



2021年11月11日

各位

血友病 A 治療薬「ヘムライブラ」、 後天性血友病 A に対する治療薬として適応拡大申請

- ・ 後天性血友病 A に対する国内第 III 相臨床試験 AGEHA 試験の成績に基づく適応拡大申請
- ・ 希少疾病用医薬品として優先審査の対象

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）] について、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に対する適応拡大の申請を、本日、厚生労働省に行いましたのでお知らせいたします。なお、同適応症に対しては、本年 10 月に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けており、優先審査の対象となります。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「後天性血友病 A は国の指定難病に含まれる、アンメットメディカルニーズの高い疾患です。治療選択肢の拡充が求められてきた後天性血友病 A に対し、今般、ヘムライブラの承認申請を実施できたことを嬉しく思います」と述べるとともに、「2018 年に発売したヘムライブラは、小児および成人の先天性血友病 A に対する治療選択肢の一つとして広く用いられています。ヘムライブラが後天性血友病 A の治療に対しても貢献できるよう、承認取得に向け引き続き尽力してまいります」と語っています。

今回の承認申請は、後天性血友病 A を対象として実施中の国内第 III 相臨床試験 AGEHA 試験の成績に基づいています。

【参考情報】

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（2021 年 10 月 1 日プレスリリース）
https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20211001170000_1139.html

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ビ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、インヒビ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。現在ではインヒビター保有・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（インヒビター）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、インヒビ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ビ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。

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