

2025 年 6 月 23 日

各 位

NXT007、血友病 A を対象とする第 I/II 相臨床試験において、
正常レベルの血液凝固能をもたらす可能性を示唆

- 血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター非保有の血友病 A の方々を対象とした NXTAGE 試験パート B において、高用量では正常レベルと同等の血液凝固第 VIII 因子活性が期待できる血中濃度に到達し、治療を要する出血は認められなかった
- パート B における NXT007 の忍容性は良好
- NXT007 は中外製薬が創製し、現在血友病 A に対する治療薬として開発中。2026 年より 3 つの第 III 相試験を開始予定

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は本日、米国・ワシントン D.C.で開催中の国際血栓止血学会（ISTH：International Society on Thrombosis and Haemostasis）2025 年会議において、NXT007 の血友病 A の方々を対象とした初めての臨床データである第 I/II 相臨床試験のデータを発表したことをお知らせいたします。NXT007 は血友病 A で広く使用されているヘムライブラ（一般名：エミシズマブ）を基にした次世代型のバイスペシフィック抗体であり、血友病 A を対象に皮下投与製剤として開発中です。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「NXT007 について、血友病 A の方々の血液凝固能を正常レベルに近づける可能性が初めて臨床試験のデータにおいて示されたことに大きな手応えを感じています。このデータを受け、血友病 A におけるヘムライブラとの直接比較を含む 3 つの第 III 相試験を来年から開始する予定です。近年の血友病 A 治療の著しい進歩を受けて、より一層効果的で使いやすい治療法への期待が高まっています。一日でも早く本剤を必要とする方々にお届けできるよう、ロシュと連携して開発に注力してまいります」と語っています。

NXTAGE 試験は NXT007 の安全性、薬物動態、薬力学、有効性を評価する多施設共同第 I/II 相臨床試験です。このうち、今回データを発表したパート B は、ヘムライブラによる治療を受けていないインヒビター非保有の重症血友病 A の方々（12 歳以上 65 歳未満）に対する反復漸増投与パートです。本パートの参加者は 4 つのコホートに分けられ、4～6 週の負荷投与後、4 週ごとに異なる投与量で皮下への維持投与が行われました。本パートの主要解析は、各コホートで 6 名以上が 16 週以上の NXT007 投与を受けた後に行われました。

NXT007 の血中濃度は用量依存的に増加し、高用量のコホート B-3 および B-4 では非臨床データから予測される血液凝固第 FVIII 因子等価活性¹の正常レベルを期待できる血中濃度まで到達することが確認できました。維持投与期の治療を要する出血は、コホート B-3 および B-4 では認められませんでした。各コホートにおける年間出血率は次の通りでした。

NXTAGE 試験パート B 年間出血率 (治療を要した出血) *

コホート	試験前	NXT007維持投与期
B-1	12.83	1.20
B-2	2.17	0.28
B-3	5.44	0
B-4	2.72	0

*試験前の年間出血情報は、試験開始前の24週間データを後ろ向きに収集。年間出血率は、評価期間中に観察された出血回数を基に、1年間に換算して算出された値

本パートにおける NXT007 の忍容性は良好でした。有害事象の発現件数に用量依存性は認められず、投与中止に至った有害事象、および重大な有害事象のうち NXT007 に関連するものではありませんでした。また、血栓塞栓事象は認められず、安全性プロファイルは良好でした。

【参考情報】

NXT007 の非臨床研究成果が Journal of Thrombosis and Haemostasis に掲載 (2023 年 11 月 7 日ニュースリリース)

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20231107160000_1339.html

NXT007 について

NXT007 は、血友病でない方と同等の血液凝固能と簡便な投与を目指して開発している自社創製のバイスペシフィック抗体です。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するよう設計されています。本剤には、中外製薬独自の抗体エンジニアリング技術として「FAST-Ig™」技術²が初めて適用され、ヘムライブラの可変領域を最適化することでより高い有効性を目指しています。加えて、「ACT-Ig®」技術³の適用により、PK プロファイルの改善を目指しています。2022 年 8 月にはロシュが導入を決定しました。現在、血友病 A を対象に第 I/II 相臨床試験を実施中であり、2026 年には 3 つの第 III 相試験が開始される予定です。

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. Yoneyama et.al., Blood (2022) 140 (Supplement 1): 11295–11296
2. Hikaru Koga et al. Efficient production of bispecific antibody by FAST-Ig™ and its application to NXT007 for the treatment of hemophilia A, mAbs, 15:1
3. Atsuhiko Maeda et al. Identification of human IgG1 variant with enhanced FcRn binding and without increased binding to rheumatoid factor autoantibody, mAbs, 9:5, 844-853

以上