



2017年11月17日

各位

HEMLIBRA® (エミシズマブ)、FDA より インヒビター保有の血友病 A に対する承認を世界で初めて取得

[中外製薬株式会社](#) (本社：東京、代表取締役会長 CEO：永山 治) は、バイスペシフィック抗体エミシズマブ (米国製品名：HEMLIBRA®) に関して、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小児の血友病 A (先天性血液凝固第 VIII 因子欠乏症) 患者さんに対する週 1 回の皮下投与による予防投与療法に対し、米国食品医薬品局 (FDA) が承認したことをお知らせいたします。なお、エミシズマブの承認取得は、今回が世界初となります。FDA への承認申請は、ロシュ・グループのメンバーである[ジェネンテック社](#)が行いました。

代表取締役社長 最高執行責任者の小坂 達朗は、「当社研究員のユニークな着想を基に生まれたバイオ医薬品である HEMLIBRA が、このたび世界で初めて承認されたことを大変喜ばしく思います」と語るとともに「HEMLIBRA は、既存の血友病治療に新しい風を吹き込むファーストインクラスの治療薬です。治療選択肢が限られているインヒビター保有の患者さんに、出血リスクの低減、週 1 回の皮下投与による利便性など、HEMLIBRA のベネフィットを広く享受いただけることを期待しています」と述べています。

このたびの承認取得は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する血友病 A 患者さんを対象に、ロシュ社およびジェネンテック社と共同で実施した第 III 相国際共同治験 HAVEN 1 (NCT02622321) の試験成績、および第 III 相国際共同治験 HAVEN 2 (NCT02795767) の中間解析結果に基づいています。HAVEN 1 試験は、青年期および成人の患者さん、HAVEN 2 試験は小児の患者さんを対象としています。HAVEN 1 試験では、HEMLIBRA 定期投与群 (n=35) において、定期投与非実施群 (n=18) と比較し、主要評価項目である治療を要した出血の頻度が 87% 減少 (95% CI : 72.3-94.3, p<0.0001) し、統計学的に有意な出血頻度の減少が認められました。一方、HAVEN 2 試験の中間解析結果では、HEMLIBRA 定期投与群 (n=23) において、87% (95% CI : 66.4-97.2) が出血ゼロを達成しました。なお、これら両試験において、HEMLIBRA の定期投与を受けた 10% を超える患者さんで注射部位反応、頭痛および関節痛の発現が認められました。

HEMLIBRA は、2015 年 9 月に FDA より画期的治療薬 (Breakthrough Therapy) に指定され、優先審査対象品目として審査がなされました。欧州では本年 6 月に HAVEN 1 および HAVEN 2 試験の成績を基に欧州医薬品庁へ承認申請済みであり、迅速審査 (Accelerated Assessment) の指定を受けています。日本では、2016 年 8 月に「インヒビターを保有する先天性血液凝固第 VIII 因子欠乏患者における出血傾向の抑制」を対象に、厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されており、本年 7 月に厚生労働省への承認申請を行っています。

以上