



2018年1月29日

各位

## HEMLIBRA<sup>®</sup>、 インヒビター保有の血友病 A に対し CHMP より承認勧告を受領

[中外製薬株式会社](#)（本社：東京、代表取締役会長 CEO：永山 治）は、ロシュ社が欧州医薬品委員会（CHMP）より、HEMLIBRA<sup>®</sup>（エミシズマブ）の定期投与による血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する血友病 A 患者における出血予防を適応症として、承認勧告を受領したことをお知らせいたします。CHMP は、すべての年齢層の患者さんに HEMLIBRA を投与することを推奨しています。

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ユニット長の伊東 康は、「米国での昨年 11 月の承認に続き、間もなく欧州でも HEMLIBRA が承認される見込みとなったことを喜ばしく思います」と述べるとともに、「インヒビター保有の血友病 A に対する既存治療は週に複数回の静脈内投与が必要であり、患者さんやそのご家族にとって負担となっています。週に一度の皮下投与で治療が可能な HEMLIBRA を、できるだけ早く患者さんにお届けできるよう、ロシュ社と協働してまいります」と語っています。

なお、本勧告は、インヒビター保有血友病 A に対する二つの主要な第 III 相国際共同試験である、青年期/成人を対象とした HAVEN 1 試験（NCT02622321）、および小児を対象とした HAVEN 2 試験（NCT02795767）の中間解析結果に基づいています。

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、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<sup>1,2)</sup>。また本剤は、「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（先天性第 VIII 因子欠乏症）患者に対する週 1 回の皮下投与による予防投与療法」として、2017 年 11 月に米国食品医薬品局より承認を取得しています（米国製品名：HEMLIBRA<sup>®</sup>、承認申請者：ジェネンテック社）。欧州においては、インヒビター保有の血友病 A 患者さんを対象として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、2017 年 7 月に製造販売承認申請を行っています。

### 【HAVEN 1 試験結果および HAVEN2 試験の中間結果について】

2017 年 6 月 26 日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20170626140000.html>

### 【参考文献】

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

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