

すべての革新は患者さんのために



Roche ロシュ グループ

2022年6月20日

各位

ヘムライブラ、後天性血友病 A に対する適応追加の承認を取得

- ・ 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承認
- ・ 後天性血友病 A は自己免疫性後天性凝固因子欠乏症（指定難病 288）の一つ

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、「後天性血友病 A 患者における出血傾向の抑制」に対する適応追加の承認を本日、厚生労働省より取得しましたのでお知らせいたします。ヘムライブラは、2021 年 10 月に希少疾病用医薬品の指定を受けており、優先審査の下、同年 11 月の承認申請後 7 カ月で承認を取得しました。

後天性血友病 A は、国の指定難病である自己免疫性後天性凝固因子欠乏症（指定難病 288）の一つであり、血液凝固第 VIII 因子に対する阻害物質（自己抗体）が後天的に生じてしまうことで、血液凝固反応が正常に進まず、突発的な出血が反復して生じる疾患です。主な治療法として、自己抗体の産生を抑える免疫抑制療法、バイパス止血製剤（第 VIII 因子を迂回した血液凝固反応を誘導する医薬品）による出血時の止血療法等が実施されます。重篤な出血が多く、重要な臓器の出血が生命にかかわりうる疾患である一方で、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場合があり、治療選択肢の拡充が求められてきました。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「中外製薬独自のバイスペシフィック抗体技術を用いて創製したヘムライブラを、先天性血友病 A に続き、後天性血友病 A の治療薬としてもお届けできることを大変嬉しく思います。診断後早期から出血をコントロールする有効な手段が追加されたことは、後天性血友病 A の治療戦略に柔軟性をもたらし、患者さんの状況に応じたより良い治療の実現につながるものと確信しています」と述べるとともに、「革新的医薬品で患者さんに新しい価値をお届けすることが、中外製薬のミッションです。治療を待ち望む患者さんにお応えできるよう、引き続きイノベーションの実現に全力で取り組んでいきます」と語っています。

今回の承認は、後天性血友病 A を対象に実施された国内第 III 相臨床試験である AGEHA 試験の成績に基づいています。AGEHA 試験の主要解析の結果は、英国・ロンドンとオンラインで開催される第 30 回国際血栓止血学会（ISTH：International Society on Thrombosis and Haemostasis、7 月 9 日 - 13 日）にて 7 月 11 日に発表します。

電子化された添付文書情報 ※後天性血友病 A の部分のみ記載

効能又は効果：後天性血友病 A 患者における出血傾向の抑制

用法及び用量：〈後天性血友病 A 患者における出血傾向の抑制〉

通常、エミシズマブ（遺伝子組換え）として 1 日目に 6 mg/kg（体重）、2 日目に 3 mg/kg（体重）を皮下投与し、8 日目から 1 回 1.5 mg/kg（体重）を 1 週間の間隔で皮下投与する。

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}。

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.

以上