

2013年7月2日

報道関係各位

## 血友病インヒビター治療用「ファイバ」の 用法・用量の変更にかかわる一部変更承認申請

バクスター株式会社(本社:東京都中央区、代表取締役会長兼社長:ジェラルド・リマ)は、2013年6月28日付で、血友病インヒビター治療用「ファイバ注射用 500 および 1000」(血漿分画製剤 乾燥人血液凝固因子抗体迂回活性複合体)について、新たに定期投与療法を目的とした用法・用量の変更にかかわる一部変更承認申請を行いました。

「ファイバ」は、血液凝固第 VIII 因子インヒビターまたは第 IX 因子インヒビターを保有する患者さんに対し、血漿中の血液凝固活性を補い、その出血を抑制する血漿分画製剤です。現在、出血時投与が認められていますが、このたび、新たに定期投与療法を目的とした用法・用量の変更にかかわる承認申請を行いました。

血液凝固因子製剤による補充療法を続けていると、血液凝固因子に対するインヒビター(抗体)が発生することがあります。インヒビターが発生すると通常の血液凝固因子製剤の止血効果が著しく低下し、治療の変更が必要になる場合があります。インヒビターを保有する血友病患者さんは、主に関節内出血を起こしやすく、重症患者さんは、重篤な出血性合併症のリスクが高く、出血に対する有効な予防策はいまだ確立されていません。定期投与療法とは、出血を予防するために治療薬を予防的に投与するものです。

「ファイバ」による定期投与療法と出血時投与療法の有効性、安全性および健康関連 QOL を比較した、第 III 相試験では、出血時投与療法における年間出血率の中央値が 28.7 回であったのに対し、定期投与療法における年間出血率の中央値は 7.9 回となり、72.5%の低下が認められました。Intent-to-treat 解析では定期投与群の 17%(17 例中 3 例)が試験期間中、一度も関節内出血を起こしませんでした。

米国においては、「ファイバ」による定期投与療法について、米国食品医薬品局(FDA)へ生物学的製剤の一部変更承認申請(BLA Supplement)を 2013 年 2 月に行っています。

### 血友病および血友病インヒビターについて

血友病は、主として男性に発症する遺伝性の血液凝固異常症であり、血液が凝固するために必要な凝固たん白を十分に産生することができない、または凝固たん白が欠乏している疾患です<sup>1</sup>。血液凝固第 VIII 因子が欠乏しているのが血友病 A、第 IX 因子が欠乏しているのが血友病 B です<sup>2</sup>。血液中の血液凝固因子が不足すると、止血に時間がかかり、内出血などにより激しい痛みや関節症をとまなう可能性があります<sup>2</sup>。また、適切な治療が施されなければ、生命の危険にさらされる恐れもあります<sup>2</sup>。

血友病患者さんは、血液凝固因子製剤を投与することにより、出血部位の止血をはかることができます。また、血液凝固因子製剤を定期的に補充することにより、出血を未然に防ぎます。しかし、血液凝固因子製剤の補

充療法を続けていると、免疫の働きによりインヒビターが発生し、凝固因子製剤の働きが阻害されてしまう場合があります。インヒビターを保有する患者さんに対し、乾燥人血液凝固因子抗体迂回活性複合体を投与することにより、血漿中の血液凝固活性を補い、その出血を抑制します。

血友病は遺伝性の疾患ですが、患者の約 30%は家族歴がなく、遺伝子の突然変異に起因します<sup>3</sup>。世界血友病連合によると、全世界に 40 万人以上の血友病患者がいるとされ、人種や経済圏に関係なく発症します<sup>1</sup>。日本には、4,627 人の血友病 A 患者および 990 人の血友病 B 患者がいると報告されています。また、106 人の血友病インヒビター患者がいると報告されています<sup>4</sup>。

## バクスター株式会社について

バクスター株式会社は、腎不全、血友病、輸液、麻酔・疼痛管理の領域に特化した世界的なヘルスケアカンパニー、米バクスターインターナショナルインクの日本法人で、医薬品、医療機器、バイオサイエンスを中心とした医療サービスを患者さんや医療現場に提供しています。バクスター株式会社は、日本における血友病 A 治療のリーディングカンパニーです。

1. What is Hemophilia? World Federation of Hemophilia. Accessed on: 29 June 2011.
2. Frequently Asked Questions About Hemophilia. World Federation of Hemophilia. Accessed on: 24 August 2011.
3. Hemophilia A. National Hemophilia Foundation. Accessed on: 29 June 2011.
4. 厚生労働省委託事業「血液凝固異常症全国調査」2012 年度報告書

<本件に関するお問合せ先>

バクスター株式会社 コーポレートコミュニケーション部  
(03) 6204 3680 または(03) 6204 3768