、製品候補を開発および商品化する当社の能力、Janssen 社および武田薬品との提携契約に基づくマイルストンの支払いを獲得する能力など、実際の結果や事象が予想と大きく異なる可能性があります。これらの可能性には製品候補のパイプラインを構築するためのプログラムを使用および拡張する能力、製品候補の規制当局の承認を取得および維持する能力、競争の激しい業界で事業を展開し、当社よりも多くのリソースを持つ競合他社との競争に成功する能力、および製品候補の知的財産権を取得して適切に保護する能力などを含みますが、これらに限定されません。事業に影響を及ぼすこれらおよびその他のリスク要因に関する追加情報は、米国証券取引委員会に提出された最新の Form 10-K および Form 10-Q の定期報告書に含まれる「リスク要因」の項目等、米国証券取引委員会への定期提出書類に記載されています。将来の見通しに関する記述は、将来の業績を保証するものではなく、当社の実際の業績、財務状況と流動性、および当社が事業を展開する業界の発展は、本ニュースリリースに含まれる将来の見通しに関する記述とは大きく異なる可能性があります。本ニュースリリースに記載されている将来の見通しに関する記述は、本ニュースリリースの日付時点でのものです。Protagonist Therapeutics 社は、本ニュースリリースの日付以降、新しい情報、将来の出来事、またはその他の結果として、将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。

武田薬品の重要な注意事項

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。

武田薬品の将来に関する見通し情報

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、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。

-
1. Kuykendall A, et al. Rusfertide or Placebo Plus Current Standard of Care Therapy for Polycythemia Vera: Durability of Response and Safety Results Through Week 52 From the Randomized Controlled Phase 3 VERIFY Study. Oral presentation at: American Society of Hematology Annual Meeting, December 6, 2025. Orlando, FL. Presentation ID 81.
 2. Kuykendall A, et al. Rusfertide or Placebo Plus Current Standard of Care Therapy for Polycythemia Vera: Durability of Response and Safety Results Through Week 52 From the Randomized Controlled Phase 3 VERIFY Study. Abstract accepted for oral presentation at: American Society of Hematology 2025 Annual Meeting. Orlando, FL. Abstract ID 81
 3. Pemmaraju N, et al. Long-term rusfertide treatment in polycythemia vera: Initial results from the Phase 2 THRIVE extension study . Abstract accepted for

poster presentation at: American Society of Hematology 2025 Annual Meeting.
Orlando, FL. Abstract ID 3810.