

報道関係者各位

本資料は、米バクسالタ・インコーポレーテッドが2015年11月13日に発表したプレスリリースを日本語に翻訳再編集し、皆様のご参考として提供するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容およびその解釈については英語が優先します。

2015 年 11 月 13 日、米国イリノイ州バノックバーン

バクسالタ、出血を低減するための週 2 回投与の治療薬 ADYNOVATE の承認を米国 FDA より取得

- ADYNOVATE[ペグ化遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤]は、12年以上の実績を持つ、血友病 A 治療薬であるアドベイト(ADVATE)[遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤]を元に創製されています
- 作用時間を延長できる独自開発のペグ化技術¹により、従来の週 3~4 回の投与に対し、週 2 回のシンプルな投与スケジュールを提供します
- ピボタル試験において、ADYNOVATE による定期補充療法では、出血時補充療法(On-Demand)との比較で出血を 95%低減し、ADYNOVATE による定期補充療法を受けた患者の約 40%では出血がありませんでした²

イリノイ州バノックバーン—希少疾患および十分な治療が行われていない疾患の患者さんに対し革新的な治療法を提供するグローバルなバイオ医薬品企業のリーダーである、バクسالタ・インコーポレーテッド(Baxalta Incorporated、以下バクسالタ)(NYSE:BXLT)は、米国食品医薬品局(FDA)が、血友病 A 治療薬の半減期延長型遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子(rFVIII)製剤である ADYNOVATE[ペグ化遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤]を承認したことを本日発表しました。ADYNOVATE は、実際の患者さんで 12 年を超える実績を持つ血友病 A の主要治療薬であるアドベイトの有効成分ルリオクトコグアルファ[全長型遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子]をもとに創製しています。

「血友病の患者さんは、出血を最小限に抑え、生活を左右されないようにしたいと願っています。複数の選択肢があれば、患者さんは個々の治療について最善の決定をできるようになります。私たちは血友病の治療を継続的に変革しているバクسالタを賞賛します」と米国血友病財団(National Hemophilia Foundation)の CEO、ヴァル・バイアス氏(Val Bias)は語ります。

「ADYNOVATE は、患者さん一人ひとりの希望により適した投与スケジュールを兼ね備えつつ、出血を減らしたいと望む血友病 A の患者さんのニーズに応えるという、バクسالタ社の取組みを示すものです。バクسالタの社名で初めて承認された新製剤として、ADYNOVATE は 2020 年までに 20 製剤を発売するという当社の目標を達成し、世界をリードする当社の血友病治療薬のポートフォリオを拡充し続ける上での大きな節目となります」とバクسالタ CEO 兼社長のルードヴィッグ・ハンソン(Ludwig Hantson)は述べています。

承認の根拠となった第Ⅲ相ピボタル臨床試験で、ADYNOVATE は、出血時補充療法のみならず、定期補充療法により血友病患者さんの治療における有効性を実証しました。前向き非盲検非無作為化多施設国際共同試験において、12~65 歳の患者さんが、ADYNOVATE による週 2 回の定期補充療法(40~50IU/kg、n=120)または出血時補充療法(10~60IU/kg、n=17)のいずれかに割り当てられました。本試験で、週 2 回定期補充療法群の治療歴のある患者さんは、出血時補充療法を受けた患者さんと比べ、年間出血の 95%の低減が達成されました[年間出血率(ABR)中央値、それぞれ 1.9 vs 41.5]。本試験中、定期補充療法群の患者さんの 38%(n=120)には出血を生じませんでした。さらに、ADYNOVATE による 6 カ月間の定期補充療法に基づき、57%の患者さんは関節出血ゼロを経験しました²。

ADYNOVATE による定期補充療法群の患者さんほぼ全員(98%)において、試験で用量の調節を行いませんでした。そして、ほぼすべて(96%)の出血エピソード(n=591)が ADYNOVATE の 1 回または 2 回の投与により止血

コントロールされました。治療薬に対するインヒビターを生じた患者さんはいませんでした。最もよくみられた副作用(=被験者の1%)は頭痛および吐き気でした²。

ADYNOVATE は米国で、今後数週間で販売されます。バクスアルタは ADYNOVATE に対する投資を継続し、世界中のより多くの患者さん(PTPs)に向けて本製剤の価値を高めていきます。現在、手術を受ける、治療歴のある重症型の血友病 A 患者さんおよび 12 歳未満の重症型の血友病 A 小児患者さん(PTPs)を対象とした試験が進行中です。さらに、バクスアルタは治療歴のない重症型の血友病 A 患者さん(PUPs)を対象とした試験を開始する予定です。バクスアルタは日本において本治療薬の承認を申請しており、小児試験の完了後に欧州で製造販売承認の申請を行う予定です。

血友病 A は困難な慢性疾患です。治療レジメンでは出血リスクを低減するために定期的な投与が必要となります。多くの患者さんは、担当の医療従事者と緊密に協力し合いながら、自身のニーズにより適合するよう個別化することができ、有効な出血防止とシンプルな投与スケジュールが同時に得られる治療選択肢を常に求めています。現在、この疾患の患者さんは米国に約 16,000 人、世界中に 40 万人以上います。世界的に、血友病患者さんの 75%が診断を受けておらず、未治療または十分な治療を受けていないと推定されることから³、バクスアルタは血友病を含む血液疾患に関連する課題に取り組むため、今後も革新的な取り組みを継続していきます。

ネクター・セラピューティクス社(NASDAQ:NKTR)との共同研究を通じ、ADYNOVATE は体内の第 VIII 因子の活性時間を延ばすよう設計された独自開発のペグ化技術を活用しています。この技術は、親分子(アドベイト)の完全性を維持し、体内で ADYNOVATE を排出する速度を低下させることで半減期を延ばすことから選択されました。この独自の開発技術は、慢性疾患や重篤な疾患の治療用の多数の承認薬において 15 年余りにわたり用いられています。ペグ化血液凝固第 VIII 因子に関連する特許に加え、バクスアルタはペグ化第 VIII 因子たん白質に関連する他のいくつかの特許について血友病の分野で独占的なライセンスを保有しています。これらの特許は ADYNOVATE を含むバクスアルタの半減期延長型血液凝固第 VIII 因子製剤のパイプラインの権利を保護しています。

ADYNOVATE について

ペグ化遺伝子組換え型血液凝固第 VIII 因子製剤である ADYNOVATE は、血友病 A(先天性第 VIII 因子欠乏症)の青年および成人の患者さん(12 歳以上)に適応となるヒト抗血友病因子であり、以下を目的としています。

- ・ 出血エピソードの補充療法およびコントロール
- ・ 出血エピソードの頻度低減を目的とする定期補充療法

ADYNOVATE は、フォン・ヴィレブランド病(von Willebrand disease)の治療については適応となりません。

全体的な処方情報については以下のサイトをご覧ください。

http://baxalta.com/assets/documents/ADYNOVATE_PI.pdf.

アドベイトについて

アドベイトは、血友病 A(先天性第 VIII 因子欠乏症つまり古典的血友病)の小児および成人患者さんに適応となる遺伝子組換え型抗血友病因子であり、以下を目的としています。

- ・ 出血エピソードの止血管理
- ・ 周術期管理
- ・ 出血エピソードの予防や頻度低減を目的とした定期補充療法

アドベイトはフォン・ヴィレブランド病(von Willebrand disease)の治療については適応となりません。

アドベイトの有効性・安全性プロファイルは実証されています。アドベイトは全長(完全な第 VIII 因子遺伝子由来)の遺伝子組換え型第 VIII 因子製剤であり、いかなる血液由来添加物も用いることなく製造されます。製造工程のいかなる段階でも血液由来成分を加えないため、血液由来添加物により感染する可能性のある感染性病原体の潜在的リスクがありません。遺伝子組換え型第 VIII 因子治療による HIV、HBV、HCV の感染について確認された報告はありません。

アドベイトは世界で最もよく処方されている第 VIII 因子治療薬です。現在世界中の 64 カ国で承認されており、その内訳は、米国、カナダ、EU28 カ国、アルジェリア、アルゼンチン、オーストラリア、ブラジル、チリ、中国、コロンビア、エクアドル、香港、アイスランド、イラク、イスラエル、日本、クウェート、マカオ、マレーシア、メキシコ、モロッコ、ニュージーランド、ノルウェー、パナマ、プエルトリコ、ロシア、サウジアラビア、セルビア、シンガポール、韓国、スリナム、スイス、台湾、チュニジア、トルコ、ウクライナ、ウルグアイ、ベネズエラとなっています。

アドベイトの全体的な処方情報については以下のサイトをご覧ください。

http://www.baxter.com/downloads/healthcare_professionals/products/ADVATE_PI.pdf

バクسالタについて

バクسالタ(NYSE: BXLТ)は年商 60 億ドルの世界的なバイオ医薬品企業のリーダーとして、血液・がん・免疫分野の希少疾患および十分な治療法が提供されていない疾患の治療法を開発・製造・商品化しています。患者さんの人生に意味のある製品を提供したいという情熱を原動力にして生まれた、バクسالタの幅広い多様なパイプラインには、遺伝子治療などの新たなメカニズムと高度な技術を用いた製品が含まれます。バクسالタのグローバル イノベーション研究開発センターは米国マサチューセッツ州ケンブリッジにあります。

2015 年にバクスターインターナショナルインクから分社したバクسالタは、バクスター時代を含め、バイオ医薬品分野での数十年に及ぶ実績があります。そして、バクسالタの治療法は 100 カ国以上で提供され、12 カ所の製造施設では遺伝子組換え製剤や血漿分画製剤をはじめとした最先端の技術を駆使し、医薬品を製造しています。バクسالタの本社は、米国イリノイ州北部に位置し、全世界で約 16,000 人の従業員が働いています。

関連サイト

[血友病患者さんのための治療・お役立ち情報サイト「ヘモフィリア・ステーション」](#)

[バクسالタ株式会社 コーポレートサイト](#)

Baxalta, ADVATE and ADYNOVATE are trademarks of Baxalta Incorporated

1. Proprietary pegylation technology exclusively licensed from Nektar Therapeutics.
2. Konkle, Barbara, et al. Pegylated, full-length, recombinant factor VIII for prophylactic and on-demand treatment of severe hemophilia A. Blood. July 2015.
3. National Hemophilia Foundation. Fast Facts. Accessed August 16, 2015. <https://www.hemophilia.org/About-Us/Fast-Facts>.

<本件に関するお問合せ先>

バクسالタ株式会社コミュニケーション部

(03) 6858 5480