



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結しているエフ・ホフマン・ラ・ロシュ社が12月16日（バーゼル発）に発表したプレス・リリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることにご留意ください。

原文は、<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2022-12-16>をご覧ください。

2022年12月27日

各位

## ヘムライブラ、欧州における中等症の血友病 A への適応拡大について CHMP が承認勧告

ロシュ社は12月16日、欧州医薬品庁（EMA）の欧州医薬品委員会（CHMP）がヘムライブラ®（一般名：エミズマブ）の欧州（EU）での適応拡大の承認を勧告したことを発表しました。承認された場合、ヘムライブラは、重度の出血の表現型を伴う中等症（血液凝固第 VIII 因子が1%から5%）で、第 VIII 因子に対するインヒビターを保有しない血友病 A（先天性血液凝固第 VIII 因子欠乏症）における出血に対する定期予防療法に対しても適応が拡大されます。中等症の血友病 A は血友病 A 全体の約 14% と推定されています<sup>1</sup>。

CHMP の承認勧告は、第 III 相 HAVEN 6 試験の結果に加え、リアルワールドデータに基づいています。HAVEN6 試験の結果から、ヘムライブラは出血抑制を目的とする治療が臨床上必要とされた、第 VIII 因子に対するインヒビターを保有せず重症でない血友病 A の方における有効な出血コントロールと良好な安全性プロファイルを示しました<sup>2</sup>。ヘムライブラの承認に関する欧州委員会（EC）の最終決定は近い将来になされる見込みです。承認された場合、欧州における重度の出血の表現型を有する中等症の血友病 A の方々に、出血抑制を目的とした治療の選択肢が提供されます。

### 【参考：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<sup>3,4</sup>。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として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、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 110 カ国以上で承認されています。

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. World Federation of Hemophilia. Report on the annual global survey 2020. [Internet; cited 2022 December] Available from <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2045.pdf>
2. Hermans C, et al. Efficacy of Emicizumab Prophylaxis for the Treatment of People with Moderate or Mild Hemophilia A without Factor VIII Inhibitors: Results from the

Primary Analysis of the HAVEN 6 Study. Presented at: International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) Congress; 2022 July 11. Abstract OC 30.5.

3. Kitazawa, et al. Nature Medicine 2012; 18(10): 1570
4. Sampei, et al. PLoS ONE 2013; 8(2): e57479

以上