

報道関係者各位

本資料は、米バクسالタ・インコーポレイテッドが2015年12月8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12月8日、米国イリノイ州バノックバーン

## バクسالタ、フォン・ヴィレブランド病成人患者に対する 世界で初めての遺伝子組換え型フォン・ヴィレブランド因子製剤である VONVENDI の承認を米国 FDA より取得

- フォン・ヴィレブランド病(von Willebrand Disease)は血液凝固障害をきたす遺伝性疾患であり、現在治療選択肢が限られている
- VONVENDI[フォン・ヴィレブランド因子(遺伝子組換え)]は、この10年においてフォン・ヴィレブランド病の成人患者さんの治療において最も重要な治療の進歩であり、同疾患への新たな治療アプローチとなる
- 臨床試験において、VONVENDI は出血エピソードを100%解消し、重度の出血に対する治療での注入回数の中央値はわずか2回であった

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・インコーポレイテッド (Baxalta Incorporated、以下バクسالタ) (NYSE: BXL) は、米国食品医薬品局 (FDA) が、VONVENDI [フォン・ヴィレブランド因子 (遺伝子組換え)] を承認したことを、本日発表しました。VONVENDI は、フォン・ヴィレブランド病の成人患者さんに対する世界で初めての遺伝子組換え型フォン・ヴィレブランド因子製剤です。

VONVENDI は、巨大多量体 (ULMs) を含む多量体と呼ばれるタンパク質 (フォン・ヴィレブランド因子) を生理学的配分で含有する革新的な遺伝子組換え型フォン・ヴィレブランド因子製剤であり、血栓形成を助ける活性が最も高いフォン・ヴィレブランド因子の形態である大型多量体を含んでいます。本剤は第 VIII 因子 (FVIII) をごく微量しか含まない世界初の薬剤でもあり、必要な場合にのみ第 VIII 因子を投与することができます。これにより、第 VIII 因子を必要としない患者さんにも対応した治療が可能となります。

「10年以上にわたり治療上の大きな革新がなかった中で、VONVENDI は、困難な慢性疾患であるフォン・ヴィレブランド病の患者さんにとって、疾患管理に有用である臨床プロファイルを備えた重要な新しい選択肢となるものです」と、VONVENDI 臨床試験の筆頭著者であり、ウィスコンシン血液センターおよびウィスコンシン医科大学所属のジョーン・ギル医学博士 (Joan Gill) は語っています。

フォン・ヴィレブランド病は世界中で最も多い遺伝性出血性疾患であり、罹患者は最大 100 人当たり 1 名で、頻繁に重篤な症状が表れる最もまれな病型の患者さんは、世界で 100 万人当たり 1 名がいるとされています。この遺伝性疾患はフォン・ヴィレブランド因子 (VWF) の変異または欠損を引き起こして凝固障害をきたすもので、男女同数で生じます。この疾患の症状には、粘膜出血、消化管出血、月経過多などの様々な出血性事象があります。患者さんはしばしば何年も適切な診断を受けることなく生活しており、診断が確定しても利用できる治療選択肢は限られています。

「巨大多量体に特有の特徴および当社のピボタル試験で認められた臨床プロファイルから、VONVENDI はフォン・ヴィレブランド病の成人患者さんに対する治療を再検討する可能性を持つ新たな重要な選択肢となります。VONVENDI の承認は、世界中の困難な出血性疾患を抱える患者さんに応えるのに役立つ、有用かつ細分化されたポートフォリオを構築し続け、治療を進歩させていく当社の取り組みを示すものです」とバクسالタ、エグゼクティブバイスプレジデント兼ヘマトロジープレジデントのブライアン・ゴフ (Brian Goff) は述べています。

VONVENDI は、フォン・ヴィレブランド病の成人患者さんの出血時の補充療法 (on-demand) および出血の抑制に対して承認されています。FDA の承認の根拠となったのは、VONVENDI 単独および VONVENDI と遺伝子組換え型第 VIII 因子の併用療法の安全性、有効性、薬物動態を評価した第 III 相、多施設共同、非盲検臨床試験で得られた良好な結果でした。このピボタル試験において、全参加者 (100%) で出血エピソードの治療成功が報告されており、治療された出血のうち 96.9% (N=患者 22 例中の 192 出血) が有効性評価で「著効 (excellent)」、3.1% が「有効 (good)」を得ています。大半の出血 (81.8%) は 1 回の注入で消失し、治療薬の平均半減期は 21.9 時間 (±8.36) を示しました。<sup>1,2</sup>

臨床試験中、血栓事象や重度の製品関連有害事象は認められず、治療関連のフォン・ヴィレブランド因子に対する結合抗体や中和抗体、また第 VIII 因子に対する中和抗体も認められませんでした。臨床試験において 2% を超える患者さんで認められた、最も多い副作用は全身性そう痒症でした。

バクسالタは世界中で VONVENDI に対する患者さんのアクセスを最適化するために活発な臨床開発プログラムを進めています。そして、予防、手術、小児に対する適応での VONVENDI 使用を評価するための、一連の臨床プログラムが計画されています。VONVENDI は 2016 年後半に米国で広く市販される予定です。バクسالタは 2017 年に欧州で承認申請を行う予定であり、世界中の他の市場でも申請を行っていきます。

### VONVENDI [フォン・ヴィレブランド因子 (遺伝子組換え型)] について

VONVENDI [フォン・ヴィレブランド因子 (遺伝子組換え)] は、フォン・ヴィレブランド病と診断された成人患者さん (18 歳以上) の出血エピソードの補充療法およびコントロールを適応とする遺伝子組換え型フォン・ヴィレブランド因子です。

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.baxalta.com/assets/documents/VONVENDI\\_PI.pdf](http://www.baxalta.com/assets/documents/VONVENDI_PI.pdf)

### バクسالタについて

バクسالタ (NYSE: BXL) 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](#)

1. VONVENDI product information. [http://www.baxalta.com/assets/documents/VONVENDI\\_PI.pdf](http://www.baxalta.com/assets/documents/VONVENDI_PI.pdf).

2. Gill JC, et al. Hemostatic efficacy, safety and pharmacokinetics of a recombinant von Willebrand factor in severe von Willebrand disease. Blood. 2015.

<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