



2018年4月26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の血友病 A に対する適応拡大および 投与間隔延長の承認申請について

[中外製薬株式会社](#)（本社：東京、代表取締役社長 CEO：小坂 達朗）は、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 血液凝固第 VIII 因子機能代替製剤「ヘムライブラ® 皮下注 30mg、同 60mg、同 90mg、同 105mg、同 150mg」〔一般名：エミシズマブ（遺伝子組換え）〕（以下、ヘムライブラ）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しない血友病 A における出血傾向の抑制の効能・効果追加、および、インヒビターを保有する血友病 A に対する 2 週または 4 週 1 回投与の用法・用量追加について、本日、厚生労働省へ承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

今回の申請は、HAVEN 3 試験（NCT02847637）および HAVEN 4 試験（NCT03020160）の成績に基づいています。HAVEN 3 試験は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有しない 12 歳以上の血友病 A の方々を対象に、ヘムライブラを週 1 回または 2 週に 1 回皮下投与した第 III 相国際共同試験です。HAVEN 4 試験は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター保有／非保有の 12 歳以上の血友病 A の方々を対象に、4 週 1 回のヘムライブラ定期投与の有効性、安全性および薬物動態を検討した第 III 相国際共同試験です。これらの結果から、効能・効果の追加を目指すインヒビターを保有しない血友病 A については 1 週、2 週または 4 週間隔の皮下投与での適応拡大、既に 1 週間隔の皮下投与で承認を取得しているインヒビター保有の血友病 A については、2 週または 4 週間隔の皮下投与の用法・用量追加を申請しています。

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共同ユニット長の伊東 康は、「先ごろ米国食品医薬品局（FDA）からインヒビター非保有の血友病 A に対する開発について、ヘムライブラは画期的治療薬に指定されました。日本において適応拡大の申請ができたことを大変嬉しく思います」と述べるとともに「今回の二つの申請は、インヒビターの有無に関わらず、1 週、2 週または 4 週間隔での皮下投与という用法・用量での承認取得を目指すものです。中外製薬では、インヒビター非保有の血友病 A の方々にヘムライブラを新たな治療選択肢としてお届けするとともに、投与間隔の延長という利便性を一日も早くご提供できるよう、承認取得に向けて取り組んでまいります」と語っています。

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

【参考情報】

HAVEN 3 試験結果について

2017年11月20日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20171120151500.html>

HAVEN 4 試験結果について

2017年12月7日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20171207150000.html>

インヒビターを保有する血友病Aに対する「ヘムライブラ皮下注」国内承認について

2018年3月23日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20180323150000.html>

米国におけるインヒビター非保有に対する画期的治療薬指定について

2018年4月17日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20180417140000.html>