



2021年10月1日

各位

ヘムライブラ、後天性血友病 A に対する希少疾病用医薬品に指定

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）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[®] [一般名：エミズマブ（遺伝子組換え）] が、「後天性血液凝固第 VIII 因子欠乏患者における出血傾向の抑制」を対象として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けたことをお知らせいたします。現在、国内第 III 相臨床試験を実施しています。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「後天性血友病 A は、第 VIII 因子に対する自己抗体（インヒター）が生じることで発症する疾患です。重篤な出血を引き起こしうる疾患ですが、基礎疾患や既存治療への抵抗性などのさまざまな理由で十分な治療を受けられない方々がいらっしゃり、治療選択肢の拡充が求められてきました」と述べるとともに、「ヘムライブラは、中外製薬独自のバイスペシフィック抗体技術を用い、出血リスクを低減できるよう設計された医薬品です。すでに承認された先天性血友病 A に続き、後天性血友病 A の方々に一日も早く新しいメカニズムによる治療をお届けできるよう、引き続き臨床開発に尽力してまいります」と語っています。

ヘムライブラについて

ヘムライブラは、当社独自の抗体エンジニアリング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)}。本剤は、2017 年 11 月に米国食品医薬品局（FDA）より血液凝固第 VIII 因子に対するインヒターを保有する成人および小児の血友病 A（先天性血液凝固第 VIII 因子欠乏症）における予防投与療法に対し世界で初めて承認されました。本邦では、2018 年 3 月に承認され、その後、インヒター非保有の先天性血友病 A に対しても適応が拡大されています。現在ではインヒター保有・非保有の先天性血友病 A に対して、あわせて世界 100 カ国以上で承認されています。

後天性血友病 A について

後天性血友病 A は後天的に血液凝固第 VIII 因子に対する阻害物質（インヒター）が出現し、その結果、第 VIII 因子活性が著しく低下して、突発的な皮下出血や筋肉内出血などの出血症状を呈する疾患であり、重篤な出血もまれではありません。その本態は膠原病や悪性腫瘍、分娩などを背景に第 VIII 因子に対する自己抗体が産生される自己免疫疾患です^{3, 4)}。出血リスク低減のために、インヒターの消失を目的とした免疫抑制療法を行う必要がありますが、免疫抑制療法は重症感染症を引き起こすリスクを伴い、急性期の感染症コントロールの重要性が指摘されています⁵⁾。ヘムライブラはインヒターの影響を受けずに出血抑制効果を発揮するよう設計されており、免疫抑制療法を含めた既存の治療戦略を変えることを目指しています。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について

医薬品医療機器等法に基づき厚生労働大臣から希少疾病用医薬品として指定を受け、優先的に審査される医薬品です。指定には、当該医薬品の用途に係る対象者数が本邦において5万人未満であること、重篤な疾病を対象とするとともに、代替する適切な医薬品または治療法がない、又は、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性または安全性が期待される等、医療上の必要性が高いこと、対象疾病に対して当該医薬品を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められることが必要とされています。

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。

出典

- 1) Kitazawa, et al. Nature Medicine 2012; 18(10): 1570
- 2) Sampei, et al. PLoS ONE 2013; 8(2): e57479
- 3) Franchini M, Veneri D. Acquired coagulation inhibitor-associated bleeding disorders: an update. Hematology 2005;10:443-9.
- 4) Cohen AJ, Kessler CM. Acquired inhibitors. Baillieres Clin Haematol 1996;9:331-54.
- 5) 田中一郎, 天野景裕, 瀧正志, 岡敏明, 酒井道生, 白幡聡, 他. わが国における後天性凝固因子インヒビターの実態に関する3年間の継続調査—予後因子に関する検討. 血栓止血誌 2008;19:140-53.

以上