

2017年6月26日

報道関係各位

シャイアー、国際血栓止血学会(ISTH)において 血友病の標準治療を進歩させる新たなデータを発表

～35 演題を超える発表とセッションで、
シャイアーの遺伝子治療パイプラインと主要な凝固因子ポートフォリオを紹介～

本資料は、2017年6月23日（現地時間）にシャイアー社が発表した英語版プレスリリースを翻訳・編集し、配信するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容・解釈については英語が優先します。英文のプレスリリースは、以下のサイトからご覧下さい。 <https://www.shire.com/>

スイス、ツーク発—2017年6月23日— 希少疾患の患者さんへの貢献に重点をおくバイオテクノロジーのリーディング・カンパニーである Shire plc（シャイアー社、LSE：SHP、NASDAQ：SHPG）は、2017年7月8日から13日にドイツのベルリンで開催される第26回国際血栓止血学会（ISTH）で、さまざまな希少出血性疾患に関する研究発表を行います。8演題の口演発表、29演題のポスター発表、3演題のシンポジウムで紹介される、これらのデータは、安全性、有効性、および血友病患者さんに対する個別化治療を根本とする、シャイアーの革新的治療への探求を裏付けています。

シャイアーの血友病領域担当臨床開発部門バイスプレジデントである、ブルース・ユーウエンスタインは、「シャイアーは、70年以上にわたる専門的実績を備えた希少血液疾患治療の世界的リーダーです。シャイアーは、血友病ポートフォリオの充実さと、当社製品の実証された安全性と有効性を強固にする最新データをご紹介できることを誇りに思っています。さらに、遺伝子治療における新たな研究と、患者さんが自分自身の血友病治療の目標を設定するために使う新規「患者報告アウトカム」評価を発表することを心待ちにしています」と述べました。

血友病の遺伝子治療への期待を前進させる

国際血栓止血学会（ISTH）を通じて、シャイアーは遺伝子治療パイプラインに関する最新の科学的知見を11演題発表します。この発表は、血友病Aと血友病Bの両方の患者さんにとって期待される内容です。遺伝子治療の目標は、血友病患者さんの体が、現在は欠損している第VIII因子または第IX因子を自然に産生できるようにして、出血の症状を緩和させることです^{*1}。したがって、これにより、血友病患者さんの病型が重症から軽症に、一部の患者さんでは正常に変わる手助けができるかもしれません^{*2}。さらにシャイアーは、血友病A治療のためのSHP654の開発について、新たなデータを発表します。

- SHP654の開発、血友病Aの治療に対する高効率AAV8を基盤とするBDD-FVIII遺伝子治療ベクター
 - セッション：血友病の遺伝子治療（臨床、口演発表#OC 13.6）
 - 日時：7月10日、17:45～19:00（現地時間）
 - 場所：ホールB^{*3}
- 遺伝子組換え（r）FVIIIアデノ随伴ウイルス（AAV8）のマウスにおける組込み部位が示す優れたバイオセーフティプロファイル
 - セッション：ポスターセッション（#PB 1094）
 - 日時：7月11日、12:00～13:15（現地時間）
 - 場所：展示ホール4.2^{*4}

さらに当社は、血友病 B の遺伝子治療技術に関する口演発表を行います。

- **SHP648 : AAV8 ベースに基づく高性能の次世代 FIX 遺伝子治療ベクター**
 - セッション：血友病の遺伝子治療（前臨床、口演発表#OC 13.3）
 - 日時：7月12日、9:30~10:45（現地時間）
 - 場所：ヘルシンキ 1^{※5}

血友病において患者さん中心の治療への道を切り開く

当社は「患者報告アウトカム」の新たな指標である、「血友病の目標達成スケール」に関する新データを発表します。血友病の目標達成スケールは、標準的な臨床アウトカムの測定を、患者さんを中心として個別化が可能で、変化に敏感な方法で、個々の患者さんと患者集団全体を補うことによって、血友病の高度な治療をサポートすることを目的としています^{※6}。これにより、患者さんが目指すゴールを確認し、共有することが可能となります。患者さんのゴールは、血友病の合併症や生活への影響を管理するといった、さまざまな領域をカバーし得るものです。5歳~65歳の血友病 A または B の患者さん 42 名を対象に、定期補充を 12 週間実施した試験成績から、血友病の目標達成スケールが、現在利用できるツールでは捉えられないアウトカムの測定に成功したことが示されました^{※6}。

- 「血友病の目標達成スケール」の反応性と構成概念妥当性：新規個別化血友病患者報告アウトカム
 - セッション：ポスターセッション（#PB 203）
 - 日時：7月10日 12:00~13:15（現地時間）
 - 場所：展示ホール 2.2^{※6}

血友病について

血友病は、血液中の凝固因子が欠乏または不足しているために正常よりも出血時間が長く続く、治療が困難な慢性疾患です^{※7}。血友病 A は血友病 B よりも多くみられます^{※7}。世界中で約 15 万人が血友病 A に罹患しており、血友病 B の罹患率は約 3 万人です^{※8}。

血友病患者さんは、医療従事者と密接に協力しながら、適切なケアと十分な治療を受けることで健康的な生活を送ることができます^{※9}。一般的な治療法には、出血のリスクを抑える、または防ぐために、必要時もしくは定期的な予防として補充療法の注射を行う方法があります^{※7,10}。

インヒビターは、血友病患者さんにとっての重篤な合併症です^{※11}。インヒビターは、体の免疫系が治療に用いた因子を攻撃するときに形成され、治療の効き目をなくしてしまいます^{※11}。免疫寛容導入とバイパス止血剤はインヒビターを有する患者さんに必須の治療であり、補充する因子に体を慣らせること、またはインヒビターを迂回することで、出血を止めて患者さんを助けます。^{※9,11,12}

参考文献

1. National Institutes of Health: National Heart, Lung and Blood Institute. "Gene Therapy Helps Patients With Hemophilia B." National Heart, Lung and Blood Institute website. <https://www.nhlbi.nih.gov/news/eneletter/professional/ProfHemophilia-article> Accessed May 31, 2017.
2. Amit et al. "Adenovirus-Associated Virus Vector-Mediated Gene Transfer in Hemophilia B." N Engl J Med. 2011 Dec 22; 365(25): 2357-2365. Available at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3265081/>. Accessed May 31, 2017.
3. Falkner et al. "Development of SHP654 a highly efficient AAV8-based BDD-FVIII gene therapy vector for treatment of hemophilia A." International Society on Thrombosis and Haemostasis Congress. Berlin, Germany July 8-13, 2017. Available at: [http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/\(ISSN\)2475-0379](http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/(ISSN)2475-0379)
4. Hoellriegel et al. "Integration site analysis in mice demonstrates excellent biosafety profile of a recombinant © FVIII adeno-associated virus (AAV8) gene therapy product." International Society on Thrombosis and Haemostasis Congress. Berlin, Germany July 8-13, 2017. Available at: [http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/\(ISSN\)2475-0379](http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/(ISSN)2475-0379)
5. Horling et al. "SHP648: A high performing next generation FIX gene therapy vector based on AAV8." International Society on Thrombosis and Haemostasis Congress. Berlin, Germany July 8-13, 2017. Available at: [http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/\(ISSN\)2475-0379](http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/(ISSN)2475-0379)
6. Recht et al. "Responsiveness and construct validity of Goal Attainment Scaling for Hemophilia (GAS-Hēm): a novel, personalised, patient-reported outcome for haemophilia." International Society on Thrombosis and Haemostasis Congress. Berlin, Germany July 8-13, 2017. Available at: [http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/\(ISSN\)2475-0379](http://onlinelibrary.wiley.com/journal/10.1002/(ISSN)2475-0379)
7. World Federation of Hemophilia. "What is hemophilia?" World Federation of Hemophilia website. <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=646>. Accessed January 12, 2017
8. World Federation of Hemophilia. Report on the Annual Global Survey 2015. World Federation of Hemophilia website. <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1669.pdf>. Accessed January 12, 2017.

9. World Federation of Hemophilia. "About Bleeding Disorders: Treatment." World Federation of Hemophilia website. <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=642>. Accessed January 12, 2017.
10. National Hemophilia Foundation. "Hemophilia A". National Hemophilia Foundation website. <https://www.hemophilia.org/Bleeding-Disorders/Types-of-Bleeding-Disorders/Hemophilia-A>. Accessed January 12, 2017.
11. World Federation of Hemophilia. "What are inhibitors?" World Federation of Hemophilia website. <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=651>. Accessed June 12, 2017.
12. Hemophilia Federation of America. "Treatment & Eradication of Inhibitors." Hemophilia Federation of America website. <http://www.hemophiliafed.org/bleeding-disorders/inhibitors/treatment-eradication-inhibitors/> Accessed June 12, 2017.

シャイアーについて

シャイアーは、希少疾患や特殊疾患の患者さんを専門とした、グローバルなバイオテクノロジーのリーディング・カンパニーです。血液、免疫、神経科、眼科、ライソゾーム病、消化器・内科・内分泌、遺伝性血管性浮腫（HAE）、そして、成長中の腫瘍領域フランチイズにおいて、革新的な医薬品の開発に努めています。シャイアーの製品は、100ヶ国以上で提供されています。

世界中に多くいる、希少疾患・特殊疾患をもつ患者さんや、効果的な治療法がない患者さんが、より質の高い日常生活を過ごすことができるよう、革新的な医薬品を開発し提供するという使命のもと、シャイアーの社員は日々尽力しています。

www.shire.com

日本のシャイアーについて

日本においても、Shire plc（シャイアー社）の子会社であるシャイアー・ジャパン株式会社およびバクスアルタ株式会社は、希少疾患および特殊疾患の治療薬の開発・販売のほか、それら疾患の認知向上に力を入れています。40年以上の実績をもつ血友病治療分野では、血友病 A 治療薬「アディノベイト®静注用」「アドベイト®静注用」、血友病インヒビター治療薬「ファイバ®静注用」、血友病 B 治療薬「リクスビス®静注用」と、幅広いラインアップをもち、患者さんに貢献しています。さらに、本態性血小板血症治療薬「アグリリン®カプセル」、ゴーシェ病治療薬「ビプリブ®点滴静注用」、低並びに無ガンマグロブリン血症治療薬「ガンマガード®静注用」を販売しており、2017年5月には、注意欠陥/多動性障害（AD/HD）治療薬「インチュニブ®錠」を発売しました。なお、「インチュニブ®錠」においては、塩野義製薬株式会社が承認を取得しており、プロモーション提携をしています。www.shire.co.jp

将来見通しに関する記述

ここで示されている歴史的事実を除く記述は、将来的な戦略、計画、目的、期待および意向、既存の製品またはパイプライン製品の臨床試験と承認の予測される時期や商業的可能性に関する記述を含みますが、これらに限定されない、将来見通しに関する記述です。これらの将来見通しに関する記述は、多くのリスクおよび不確実性を伴い、常に変化する可能性があります。リスクや不確実性が具現化した場合、当社の業績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。リスクおよび不確実性には以下の内容が含まれますが、これらに限定されません。

- 当社の製品は商業的に成功しない場合があります。
- 政府の規制および市場の発展により価格への圧力が増大し、また患者さんによる製品の入手が制限される結果、当社の将来の収益、財政状態、および経営成績に影響を及ぼす可能性があります。
- 当社は、特定の製品について独自の製造作業を実施するとともに、他の製品の製造や、商品やサービスの提供のため、第三者の製造業者に依頼しています。当社の製品または原料の一部は、認められた製造元一社からのみ入手することが可能です。当社の製品のサプライチェーンが途絶えた場合、結果的に、当社は製品の販売または開発を続行できなくなる可能性があります。また、一定期間、当社が商業的に上記の運営を継続できなくなる場合があります。
- 当社の製品の製造は、さまざまな規制当局の広範囲の監督対象となります。製造現場、原料または製造プロセスの変更に伴う規制上の承認または介入は、大幅な遅延、オペレーション費用の増加、製品売上の損失、研究活動の中断または新製品の発売の遅延につながる可能性があります。

- 当社の治療法の一部は、長い時間と複雑なプロセスを要するため、当社がタイムリーに市場原理に対応できず、生産能力を効果的に管理できない可能性があります。
- 当社は、研究開発のさまざまな段階における製品ポートフォリオを所有しています。これら製品の開発の成功は極めて不確実であり、多大な費用と時間を要します。また、これらが規制当局から承認される保証はありません。
- 特定の顧客の行動が、当社製品の収益性のある販売または営業活動の能力に影響を及ぼす可能性があります。このような顧客による購入または流通パターンの変動は、当社の収益、財政状態、または営業成績に悪影響を与える可能性があります。
- 当社の製品と候補製品は、事業を展開している製品市場において、ジェネリック医薬品との競争を含む、激しい競争に直面しています。
- 法的問題、税務監査、その他の紛争（当社の特許および事業に必要なその他の知的財産権の執行および防御能力を含む）の結果が不利な場合は、統合後の会社の収益、財政状態、または経営成績に実質的な悪影響を及ぼす可能性があります。
- 優秀な人材を獲得できないことがあります。
- 当社のNPS ファーマシューティカルズ社、ダイアックス社（「ダイアックス」）またはバクスアルタ社（「バクスアルタ」）の買収に関する戦略目標の達成の失敗は、当社の財政状態および経営成績に悪影響を与える可能性があります。
- 当社の成長戦略の一部は、外部提携を通じて製品ポートフォリオを拡張する能力に依存しており、失敗した場合、製品の開発と販売に悪影響を及ぼす場合があります。
- グローバルでの経済成長の鈍化、または当社が事業を行っている国の経済不安、ならびに為替レートおよび金利の変動は、与信の可用性とコストに影響を及ぼし、顧客売掛金の回収可能性など、顧客の購買および支払パターンに悪影響を及ぼします。
- 市販製品の効能が効果的ではない場合、またはそのような製品が副作用を引き起こした場合、当社の評判の失墜、製品の回収、当社に対する法的措置につながる可能性があります。
- 厳しく規制された市場において当社が運営する事業活動に関して、規制当局または法執行機関が調査または法執行措置を行う場合、莫大な法的費用と高額な補償金または罰金の支払いが必要となる可能性があります。
- 当社は情報技術に依存しており、そのシステムと施設基盤には、サービスの中断、慎重に扱うべき情報や機密情報の紛失、サイバー攻撃や他セキュリティ侵害、データ漏洩など、ある種のリスクが伴い、当社の収益、財政状態、または経営成績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。
- 当社は、バクスアルタ買収の資金調達のために高額な追加的な負債を負担しており、このためビジネスの柔軟性が低下し、借入費用が増加する可能性があります。
- ダイアックスまたはバクスアルタを当社に統合することの困難性から、統合後の会社は、期待される営業効率、コスト削減、収益の向上、シナジー効果または他の利益を、期待していたよりも、または全く実現することができない場合があります。
- 当社のその他のリスクおよび不確実性には、2016年6月30日に終了した四半期のForm 10-Qの当社四半期報告書の「項目1A：リスク要因」に記載されているリスクを含む当社が随時証券取引委員会に提出する報告書に記述されています。

当社または当社のために行動する者によってなされる、すべての将来見通しに関する記述は、全て明示的にこの注意書きに服します。これらの将来見通しに関する記述は本書面の日付においてのみ有効であるため、この記述を読む人は過度の信頼を置かないように注意してください。適用法によって別途要求される場合を除き、当社は、新たな情報、将来の事象、その他の結果にかかわらず、将来見通しに関する記述を更新または改訂する義務を負いません。

本件に関するお問い合わせ先：
 シャイアー・ジャパン株式会社
 渉外企画・広報部
 03-6737-0028

C-ANPROM/JP//0154 June 2017