



2018年10月5日

各位

HEMLIBRA®、米国におけるインヒビター非保有の血友病 A に対する適応追加について

[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、当社が創製した血友病 A 治療薬 HEMLIBRA®（米国一般名：emicizumab-kxwh）に関して、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター非保有の成人あるいは小児の血友病 A に対する週 1 回、2 週に 1 回または 4 週に 1 回の皮下投与による予防療法を米国食品医薬品局（FDA）が承認したことをお知らせいたします。あわせて、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター保有の成人あるいは小児の血友病 A に対する 2 週または 4 週に 1 回の用法用量の追加も承認されました。FDA への承認申請は、ロシュ・グループのメンバーである [ジェネンテック社](#) が行いました。

代表取締役社長 最高経営責任者の小坂 達朗は、「このたび HEMLIBRA が、インヒビター非保有の血友病 A の方々に対しても、世界で初めて承認されたことを大変喜ばしく思います」と語るとともに「また、今回の承認により、インヒビターの有無に関わらず、米国の血友病 A の方々に対し複数の投与間隔の選択肢をご提示できることとなり、それぞれの方の状況に合わせてお選びいただくことが可能となりました。HEMLIBRA が、血友病 A の治療にさらなる貢献を果たしていくことを願っています」と述べています。

このたびの承認取得は、ロシュ社/ジェネンテック社と共同で実施された第 III 相国際共同治験 HAVEN 3 試験（NCT02847637）および HAVEN 4 試験（NCT03020160）の結果に基づいています。HAVEN 3 試験は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター非保有の 12 歳以上の血友病 A の方々を対象に、HEMLIBRA の週 1 回または 2 週に 1 回皮下投与による出血抑制効果を検討しました。HAVEN 4 試験では、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 HEMLIBRA 定期投与の有効性、安全性および薬物動態を検討しました。

HEMLIBRA は、インヒビター保有の血友病 A に続き、インヒビター非保有の血友病 A に対しても FDA より画期的治療薬（Breakthrough Therapy）に指定され、優先審査対象品目として審査がなされました。FDA による優先審査指定は、重篤な疾患の治療や予防、診断において、有効性あるいは安全性に顕著な改善をもたらす可能性があると判断された医薬品に行われるものです。日本および欧州においても、インヒビター非保有の血友病 A の適応拡大およびインヒビター保有の血友病 A における 2 週または 4 週 1 回投与の用法・用量追加について承認申請済みであり、現在審査中です。

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