

本資料はアルジェニクス（ベルギー本社）が2020年5月26日（現地時間）に発表したプレスリリースを日本語に翻訳したもので、報道関係者の皆様への参考資料として提供するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容および解釈については英語が優先されます。原文は www.argenx.com をご参照ください。

アルジェニクス、全身型重症筋無力症患者を対象とした efgartigimod の第 III 相 ADAPT 試験の良好な主要結果を発表

- efgartigimod の第 III 相 ADAPT 試験で主要評価項目を達成 ($p < 0.0001$)
- 忍容性が高く、プラセボと同等の安全性プロファイル
- 2020 年末までに米国食品医薬品局に生物製剤承認申請書 (BLA) を提出予定
- 詳細は [こちら](#) のインターネット配信をご覧ください

ブレダ（オランダ）・ゲント（ベルギー）2020年5月26日 – 深刻な自己免疫疾患及びがん
で苦しむ患者さんの生活の質の向上を目ざし免疫領域に特化するアルジェニクス（Euronext
& Nasdaq: ARGX）は、本日、efgartigimod のピボタル臨床試験である ADAPT 試験で得られた
良好な主要データを発表しました。抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の全身型重症
筋無力症（gMG）患者を対象に、MG-ADL スケールのスコアに基づき奏効率を評価しました。
ADAPT 試験において、主要評価項目を達成しました。本試験では、MG-ADL スコアが 2 点以
上改善し、その効果が少なくとも連続 4 週間持続した患者を評価しました。この結果に基づ
き、アルジェニクスは、2020 年末までに米国食品医薬品局に生物製剤承認申請書（BLA）を
提出する予定です。

ADAPT 試験のトップラインデータ

- 抗 AChR 抗体陽性患者のうち、主要評価項目を達成した患者の割合はプラセボ群で 29.7%であったのに対し、efgartigimod 群では 67.7%でした ($p < 0.0001$)。
- 抗 AChR 抗体陽性患者のうち、QMG（定量的 MG）スコアに効果が見られた患者（レスポンドー）の割合はプラセボ群で 14.1%であったのに対し、efgartigimod 群では 63.1%でした ($p < 0.0001$)。なお、レスポンドーの定義は、「QMG スコアが 3 点以上改善し、その効果が少なくとも連続 4 週間持続した患者」です。
- 抗 AChR 抗体陽性患者のうち、症状出現を最小限とすることを達成した（「MG-ADL スコアが 0 [症状なし] 又は 1」と定義）患者の割合はプラセボ群で 11.1%であったのに対し、efgartigimod 群では 40.0%でした。
- efgartigimod は忍容性が高く、プラセボと同等の安全性プロファイルを示しました。

ADAPT 試験の治験総括医師を務める国際医療福祉大学医学部脳神経内科学の主任教授、村井弘之氏は、次のように述べています。「efgartigimod のデータから、全身型重症筋無力症患者さんにおいて迅速かつ有意な効果が得られ、また良好な忍容性プロファイルが認められました。この深刻な疾患を抱える患者さんは、生活の質に大きな影響を及ぼすような、慢性かつ生命を脅かす可能性のある筋力低下をきたすリスクがあることから、より多くの治療選択肢を必要としています。これらの心強いデータは、efgartigimod が日常生活動作に意義のある影響をもたらす可能性があることを示唆しており、大変有望といえます。efgartigimod が全身型重症筋無力症患者さんの新たな治療選択肢となることを期待しています。」

アルジェニクス社のチーフメディカルオフィサーである Wim Parys, MD は、次のように述べています。「ADAPT 試験では、efgartigimod が、全身型重症筋無力症と共に生きる患者さんのための治療パラダイムを変えられるかどうか明らかにすることを目指しています。これらのデータから、efgartigimod は迅速かつ大きな効果をもたらすことが立証されました。このことは、治療後に症状が最小限となった、あるいは全くなくなった患者さんの割合からも示唆されます。また、効果の持続期間は 8 週間又は 12 週間を超えていたことから、全身型重症筋無力症患者さんが経験する多様な疾患経過に合わせて投与スケジュールを個別化するという当社の計画の妥当性が裏付けられました。これらのデータに基づいて、本年末までに、米国食品医薬品局に efgartigimod の BLA を提出する予定です。これにより、2021 年に efgartigimod を患者さんにお届けできるという実現に向けて、さらに一歩前進することになります。ADAPT 試験にご参加くださった患者さん及び医療従事者の方々に、アルジェニクス社の社員一同、感謝の意を表します。ADAPT 試験は efgartigimod の最初のピボタル臨床試験です。これらのデータにより、全身型重症筋無力症以外の、IgG を介する重度の自己免疫疾患にも広く応用できる可能性が高まりました。」

アルジェニクスジャパン株式会社の社長であるヘルマン・ストレンガー (Hermann Strenger) は、次のように述べています。「日本の患者さんも含んだ本試験において、有意なデータが得られたことを大変嬉しく思います。米国に続き、日本の患者さんにもできる限り早期に efgartigimod をお届けできるよう、当局と連携して適切・迅速な申請・審査対応を行ってまいります。」

ADAPT 試験におけるその他の結果 (副次評価項目や事前に規定した解析などに関する結果)

- ADAPT 試験では、以下の副次評価項目についても、特に明記しない限り、抗 AChR 抗体陽性患者の efgartigimod 群において、プラセボ群と比較して統計的に有意な差が認められました。
 - 抗 AChR 抗体陽性患者と抗 AChR 抗体陰性患者の両方を含む対象集団全体における MG-ADL レスポンダー ($p < 0.0001$)
 - 臨床的に意義のある改善 (MG-ADL スコア 2 点以上の改善) が認められるまでの期間 ($p = 0.0001$)
 - MG-ADL スコアにおける早期効果出現 (治療開始後 2 週間以内に認められた効果出現) ($p = 0.0004$)
 - 再治療サイクル開始要件に合致するまでの期間については、統計的有意性は認められませんでした。
- 主要評価項目を達成した抗 AChR 抗体陽性患者のほとんどに持続的な効果が認められ、88.6%が少なくとも 6 週間、56.8%が少なくとも 8 週間、34.1%が少なくとも 12 週間にわたって効果を達成しました。
- 第 2 治療サイクルが開始された抗 AChR 抗体陽性患者のうち、プラセボ群の 25.6%に対し、70.6%が MG-ADL レスポンダーでした。

- ADAPT 試験に組み入れられた患者の 90%が ADAPT-Plus 非盲検延長試験に移行しました。
- 抗 AChR 抗体陰性患者集団における MG-ADL スコアに基づく efgartigimod レスポンダーの割合は、抗 AChR 抗体陽性患者集団と一致していましたが、この集団ではプラセボ群でより大きな効果が認められました。

ADAPT 試験の詳細なデータは、今後の学術集会で発表する予定です。

第 III 相 ADAPT 試験のデザイン

第 III 相 ADAPT 試験は、全身型重症筋無力症患者を対象に efgartigimod の安全性と有効性について検討するランダム化二重盲検プラセボ対照多施設国際共同試験です。北米、欧州、日本の全身型重症筋無力症成人患者計 167 名が試験に組み入れられ、治療を受けました。組入れ基準は、全身型重症筋無力症と確定診断されていること、また MG-ADL のスコア合計が 5 点以上であること、ランダム化前に 1 剤以上の全身型重症筋無力症治療薬（アセチルコリンエステラーゼ阻害剤、副腎皮質ステロイド又は非ステロイド性免疫抑制剤）を一定用量で使用しており、主試験の期間を通してその用量で使用することです。抗体の有無は問わず、抗 AChR 抗体が検出された患者も検出されなかった患者も組入れ可としました。

これらの患者を efgartigimod 群又はプラセボ群に 1 : 1 の比率でランダムに割り付け、主試験において計 26 週間治療を行いました。ADAPT 試験は、初回治療サイクル後にさまざまな治療サイクル数で治療を行う個別化治療法を可能にするために計画されました。治療サイクルは、efgartigimod (10mg/kg IV) 又はプラセボの週 1 回、計 4 回の投与で構成されています。臨床効果に基づいて、初回治療サイクル後の再治療サイクルを開始しました。主要評価項目は、MG-ADLスコア（「スコアが2点以上改善し、その効果が連続4週間以上持続」と定義）に対する効果が認められた抗 AChR 抗体陽性患者数としました。

26 週間の主試験終了後に患者は ADAPT Plus 非盲検延長試験に移行できるものとなりました。

efgartigimod について

efgartigimod は、疾患を引き起こす原因である免疫グロブリン G (IgG) 抗体を減らし、IgG のリサイクルを阻害するように設計された、ファースト・イン・クラスの抗体フラグメント医薬品です。efgartigimod は、全身に広く発現して IgG 抗体の分解を妨げる上で中心的な役割を担っている胎児性 Fc 受容体 (FcRn) に結合します。FcRn を遮断することで IgG 抗体値が減少するため、疾患を引き起こす IgG 抗体によって生じるいくつかの自己免疫疾患に対する論理的な治療法となる可能性があります。治療対象となる自己免疫疾患には、筋力低下を引き起こす慢性疾患である重症筋無力症 (MG)、重度の皮膚水疱を特徴とする慢性疾患である尋常性天疱瘡 (PV)、内出血や出血を伴う慢性疾患である免疫性血小板減少症 (ITP)、運動機能障害に至る神経疾患である慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (CIDP) などがあります。

重症筋無力症 (MG) について

重症筋無力症は、IgG 抗体が神経・筋肉間の情報伝達を妨害し、生命を脅かす可能性のある消耗性の筋力低下を引き起こす希少慢性自己免疫疾患です。重症筋無力症患者の 85%以上が

18ヵ月以内に全身型重症筋無力症へと進行し、症状が全身の筋肉に及んで極度の疲労をきたし、顔の表情を変えたり、話したり、飲み込んだり、動いたりすることが困難となります。命の危険がより高い症例では、呼吸を司る筋肉に影響を及ぼすこともあります。全身型重症筋無力症患者全体の80～90%に抗AChR抗体が認められます。米国では約65,000名、日本では約20,000名が重症筋無力症を抱えています。

アルジェニクスについて

アルジェニクスは、深刻な自己免疫疾患およびがんを治療するための免疫領域に特化したグローバル医薬品企業です。当社の製品とサービスを通じて、当疾患領域に苦しむ患者さんの生活の向上に貢献することを目指しています。独自の免疫学イノベーションプログラム（IIP）を介して主要な学術研究者らと協業し、免疫学領域における画期的な発見から世界的な新規抗体医薬品ポートフォリオを生み出しています。アルジェニクスは現在、複数の重篤な自己免疫疾患に対するefgartigimodや、ヤンセンと共同開発中の血液がんに対するcusatuzumabについて検討を行っています。また、治療薬フランチャイズ内において、いくつかの初期段階の治験薬の開発を進めています。アルジェニクスは、ベルギー、米国、日本に事業所があります。詳細については、www.argenx.com をご覧いただくとともに、<https://www.linkedin.com/company/argenx/>の「LinkedIn」を随時ご確認ください。

本件に関するお問い合わせ先

アルジェニクスジャパン株式会社広報代理 エデルマン・ジャパン株式会社
argenxJapanPR@edelman.com / 070 2638 2743

※本資料は、国内の報道関係者の方々を対象に、アルジェニクスの企業活動に関する情報を提供しています。一般の方に対する情報提供を目的としたものではありませんのでご了承ください。

Forward-looking Statements（将来予想に関する記述）

The contents of this announcement include statements that are, or may be deemed to be, “forward-looking statements.” These forward-looking statements can be identified by the use of forward-looking terminology, including the terms “believes,” “estimates,” “anticipates,” “expects,” “intends,” “may,” “will,” or “should” and include statements argenx makes concerning the safety, tolerability and efficacy ofefgartigimod and the results of the ADAPT trial; the timing of planned regulatory submissions with the FDA and, if approved, launch in the U.S.; the therapeutic and commercial potential ofefgartigimod; the opportunity ofefgartigimod in other severe, IgG-mediated autoimmune diseases; and the intended results of its strategy. By their nature, forward-looking statements involve risks and uncertainties and readers are cautioned that any such forward-looking statements are not guarantees of future performance. argenx’s actual results may differ materially from those predicted by the forward-looking statements as a result of various important factors, including argenx’s expectations regarding its the inherent uncertainties associated with competitive developments, preclinical and clinical trial and product development activities and regulatory approval requirements; failure to demonstrate the safety, tolerability and efficacy of argenx’s product candidates; final and quality controlled verification of data and the related analyses; the expense and uncertainty of obtaining regulatory approval, including from the U.S. Food and Drug Administration and European Medicines Agency; the possibility of having to conduct additional clinical trials; argenx’s reliance on collaborations with third parties; estimating the commercial potential of argenx’s

product candidates; argenx ' s ability to obtain and maintain protection of intellectual property for its technologies and drugs; argenx ' s limited operating history; and argenx ' s ability to obtain additional funding for operations and to complete the development and commercialization of its product candidates. A further list and description of these risks, uncertainties and other risks can be found in argenx ' s U.S. Securities and Exchange Commission (SEC) filings and reports, including in argenx ' s most recent annual report on Form 20-F filed with the SEC as well as subsequent filings and reports filed by argenx with the SEC. Given these uncertainties, the reader is advised not to place any undue reliance on such forward-looking statements. These forward-looking statements speak only as of the date of publication of this document. argenx undertakes no obligation to publicly update or revise the information in this press release, including any forward-looking statements, except as may be required by law.