



2024年4月15日

各位

## バビースモ、網膜色素線条を対象とした第 III 相試験において 日本人で初めて良好な視力改善を示す

- ・ 新生血管を伴う網膜色素線条に対し、バビースモは統計学的に有意かつ臨床的に意義のある視力改善を示す
- ・ バビースモの忍容性はおおむね良好であり、安全性プロファイルは過去の試験と同様
- ・ バビースモは、視力を脅かす多くの網膜疾患に関連する 2 つの疾患経路 Ang-2 と VEGF-A を標的として阻害する、最初で唯一のバイスペシフィック抗体治療薬
- ・ 詳細な結果は今後の医学学会で発表され、規制当局に提出予定

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は、眼科領域における最初で唯一のバイスペシフィック抗体であるバビースモ<sup>®</sup>（一般名：ファリシマブ）について、新生血管を伴う網膜色素線条を対象とした国内第 III 相臨床試験（NIHONBASHI 試験）において、主要評価項目を達成し、12 週時点において統計学的に有意かつ臨床的に意義のある視力改善を確認したことをお知らせいたします。バビースモの忍容性はおおむね良好であり、新たな安全性上の懸念は示されませんでした。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「網膜色素線条は、国内において承認された治療薬がない希少疾病です。本疾患を対象にした試験において、バビースモが日本人で初めて良好な視力改善を示したことを大変嬉しく思います。一日でも早く患者さんにお届けできるよう、日本での承認申請に向けて尽力してまいります」と語っています。

本試験の成績は、実施国である日本の規制当局に提出を予定しており、今後の医学系学会で発表される予定です。

### 網膜色素線条について

網膜色素線条は網膜の一部が断裂し、眼底に特徴的な線状の色調変化（色素線条）がみられる疾患です。無症状であることが多いですが、眼底の中央の黄斑部に脈絡膜新生血管が及ぶと視力低下やゆがみなどの症状が出現します。新生血管を伴う場合は予後不良ですが、従来の手術やレーザー等の治療では十分な効果を得ることが難しく、新たな治療薬が求められています。国内における患者数は明らかにはなっておらず、網膜色素線条を約半数で合併すると知られている弾性線維性仮性黄色腫（指定難病の一つ）の患者数は約 300 名です<sup>1,2</sup>。

### NIHONBASHI 試験について

NIHONBASHI 試験は、新生血管を伴う網膜色素線条患者さんを対象に、バビースモの有効性と安全性を評価した多施設共同単群国内第 III 相臨床試験です。本試験に 24 人が登録されました。主要評価項目は、12 週時点のベースラインからの最高矯正視力（BCVA、メガネ等で矯正した場合を含め、視力表の文

字を読む際に達成可能な最高の状態における視力) スコアの平均変化量です。副次評価項目は、52 週時点の BCVA スコアの平均変化量、中心領域網膜厚のベースラインからの変化量の経時変化、および安全性が含まれます。

## バビースモについて

バビースモは眼科領域において承認された初のバイスペシフィック抗体です<sup>3,4</sup>。アンジオポエチン-2 (Ang-2) と血管内皮増殖因子-A (VEGF-A) を中和することにより、視力を脅かす多くの網膜疾患の原因である 2 つの経路を標的とし、阻害します。Ang-2 と VEGF-A は、血管構造の不安定化により、漏出を引き起こす血管を新たに形成し、炎症を起こすことで視力低下を引き起こすとされています<sup>5,6</sup>。バビースモは Ang-2 と VEGF-A が関与する経路を遮断することで、血管を安定させるよう設計されています<sup>5,6</sup>。バビースモは、新生血管を伴う加齢黄斑変性 (nAMD) および糖尿病黄斑浮腫 (DME) の治療薬として、米国、日本、英国、EU を含む世界 50 カ国以上で承認されており、3 月 26 日には網膜静脈閉塞症 (RVO) に伴う黄斑浮腫の治療薬としても国内で承認されました。その他の規制当局による審査は継続中です<sup>3,4,7-9</sup>。

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. Chatziralli I, Saitakis G, Dimitriou E, Chatzirallis A, Stoungioti S, Theodossiadis G, et al. ANGIOID STREAKS: A Comprehensive Review From Pathophysiology to Treatment. *Retina*. 2019;39(1):1-11.
2. 難病情報センター 弾性線維性仮性黄色腫 (指定難病 166) [Internet; cited April 2024]. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/entry/4580>.
3. United States Food and Drug Administration (U.S. FDA). Highlights of prescribing information, Vabysmo. 2022 [Internet; cited April 2024]. Available from: [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2022/761235s000lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2022/761235s000lbl.pdf).
4. Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA). MHRA approves faricimab through international work-sharing initiative [Internet; cited April 2024]. Available from: <https://www.gov.uk/government/news/mhra-approves-faricimab-through-international-work-sharing-initiative>.
5. Heier JS, et al. Efficacy, durability, and safety of intravitreal faricimab up to every 16 weeks for neovascular age-related macular degeneration (nAMD) (TENAYA and LUCERNE): two randomised, double-masked, phase III, non-inferiority trials. *The Lancet*. 2022; 399:729-740.
6. Wykoff C, et al. Efficacy, durability and safety of intravitreal faricimab with extended dosing up to every 16 weeks in patients with diabetic macular edema (DME) (YOSEMITE and RHINE): two randomised, double-masked, phase III trials. *The Lancet*. 2022; 399:741-755.
7. European Medicines Agency. Summary of Product Characteristics, Vabysmo, 2022 [Internet; cited April 2024]. Available from: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/vabysmo-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/vabysmo-epar-product-information_en.pdf).
8. Roche data on file.

9. Chugai Pharmaceutical Co. Ltd. Chugai obtains regulatory approval for Vabysmo, the first bispecific antibody in ophthalmology, for nAMD and DME [Internet; cited April 2024]. Available from: [https://www.chugai-pharm.co.jp/english/news/detail/20220328160002\\_909.html](https://www.chugai-pharm.co.jp/english/news/detail/20220328160002_909.html).

以上