



2019年10月18日

各位

## 血友病 A 治療薬ヘムライブラ、 インヒビター非保有/保有の小児の使用に関するデータを論文発表

- ・ 中外製薬主導の国内治験 HOHOEMI 試験により示された、インヒビター非保有の血友病 A 小児を対象とするデータを Haemophilia 電子版に掲載
- ・ 国際共同治験 HAVEN 2 試験により示された、インヒビター保有の血友病 A 小児を対象とするデータを Blood 電子版に掲載

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：小坂 達朗）は、自社創製品の血友病 A 治療薬ヘムライブラ<sup>®</sup>について、小児の使用における 2 つのデータが論文発表されたことをご知らせいたします。

上席執行役員プロジェクト・ライフサイクルマネジメント共同ユニット長の伊東 康は、「従来、血友病 A の標準的な治療は週に数回の静脈注射を伴い、特に血管確保が困難な小児における治療上の課題となっていました。より長い投与間隔で皮下投与可能なヘムライブラの小児におけるデータが国際的な学術誌に掲載されたことを嬉しく思います」と述べるとともに、「とりわけ、インヒビター非保有の小児における使用成績は、中外製薬が日本で実施した HOHOEMI 試験により世界で初めて検討されたものです。今後も、患者さんや医療関係者の方々に安心して使用いただけるように、科学性に優れた臨床研究に取り組んでまいります」と語っています。

### <発表の概要>

1. 中外製薬主導の国内臨床第 III 相試験（HOHOEMI 試験）
  - ジャーナル：Haemophilia 電子版（2019年9月12日付）
  - タイトル：A multicentre, open-label study of emicizumab given every 2 or 4 weeks in children with severe haemophilia A without inhibitors
  - URL：<https://doi.org/10.1111/hae.13848>
  - 試験概要：
    - ・ 第 VIII 因子製剤未治療の乳児を含むインヒビター非保有の血友病 A 小児を対象にヘムライブラの 2 週に 1 回または 4 週に 1 回の皮下投与による有効性、安全性および薬物動態を評価する国内試験
    - ・ 治療を要した出血の年間出血率（95%信頼区間）は 2 週間隔投与（n=6）で 1.3（0.6～2.9）、4 週間隔投与（n=7）で 0.7（0.2～2.6）であった。
    - ・ 最も多く認められた有害事象は、挫傷（76.9%）、鼻咽頭炎（38.5%）並びに擦過傷及び転倒（30.8%）であった。

## 2. グローバル臨床第 III 相試験 (HAVEN 2 試験)

- ジャーナル : Blood 電子版 (2019 年 10 月 10 日付)
- タイトル : A multicenter, open-label, phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors
- URL : <https://doi.org/10.1182/blood.2019001869>
- 試験概要 :
  - ・ インヒビター保有の血友病 A 小児を対象に、ヘムライブラを週 1 回、2 週に 1 回または 4 週に 1 回定期的に皮下投与した際の有効性、安全性および薬物動態を評価する国際共同治験
  - ・ 治療を要した出血の年間出血率 (95%信頼区間) は 1 週間隔投与 (n=65) で 0.3 (0.17~0.50)、2 週間隔投与 (n=10) で 0.2 (0.03~1.72)、4 週間隔投与 (n=10) で 2.2 (0.69~6.81)であった。
  - ・ 登録された 88 例において、最も多く認められた有害事象は鼻咽頭炎 (37.5%) 及び注射部位反応 (29.5%) であった。

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