



2017年7月21日

各位

二重特異性モノクローナル抗体「エミシズマブ（遺伝子組換え）」 インヒビター保有の先天性血友病 A を対象とした 製造販売承認申請について

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役会長 CEO：永山 治）は、血友病 A を対象として開発中の抗血液凝固第 IXa/X 因子ヒト化二重特異性モノクローナル抗体エミシズマブ（遺伝子組換え）（開発コード：ACE910）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」を予定効能・効果として、本日、厚生労働省へ製造販売承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

今回の承認申請は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター保有の先天性血友病 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 相国際共同試験である HAVEN 1 試験（NCT02622321）の結果、および HAVEN 2 試験（NCT02795767）の中間解析結果を主要な評価として用い、行われました。HAVEN 1 試験は、青年期／成人の患者さん（12 歳以上）、HAVEN 2 試験は小児の患者さん（12 歳未満）を対象に、エミシズマブを週 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の評価を目的にそれぞれ実施されました。

なお、HAVEN 1 試験の結果は、2017 年 7 月に The New England Journal of Medicine (NEJM) 電子版に掲載されています。

<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1703068>

エミシズマブ／ACE910 について

エミシズマブは、当社独自の抗体改変技術を用いて創製されたバイスペシフィック抗体です。本剤は活性型第 IX 因子と第 X 因子に結合し、活性型第 IX 因子による第 X 因子の活性化反応を促進することで、血友病 A で欠損または機能異常を来している第 VIII 因子の補因子機能を代替します^{1,2)}。また本剤は、「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、2016 年 8 月に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けるとともに、「12 歳以上で血液凝固第 VIII 因子のインヒビターを保有する血友病 A 患者さんに対する予防投与療法」として、2015 年 9 月に米国食品医薬品局（FDA）より画期的治療薬（Breakthrough Therapy）に指定されています。

【参考文献】

- 1) Kitazawa, et al. Nature Medicine 2012; 18(10): 1570
- 2) Sampei, et al. PLoS ONE 2013; 8: e57479

以上