



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結している F. ホフマン・ラ・ロシュ社が 2017 年 4 月 17 日（バーゼル発）に発表したプレス・リリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることをご留意ください。  
原文は、<http://www.roche.com/media/store/releases.htm> をご覧ください。

2017 年 4 月 17 日

## 小児の血友病 A 患者さんを対象とした エミシズマブの第 III 相臨床試験の良好な中間成績を発表

ロシュ社は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する 12 歳未満の血友病 A 患者を対象に、エミシズマブによる出血予防効果を評価する第 III 相臨床試験（HAVEN 2 試験）の中間成績を発表しました。投与期間中央値が 12 週を超えた時点での中間集計の結果、エミシズマブの定期予防投与により、臨床的に意義のある出血回数の減少が示されました。本試験で得られた知見は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する 12 歳以上の血友病 A 患者を対象とした HAVEN 1 試験で得られたものと同様でした。HAVEN 1 試験において、エミシズマブ定期予防投与は、エミシズマブ非投与およびバイパス止血剤の定期予防投与と比較し、統計学的に有意かつ臨床的に意義のある出血回数の減少を示しました。HAVEN 2 試験において最も多く確認された有害事象は、注射部位反応および鼻咽頭炎でした。

HAVEN 2 試験は、エミシズマブの 2 つ目の第 III 相臨床試験です。HAVEN 1 試験の成績および HAVEN 2 試験の中間成績は、今後開催される医学会にて発表されるとともに、承認申請に向けて規制当局へ提出される予定です。

### 【現在進行中のエミシズマブに関する他の第 III 相臨床試験について】

- HAVEN 3 試験：インヒビターを保有しない 12 歳以上の患者さんを対象に、週 1 回または 2 週に 1 回のエミシズマブ投与による出血予防を評価
- HAVEN 4 試験：インヒビター保有または非保有の 12 歳以上の患者さんを対象に、4 週に 1 回のエミシズマブ投与による出血予防を評価

### 【HAVEN 2 試験（NCT02795767）について】

HAVEN 2 試験は、エミシズマブの週 1 回の皮下注投与による有効性、安全性および薬物動態を評価する単群オープンラベル多施設共同第 III 相臨床試験です。中間集計は、バイパス止血剤による治療が必要な 12 歳未満のインヒビターを保有する血友病 A 患者さん 19 名を対象に、投与期間中央値が 12 週を超えた時点で実施されました。本試験の目的は、エミシズマブの定期予防投与に伴う、出血回数、安全性、薬物動態、健康に関連する生活の質（HRQoL）および介護者の負担面に関する HRQoL 評価です。本試験は、計 60 名の小児患者さんを登録予定であり、最終解析は 52 週間のエミシズマブ投与成績を基に実施されます。

### 【概要】

- エミシズマブの定期予防投与により、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する小児血友病 A 患者さんの出血回数を減少
- 血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する成人および青年期血友病 A 患者さんにおけるエミシズマブの治療成績と同様の結果

以上