



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 12 月 9 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/med-cor-2017-12-09.htm> をご覧ください。

2017 年 12 月 11 日

Hemlibra、インヒビター保有血友病 A における 出血回数減少を持続

ロシュ社は 9 日、第 59 回米国血液学会総会（The American Society of Hematology : ASH）において、現在実施中の Hemlibra®（emicizumab）に関する臨床試験の新しいデータを発表しました。発表データには、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター保有血友病 A に対する主要な臨床試験である HAVEN 1 試験 および HAVEN 2 試験の長期データが含まれ、Hemlibra の週 1 回皮下投与により、バイパス止血剤（BPA）による既存治療（定期投与または出血時止血投与）に比較し、より優れた効果が示されました。

従来の報告から追加 40 例、追加フォローアップ期間 6 カ月からなる HAVEN 2 試験のアップデートでは、インヒビターを保有する小児（12 歳未満）血友病 A 患者（n=57）のうち、94.7%（95% CI: 85.4; 98.9）において、治療を要した出血回数ゼロを達成しました。また、同一の小児（n=13）において異なる治療の効果を患者内比較した結果、バイパス製剤による定期投与（n=12）または出血時止血投与（n=1）による前治療に対し、Hemlibra への投与切り替え後、治療を要した出血が 99%減少しました。

約 10 カ月の追加フォローアップを実施した HAVEN 1 試験のアップデートでは、成人および青年期の患者内比較の結果、バイパス製剤の定期投与（n=24）による前治療に対し、Hemlibra への投与切り替え後、治療を要した出血が 88%（risk rate [RR]=0.12, 95% CI: 0.05; 0.28）減少しました。また、バイパス製剤の出血時止血投与（n=24）による前治療に対し、Hemlibra への投与切り替え後、治療を要した出血が 95%（RR=0.05, 95% CI: 0.02; 0.12）減少しました。

実施中の第 III 相臨床試験である HAVEN 4 試験の薬物動態評価コホートでは、12 歳以上のインヒビター保有または非保有の血友病 A 患者に Hemlibra を 4 週に 1 回投与した結果、予測された通りの血中濃度（薬物動態）が示されました。

本フォローアップ時点で HAVEN 1 試験および HAVEN 2 試験で最も多く見られた有害事象は、これまでに観察されたものと同様でした。また、HAVEN 4 試験の薬物動態評価コホートで、安全性に関し予期せぬ事象は認められませんでした。HAVEN 1 試験において新たな血栓性微小血管症や血栓塞栓関連事象は認められず、HAVEN 2 試験および HAVEN 4 試験においても報告はありませんでした。

【Hemlibra (emicizumab) について】

- Hemlibra は米国での製品名であり、承認申請者はジェネンテック社です。
- 国内では、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月に製造販売承認申請を行っています。

上記本文中に記載された製品名は、法律により保護されています。

以上