

press release

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2018年7月2日
PRESS-18-18

レフィキシア®[一般名:ノナコグ ベータ ペゴル(遺伝子組換え)]、 半減期延長型の血友病 B 治療薬として国内での製造販売承認を取得

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社(代表取締役社長:オーレ ムルスコウ ベック、本社:東京都千代田区)は、7月2日、ペグ化遺伝子組換え型血液凝固第 IX 因子製剤レフィキシア®静注用 500、同 1000、同 2000[一般名:ノナコグ ベータ ペゴル(遺伝子組換え)]について、「血液凝固第 IX 因子欠乏患者における出血傾向の抑制」を効能・効果として医薬品製造販売承認を取得いたしました。

レフィキシア®は、成人及び小児の血液凝固第 IX 因子欠乏(血友病 B)の患者さんを対象に実施したグローバル臨床試験プログラム paradigm™において、定期的な投与、出血時の投与及び手術時の投与における安全性及び有効性が検討されました。日本人の小児及び成人患者さん計 11 名にも参加いただきました paradigm™の結果から、レフィキシア®は成人でも小児でも、40 国際単位(IU)/kg の週 1 回投与というシンプルな用法用量で出血抑制ができ、さらには出血治療及び手術時の治療も可能である半減期延長型第 IX 因子製剤として承認されました。

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社の常務取締役 開発本部長の杉井寛は次のように述べています。「レフィキシア®は、これまでにない高い血液凝固第 IX 因子(FIX)活性値を長時間維持することができる薬剤です¹。臨床試験では、関節内で繰り返される出血の予防や標的関節^aの解消、健康関連 QOL^bのスコア改善も認められました。レフィキシア®は血友病 B 患者さんが活動の幅を広げ、より生活の制限の少ない日々を過ごしていただくのに役立つ治療オプションの 1 つになると考えています。すみやかに日本の血友病 B 患者さんへお届けできるよう最善を尽くします」

レフィキシア®について

レフィキシア®[一般名:ノナコグ ベータ ペゴル(遺伝子組換え)]は、血友病 B 患者さんの定期補充療法、出血時治療及び手術時使用のための半減期延長型第 IX 因子製剤です²。ペグ化による作用持続時間の延長を含む血中プロファイルの改善を行っています。

承認審査の対象とされた臨床試験プログラム paradigm™では、治療歴のある血友病 B 患者 115 名が、最長 2.7 年にわたってレフィキシア®による治療を受け、その曝露日数は合計 8,800 日を超えました。また、レフィキシア® 40 IU/kg を週 1 回、13 歳以上の血友病 B 患者さんに定期的に投与したとき、定常状態における血中の FIX 活性が非血友病状態の FIX 活性レベルである 0.40 IU/mL を上回る時間は、1 週間のうち 5.4 日と推定されました¹。

なお、レフィキシア®は米国では 2017 年 5 月 31 日に、欧州では 2017 年 6 月 6 日に各々承認を取得しています。

*^a 標的関節：国際血栓止血学会による標的関節の定義は、6ヵ月間に3回以上の自然出血があった関節です。連続した12ヵ月間の出血が2回以内であった場合には、標的関節とはみなされなくなります。

*^bEQ-5D VAS(EuroQoL-5 Dimensions Visual Analog Scale)にて評価を行いました。これは視覚的尺度を用いた総合的な健康状態の評価であり、患者が0(考える最悪の健康状態)から100(考える最良の健康状態)までの視覚的尺度で自己評価を行います。

血友病 B について

血友病は、慢性の遺伝性出血性疾患で、主に男性に発症します。血友病 B の患者さんは、先天性第 IX 因子の欠損あるいは活性低下であり、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。

レフィキシア®に関する過去のプレスリリース

「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 -」

<http://www.novonordisk.co.jp/content/Japan/AFFILIATE/www-novonordisk-co-jp/Extweb/news/2018/05/24/18-13.pdf>

2018 年 5 月 24 日発表

References

1. レフィキシア®添付文書
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.

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。