



Better Health, Brighter Future

News Release

2026年3月2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、真性多血症に対するファースト・イン・クラスの治療薬となる可能性を有する rusfertide の、米国食品医薬品局による新薬承認申請受理および優先審査指定について

当社および Protagonist Therapeutics, Inc.は、2026年2月27日(米国時間)、米国食品医薬品局が、rusfertide の新薬承認申請を受理し、優先審査に指定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、本新薬承認申請の受理による当社の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

2026年3月2日

Protagonist Therapeutics 社との、真性多血症に対するファースト・イン・クラスの治療薬となる可能性を有する rusfertide の、米国食品医薬品局による新薬承認申請受理および優先審査指定について

- rusfertide はピボタル試験において、真性多血症患者さんのヘマトクリット値のコントロール、瀉血回数の減少、および患者報告アウトカム項目において有意な改善を示す
- 本申請は主に、rusfertide と標準治療の併用が対照群と比較して2倍以上の臨床的奏効率を示した第3相 VERIFY 試験および第2相 REVIVE/THRIVE 試験からの4年の有効性と安全性データの結果に基づく
- 処方薬ユーザーフィー法(PDUFA)に基づく審査終了目標日は、2026年暦年第3四半期(2026年7-9月)

武田薬品工業株式会社(以下、「武田薬品」と)と Protagonist Therapeutics, Inc. (以下、「Protagonist Therapeutics 社」)は、2026年2月27日(米国時間)、米国食品医薬品局(FDA)が、rusfertide の新薬承認申請(NDA)を受理し、優先審査に指定したことをお知らせします。rusfertide は、真性多血症(PV)の成人患者さんを対象とした開発中のファースト・イン・クラスのヘプシジンのペプチド模倣薬です。FDA は、処方薬ユーザーフィー法(Prescription Drug User Fee Act; PDUFA)に基づく審査終了目標日を2026年暦年第3四半期(2026年7-9月)に設定しています。加えて、rusfertide はFDAより、ブレイクスルーセラピー、希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)およびファストトラックの指定を受けています。

PV は、赤血球が過剰に産生される赤血球増加症によって特徴づけられ、血液の粘度または濃度が上昇し、生命を脅かす血栓症を引き起こす可能性があります。ヘマトクリット値は、血液全体に占める赤血球の割合を示す指標です。PV では、血栓症を防ぎ負担の大きい症状を軽減するために、ヘマトクリット値を45%未満に減少させ、維持することが主要な治療目標です。

武田薬品のリサーチ&デベロップメント プレジデントであるアンドリュー・プランプは、「PV では、ヘマトクリット値をコントロールする治療選択肢が限られており、患者さんの症状による負担も大きいことから、革新的な治療オプションに対する切実なニーズが存在しています。FDA による本申請の受理は、患者さんの臨床的アウトカムや生活の質(QOL)の意義のある改善を達成し得るファースト・イン・クラスの治療を提供できる可能性に、一歩近づいたことを意味します。このマイルストーンは Protagonist Therapeutics 社とのパートナーシップの順調な進展、および依然として大きなアンメット・ニーズが存在する血液がん領域において、革新的な治療法の開発を前進させるという武田薬品の揺るぎないコミットメントを示すものです」と述べています。

本申請は主に、第3相グローバル無作為化 VERIFY 試験(NCT05210790)の [32週時点の主要解析](#) および [52週時点の結果](#)、ならびに第2相 REVIVE 試験(NCT04057040) および長期投与 THRIVE 試験(NCT06033586)からの4年の有効性と安全性データの結果に基づいています。VERIFY 試験では、標準治療群と比較し、rusfertide に標準治療を併用した治療群は高い奏効率を示し、ヘマトクリット値のコントロール、瀉血回数の減

少、および事前指定された疲労および症状による負担に関する患者報告アウトカム項目の改善を含む、主要評価項目および4つの主要な副次評価項目すべてを達成しました。また、rusfertide は52週間の治療期間を通じて概ね良好な忍容性を示しました。最も多く認められた治療に伴う有害事象(AE)は、局所注射部位反応(47.4%)、貧血(25.6%)、疲労(19.6%)であり、いずれも主にグレード1または2でした。重篤な有害事象は、全体の8.1%の患者さんで発現しました。

Protagonist Therapeutics 社の社長兼 CEO である Dinesh V. Patel Ph.D.は、「rusfertide は、PV のアンメット・ニーズに応えるため、ヘプシジン模倣という新規メカニズムの探索からペプチドの創製、そして新薬承認申請に至るまでの臨床開発を推進してきた Protagonist Therapeutics 社のエンドツーエンドの専門性を体現するものです。FDA が rusfertide を優先審査に指定したことを大変喜ばしく思っており、2026 年中の承認の可能性を期待しています。我々は、武田薬品という素晴らしいパートナーを迎え、rusfertide が本マイルストーンに向けて前進していることを大変心強く思います。今回の進展は、概念段階から商業化に至るまで 10 年以上にわたって続けてきた私たちの努力が、成功の形で結実しつつあることを示しています」と述べています。

2024 年 1 月、Protagonist Therapeutics 社と武田薬品は rusfertide に関する全世界でのライセンスおよび提携契約を締結しました。Protagonist Therapeutics 社は rusfertide を創製し、第 3 相臨床試験までの開発を主導し、武田薬品は、米国における新薬承認申請の戦略の実施および今後の全世界での規制当局に対する申請を主導する役割を担っています。Protagonist Therapeutics 社は、米国において 50:50 のプロフィットシェアで共同販売する権利を有し、またこのプロフィットシェアからオプトアウトする権利を有します。本契約に基づき、Protagonist Therapeutics 社がオプトアウト権を行使した場合、武田薬品は全世界でのライセンスを取得します。

rusfertide について

rusfertide は、鉄の恒常性および赤血球産生を調節する天然型ホルモンであるヘプシジンの作用を模倣するファースト・イン・クラスの開発中皮下注射薬です。真性多血症における鉄代謝異常の根本的なメカニズムに作用することで、過剰な赤血球産生を抑制し、持続的なヘマトクリット値のコントロールを目指します。週 1 回の皮下自己注射で投与され、これまでの臨床試験では概ね良好な忍容性が示されています。

VERIFY 試験について

現在進行中の第 3 相 VERIFY 試験(NCT05210790)は、真性多血症患者さん 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。156 週以降も rusfertide の効果が継続して認められる患者さんに対しては、投与が継続されました。この試験では、瀉血、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 週の間瀉血を要しない患者さんの割合でした。瀉血適応性を満たすためには、試験参加者はヘマトクリット値が 45%以上かつベースラインよりも 3%以上高いこと、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フェーズへの参加が完了し、オープンラベルの構成に移行しています。

REVIVE 試験と THRIVE 試験について

第 2 相 REVIVE 試験(NCT04057040)は、成人の真性多血症患者さんを対象に rusfertide を評価した 3 部構成試験です。パート 1(28 週間)は用量探索で 70 名、パート 2(13 週間)は二重盲検プラセボ対照無作為化離脱試験で 59 名、パート 3(52 週間)はオープンラベル拡張で 58 名が参加しました。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(PV)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。

武田薬品について

武田薬品工業株式会社(TSE: 4502/NYSE: TAK)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、ICOTYDE™ (icotrokinra)と rusfertide の新薬承認申請は FDA により審査中です。ICOTYDE 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。ICOTYDE 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、ファースト・イン・クラスのヘプシジンのミメティックであり、2024 年に締結された世界的なライセンスおよび提携契約に基づき、武田薬品と共同開発しています。Protagonist Therapeutics 社は、米国において 50:50 のプロフィットシェアで共同販売する権利を有し、またこのプロフィットシェアからオプトアウトする権利を有します。同社はまた、経口 IL-17 ペプチド拮抗薬、肥満治療用デュアル・トリプルアゴニスト、経口ヘプシジン機能ミメティック、および近日にお知らせした IL-4・アミリンプログラムなど、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、薬価、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。

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。

以上