



News Release

本資料は 12 月 4 日にバイエル ヘルスケア社が発表したプレスリリースを日本語に翻訳したもので、報道関係者各位へ参考資料として提供するものです。この資料の正式言語は英語であり、その内容およびその解釈については英語を優先します。原文は www.bayerhealthcare.com をご参照ください。

バイエル、小児から成人の血友病 A 治療薬として遺伝子組換え型第 VIII 因子製剤 (BAY 81-8973) の販売承認申請を欧州で提出

ベルリン、2014 年 12 月 4 日 - バイエル ヘルスケア社は本日、遺伝子組換え型第 VIII 因子 (rFVIII) 製剤 BAY 81-8973 について、小児から成人の血友病 A 治療薬として欧州医薬品庁 (EMA) に販売承認申請を行いました。BAY 81-8973 は完全長の rFVIII 製剤であり、標準的な投与量で週 2 回または週 3 回の定期補充療法を行なった場合の臨床的有効性が示されました。バイエルは今後、他の国々でも BAY 81-8973 の承認申請を行う予定です。

治験運営委員会メンバーでボン大学の実験血液学・輸血学研究所 (University of Bonn's Institute of Experimental Hematology and Transfusion Medicine) 所長のヨハネス・オルデンバーグ先生は次のように述べています。「LEOPOLD 試験の臨床データから、BAY 81-8973 は標準的な投与量で週 2 回または週 3 回定期的に投与することで、重症血友病患者さんの出血を抑制できることが示されました。投与量や投与頻度を柔軟に選べることにより患者さんや医師の選択肢が広がり、各患者さんに合わせた適切な治療レジメンが選択できます」

バイエル ヘルスケア社の経営委員会メンバーでグローバル開発責任者のヨルグ・メラーは次のように述べています。「長年、バイエルは血友病治療に対して精力的に取り組んできました。今回の BAY 81-8973 の承認申請により、私たちは、血友病患者さんの治療選択肢を改善しようという取り組みにおいて重要な一歩を踏み出しました」

今回の申請は、合計 204 人の小児及び成人の被験者を対象とした 3 つの第 III 相臨床試験の良好な結果に基づいています。LEOPOLD II 試験では、BAY 81-8973 について、定期補充療法の出血時補充療

法に対する優位性が示されました。週 2 回の定期補充療法群では年間出血率 (ABR: annualized bleeding rate) の中央値は出血時補充療法群と比較して 93.3% 減少し、週 3 回の定期補充療法群では 96.7% 減少しました。この試験で被験者は 3 つの投与群に無作為に割付けられ、実際の ABR 中央値は出血時補充療法群で 60 回/年であったのに対し、週 2 回定期補充療法群で 4 回/年、週 3 回定期補充療法群で 2 回/年でした。週 2 回定期補充療法群および週 3 回定期補充療法群のいずれにおいても、一回体重 1kg 当たり 20~40 国際単位 (IU) の投与で十分な出血抑制効果を維持することができました。出血時補充療法で BAY 81-8973 を使用した場合、出血の 95% が 1 回または 2 回の投与により止血できました。臨床的に重要な治療関連の有害事象は認められず、インヒビターの発現は認められませんでした。小児試験では、FVIII 製剤の治療歴のある 12 歳以下の小児患者 51 人に関して、BAY 81-8973 の週 2 回または週 3 回もしくは隔日投与の定期補充療法レジメンで優れた有効性が示され、インヒビターの発現は認められませんでした。FVIII 製剤の治療歴がない小児患者については現在も進行中です。バイエルは、LEOPOLD II 試験の結果を 2014 年 5 月に開催された世界血友病連盟 (WFH: World Federation of Hemophilia) 世界会議で発表しました。

LEOPOLD 試験について

臨床開発プログラム LEOPOLD (Long-Term Efficacy Open-Label Program in Severe Hemophilia A Disease) は 3 つの国際共同臨床試験で構成され、重症血友病 A (第 VIII 因子活性 [FVIII:C] 1% 未満) の被験者を対象に BAY 81-8973 の薬物動態、有効性、安全性を評価する目的で計画されました。

LEOPOLD I 試験は、12~65 歳の男性患者を対象とした無作為化、非盲検、クロスオーバー試験です。試験の目的は、定期補充療法、出血治療、および手術時の止血管理における BAY 81-8973 の有効性および安全性を検討することでした。LEOPOLD II 試験は、同じく 12~65 歳の男性患者を対象とした無作為化、非盲検、クロスオーバー試験であり、この第 III 相臨床試験では、被験者 80 人が、BAY 81-8973 による低用量定期補充療法 (20~30 IU/kg を週 2 回投与、n=28) 群、高用量定期補充療法 (30~40 IU/kg を週 3 回投与、n=31) 群、出血時補充療法群 (n=21) のいずれかに無作為に割付けられました。主目的は、定期補充療法の出血時補充療法に対する優位性を検証することであり、主要評価項目は 12 カ月間投与した時の出血率でした。LEOPOLD Kids 試験は、12 歳以下の小児患者を対象とした非無作為化、非盲検の第 III 相臨床試験であり、定期補充療法、出血治療、および手術時の止血管理における BAY 81-8973 の有効性および安全性を評価します。

血友病 A について

血友病 A は、血液凝固第 VIII 因子欠乏症または古典的血友病ともいわれ、体内の血栓形成に必要なタンパク質の欠乏あるいは低下に起因する、遺伝性の出血性疾患です。血友病 A は最も多いタイプの血友病で、特に関節や筋肉、内臓で自然発生の出血が起こることや、それらの出血が長期に持続するなどの特徴があります。

バイエル薬品株式会社

2014 年 12 月 11 日

Bayer Yakuhin, Ltd./Communications

バイエル ヘルスケアの血液領域について

バイエル ヘルスケアは、革新的治療薬の品揃えを充実させることで、Science For A Better Life (よりよい暮らしのためのサイエンス)をお届けできるよう取り組んでいます。バイエルの血液領域には血友病 A に対する既承認治療薬と、血友病 A、鎌状赤血球貧血、その他の血液疾患および出血性疾患に対するさまざまな開発段階にあるいくつかの化合物があります。これらの製品・化合物は、これらの適応に対するバイエルの研究開発への注力の姿勢を示しており、希少な血液疾患や出血性疾患の治療法を向上させる可能性を持つ標的に対する介入に重点が置かれています。

バイエル ヘルスケア社について

バイエルは、ヘルスケア、農業関連、先端素材の領域を中核事業とするグローバル企業です。バイエル社の一事業グループであるバイエル ヘルスケア社は、ドイツ・レバークーゼンを本拠とし、189億ユーロ(2013年)の売上高を持つヘルスケアと医薬品業界の革新的なリーディングカンパニーです。同社の世界的な事業活動は、動物用薬品、一般用医薬品、メディカルケア(画像診断関連製品、血糖自己測定器等)、医療用医薬品の分野に及びます。バイエル ヘルスケア社の目標は、人々と動物の健康を促進する製品を開発、製造、販売することです。バイエル ヘルスケア社は世界100カ国以上で56,000人(2013年12月31日現在)の従業員が働くグローバル企業です。

www.bayerhealthcare.com

将来予想に関する記述 (Forward-Looking Statements)

このニュースリリースには、バイエルグループもしくは各事業グループの経営陣による現在の試算および予測に基づく将来予想に関する記述 (Forward-Looking Statements) が含まれています。さまざまな既知・未知のリスク、不確実性、その他の要因により、将来の実績、財務状況、企業の動向または業績と、当文書における予測との間に大きな相違が生じることがあります。これらの要因には、当社の Web サイト上 (www.bayer.com) に公開されている報告書に説明されているものが含まれます。当社は、これらの将来予想に関する記述を更新し、将来の出来事または情勢に適合させる責任を負いません。