



2015年9月4日

各位

## 血友病 A 治療薬のバイスペシフィック抗体「ACE910」 FDA の画期的治療薬に指定 — 中外製薬創製の開発品において三つ目の画期的治療薬に指定 —

中外製薬株式会社〔本社：東京都中央区／代表取締役会長 最高経営責任者：永山 治〕（以下、中外製薬）は、開発中の新規血友病 A 治療薬「ACE910」について、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration：FDA）より「12 歳以上で血液凝固第 VIII 因子のインヒビターを保有する血友病 A 患者さんに対する予防投与療法」として画期的治療薬（Breakthrough Therapy）に指定されましたのでお知らせいたします。

当社取締役専務執行役員の田中裕は「ACE910 が画期的治療薬に指定されたことを嬉しく思います。これまでにない作用メカニズムを持つ薬剤として新たな治療選択肢を提供し、インヒビターを保有する血友病 A 患者さんの治療に貢献できると確信しています」と述べています。

血友病 A は、血液凝固第 VIII 因子の欠乏もしくは機能異常により血液凝固反応が正常に進まず、重篤な出血症状が反復して生じる疾患です。近年、その出血傾向の抑制を目的とし、血液凝固第 VIII 因子製剤を静脈投与する定期補充療法が広く実施されていますが、第 VIII 因子製剤に対する中和抗体（インヒビター）が生じた場合の治療効果の減弱など治療上の課題があり、アンメットメディカルニーズの高い疾患となっています。

ACE910 は、血友病 A 治療において新しいコンセプトを提供すべく、中外製薬が独自の抗体技術を用い、第 VIII 因子の機能を代替することを目的として創製した抗 factor IXa / X バイスペシフィック抗体です。現在、実施中の国内第 I / II 相臨床試験では、インヒビター保有 / 非保有のいずれの患者さんも対象とし、週一回の皮下投与による ACE910 の安全性、および出血抑制を目的とした定期投与の有効性について、探索的な検討を行っています。

（同試験の中間解析結果に関する 2015 年 6 月 23 日当社プレスリリース：

<http://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20150623083001.html>）

画期的治療薬指定は、重篤または致命的な疾患や症状を治療する薬の開発および審査の促進を目的とし、2012 年 7 月施行の FDA Safety and Innovation Act (FDASIA) により導入された制度です。今回の指定は、日本人および白人の健常成人、ならびに日本人の血友病 A 患者さんを対象とした国内臨床第 I / II 相試験に基づくものであり、中外製薬創製の開発品に対しては、アレクチニブ（クリゾチニブ投与後に病勢進行が認められた ALK 陽性の非小細胞肺癌）、トシリズマブ（全身性強皮症）に続く三つ目の指定となります。

なお、日本・台湾・韓国を除く地域における開発権は、2014年にF. ホフマン・ラ・ロシュ社 [本社：スイスバーゼル市／CEO：セヴリン・シュヴァン]（以下、ロシュ社）に導出しています（ロシュ社開発コード：RG6013）。中外製薬とロシュ社は、2015年内にインヒビター保有患者さん、2016年にインヒビター非保有患者さんを対象とした第 III 相国際共同治験をそれぞれ開始する予定です。さらに、小児の血友病 A 患者さんを対象とした開発試験も 2016年に開始予定です。

中外製薬は、「すべての革新は患者さんのために」の事業哲学のもと、ロシュ社とともに、新たな治療選択肢となる ACE910 を患者さんおよび医療従事者に早期に提供できるよう、世界各国における製造販売承認申請に向けた活動に取り組んでまいります。

以上

本件に関するお問い合わせ先：

中外製薬株式会社

広報 IR 部 メディアリレーションズグループ

Tel：03-3273-0881

mailto: pr@chugai-pharm.co.jp

## 【ご参考】

### ACE910 について

ACE910 は、中外製薬にて創製されたバイスペシフィック抗体であり、血液凝固第 VIII 因子と同様に第 IXa 因子による第 X 因子の活性化反応を促進し、血友病 A で先天的に欠損または機能異常を来している第 VIII 因子の活性を補います<sup>1)2)</sup>。ACE910 は第 VIII 因子と異なる分子構造を有することから、インヒビターに影響されずに出血抑制効果を示すことが期待され、これまでの国内臨床試験の中間解析では、ACE910 はインヒビターの有無にかかわらず、週 1 回の皮下投与により良好な結果を示しています。

- 1) Kitazawa, et al. Nature Medicine 2012;18(10):1570
- 2) Sampei, et al. PLoS ONE 2013;8:e57479
- 3) National Hemophilia Foundation

### Breakthrough Therapy (画期的治療薬) について

2012 年 7 月に施行された FDA Safety and Innovation Act (FDASIA) により導入された制度で、重篤または致命的な疾患や症状を治療する薬の開発および審査を促進することを目的としています。Breakthrough Therapy に指定されるためには、一つ以上の臨床的に重要な評価項目において、既存治療を上回る改善を示唆する予備的な臨床上のエビデンスが必要とされています。Breakthrough Therapy 指定は、医薬品の開発および審査を促進する他の FDA の制度とは異なるものの、Fast Track 指定の利点を全て享受できる制度となっています。