



2018年6月5日

各位

HEMLIBRA®、米国 FDA より インヒビター非保有の血友病 A に対して優先審査に指定 — インヒビター保有血友病 A に続き、2 度目の指定 —

[中外製薬株式会社](#)（本社：東京、代表取締役社長 CEO：小坂 達朗）は、血友病 A 治療薬 HEMLIBRA®（米国一般名：emicizumab-kxwh）に関して、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター非保有の成人、小児の血友病 A に対し、米国食品医薬品局（FDA）が承認申請を受理し、優先審査に指定したことをお知らせいたします。FDA による承認の判断は、審査終了目標日である 2018 年 10 月 4 日までに行われる予定です。なお、米国における申請、開発および販売は、ロシュ・グループのメンバーである [ジェネンテック社](#) が実施しており、インヒビター保有の血友病 A に対しては、昨年 11 月に承認を取得し、販売しています。

上席執行役員プロジェクト・ライフサイクルマネジメント共同ユニット長の伊東 康は、「HEMLIBRA が、インヒビター保有の血友病 A に続き、インヒビター非保有の血友病 A に対しても FDA より優先審査の指定を受けたことは、本剤の画期性が認められたものと大変嬉しく思います」と語るとともに「インヒビター非保有の血友病 A では、出血コントロールにおいて未だ課題が残されています。このたびの優先審査指定を受け、皮下投与が可能な HEMLIBRA を新たな治療選択肢として提供し、血友病 A の方々の良好な出血抑制やご家族の負担軽減にいち早く貢献できることを心待ちにしています」と述べています。

このたびの承認申請および優先審査指定は、血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビター非保有の青年期および成人の血友病 A を対象に、[ロシュ社](#) および [ジェネンテック社](#) と共同で実施した第 III 相国際共同治験 HAVEN 3（NCT02847637）の成績に基づいています。本試験結果は、欧州においても、インヒビター非保有の血友病 A に対する承認申請のため、ロシュ社より欧州医薬品庁へ提出されています。

FDA による優先審査指定は、重篤な疾患の治療や予防、診断において、有効性あるいは安全性に顕著な改善をもたらす可能性があると判断された医薬品に行われます。なお、日本では本年 3 月に、「血液凝固第 VIII 因子に対するインヒビターを保有する先天性血液凝固第 VIII 因子欠乏患者（血友病 A）における出血傾向の抑制」を効能・効果として承認を取得済みであり、4 月にインヒビター非保有の血友病 A に対する効能・効果追加について、厚生労働省へ承認申請を行っています。

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。

【参考情報】

HAVEN 3 試験結果について

2018年5月21日発表プレスリリース

<https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20180521160000.html>

以上