

press release

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2018年5月24日(英国現地時間:2018年5月21日発表)

PRESS-18-13

ノボ ノルディスク社が、5月21日に発表したプレスリリースの翻訳版です。内容や解釈については正式言語である英語が優先されます。英文オリジナル版は、[こちら](http://novonordisk.com)(novonordisk.com)をご参照ください。

Refixia®は、第IX因子の総曝露量が遺伝子組換え血液凝固第IX因子 Fc 領域融合タンパク質製剤よりも多いことが示された - 血友病 B 患者さんにおける直接比較臨床試験結果 -

血友病 B の成人患者さんにおいて、Refixia®(一般名ノナコグ ベータ ペゴル(遺伝子組換え); N9-GP)の単回投与では、rFIXFc(遺伝子組換え血液凝固第IX因子 Fc 領域融合タンパク質製剤)よりも、第IX因子の総曝露量が多いことがわかりました。この直接比較の臨床試験(paradigm7)では、Refixia®の半減期がより長いことも確認されました。これらの薬物動態所見は、5月21日、英国のグラスゴーで開催された世界血友病連盟会議 2018年世界大会で発表されました¹。

この臨床試験では、Refixia®を注射にて単回投与(50 IU/kg)*した後の患者さんの血漿中第IX因子の総曝露量は、rFIXFc投与後と比べて4.39倍高いことが、濃度曲線下面積(AUC)より示されました。注射から7日後、Refixia®の単回投与を受けた患者さんの第IX因子活性レベルは、同用量のrFIXFcを投与された患者さんの6倍でした。

(*EMAガイドライン(Guideline on clinical investigation of recombinant and human plasma-derived factor IX products, 2011年7月21日版)及びrFIXFcの用量に基づく)

ドイツのライン-マイン血友病センターのカルメン エスクリオラ エッチングスハウゼン医師は、次のように述べています。「私は臨床医の一人として、血友病 B を抱えて生きる人々が治療目標を達成するのを支援し、出血を予防することがどんなに難しいかを、この目で見ています。これらのデータは、我々がさまざまな治療選択肢について理解し、患者さん一人一人のために適切な治療薬を選ぶ手助けとなるでしょう」

この臨床試験における Refixia®の半減期は103.2時間で、rFIXFcの半減期(84.9時間)より大きく延長していました。さらに、注射から30分後の第IX因子の総活性レベルは、Refixia®がrFIXFcの2倍でした。臨床試験中、インヒビターが生じた患者さんはなく、安全性の懸念も確認されませんでした。

「血友病 B の患者さんとその主治医は、心配なく出血予防ができていると自信を持ちたいのです」と、ノボ ノルディスクのチーフ サイエンス オフィサー、マズ クロスゴートムセンは述べています。「これらの直接比較データは Refixia®の強力な臨床プロファイルを裏付けるもので、血友病 B の患者さんに週1回固定用量というシンプルな投与を、新たな治療選択肢として提供できることとなります」

Paradigm7 臨床試験について

Paradigm7 は、先天性血友病 B(第IX因子活性2%以下)でこれまでに治療を受けたことのある成人男性15名を対象とする、多施設、非盲検、無作為化、クロスオーバーの薬物動態臨床試験であり、3カ国(米国・ドイツ・スイス)で実施されました。患者さんには Refixia®および rFIXFc を、それぞれ21日以上の間隔を空

お問い合わせ先

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

100-0005
東京都千代田区丸の内 2-1-1
明治安田生命ビル

報道関係者用

Tel: 03-6266-1700
医療機関・薬局・患者様用
Tel: 0120-180363
(フリーダイヤル)

ウェブサイト:

www.nvonordisk.co.jp
www.nvonordisk.com

けて注射で単回投与(50 IU/kg)しました。主要評価項目は、投与量で補正した、投与後 0 時間～無限大時間までの、第 IX 因子の活性-時間曲線下面積(AUC_{0-inf,norm})でした。

Refixia®について

Refixia®(一般名ノナコグ ベータ ペゴル(遺伝子組換え); N9-GP)は、血友病 B 患者さんの補充療法のための半減期延長型第 IX 因子製剤です²。Refixia®の承認審査は、paradigm 臨床試験プログラムに基づいています。完了した第 3 相臨床試験では、治療歴のある患者 115 名が、最長 2.7 年にわたって Refixia®による治療を受け、曝露日数は合計 8,800 日を超えました。

(注: 国内では製造販売承認申請中です。)

血友病 B について

血友病は、慢性の遺伝性出血性疾患で、主に男性が発症します。血友病 B の患者さんは、先天性第 IX 因子欠損症であり、適切な血液凝固に必要な第 IX 因子タンパク質を持っていない、もしくはこの因子の機能に障害があります³。

全世界で、3 万人が血友病 B の診断を受けていると推定されます。世界の一部の地域では、この疾患であっても多くの患者さんが未診断となっています⁴。

ノボ ノルディスク社は、デンマークに本社を置き、95 年以上にわたり糖尿病治療に必要な革新的な医薬品の開発を通じ糖尿病ケアの革新をリードしてきました。糖尿病の克服を目指して培ってきた経験や能力は、肥満、血友病、成長障害といったその他の重篤な慢性疾患の領域にも活かされています。ノボ ノルディスク社は現在 79 カ国に約 4 万 2,700 人の社員を擁し、製品は 170 カ国以上で販売されています。日本法人は 1980 年に設立されました。

References

1. Ecuriola Ettingshausen C, Hegemann I, Simpson M, *et al.* A head-to-head pharmacokinetic comparison of N9-GP and rFIXFc in patients with haemophilia B. Presented at the WFH 2018 World Congress, Glasgow, UK, 20-24 May. 2018
2. EMA. Refixia®. Summary of Product Characteristics. Available at: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/004178/WC500232816.pdf. Last accessed: April 2018.
3. Srivastava A, Brewer AK, Mauser-Bunschoten EP, *et al.* Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*. 2013;19:e1-47
4. National Hemophilia Foundation. Fast Facts. Available at: <http://www.hemophilia.org/About-Us/Fast-Facts>. Last accessed: April 2018.