

---

## バクスター、血友病 A 治療用の、アドベイト (ADVATE) をベースにした 半減期延長型遺伝子組換え第 VIII 因子製剤、BAX855 を厚生労働省に承認申請

---

バクスター株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：土本匡明）は、アドベイト (ADVATE) [ルリオクトオコグ アルファ (遺伝子組換え)] をベースにした血友病 A 治療薬で、半減期延長型遺伝子組換え第 VIII 因子 (rFVIII) 製剤を、4月16日付で厚生労働省に製造販売承認申請しました。

今回の申請は 137 名の治療歴のある患者さん (PTP) を対象とした前向き、グローバル、多施設共同、非盲検、2 群間、第 III 相試験で得られた肯定的結果に基づくものです。その結果、BAX855 が 12 歳以上の患者さんにおける出血時の止血管理および定期補充療法における主要エンドポイントを満たしたことを実証しました。

BAX855 は、世界で 10 年以上の実績を持つ全長第 VIII 因子であるアドベイトをベースとした製剤です。Nektar Therapeutics 社 (NASDAQ : NKTR) との共同研究により、BAX855 は、体内でのたん白質の活性期間を延長するよう設計した独自開発のペグ化技術を活用しています。この独自開発技術は、慢性疾患や重篤な疾患の治療用の多数の承認薬において 10 年以上にわたり用いられています。

### 「アドベイト」について

「アドベイト」は、血液凝固第 VIII 因子欠乏患者に対し、血漿中の血液凝固第 VIII 因子を補い、その出血傾向を抑制することを目的としています。本剤は活性型血液凝固第 IX 因子、リン脂質、カルシウムとともに血液凝固第 X 因子を活性化することにより内因系凝固に寄与します。

「アドベイト」の有効性・安全性プロファイルは実証されています。「アドベイト」は全長（完全な第 VIII 因子遺伝子由来）の遺伝子組換え型第 VIII 因子製剤であり、いかなる血液由来添加物も用いることなく製造されます。製造工程のいかなる段階でも血液由来成分を加えないため、血液由来添加物によって伝染する可能性のある伝染性病原体の潜在的リスクがありません。遺伝子組み換え型第 VIII 因子治療による HIV、HBV、HCV の感染について確認された報告はありません。「アドベイト」は現在、米国、カナダ、EU 加盟国 27 カ国、アルジェリア、アルゼンチン、オーストラリア、ブラジル、チリ、中国、コロンビア、クロアチア、エクアドル、香港、アイスランド、イラク、日本、クウェート、マカオ、マレーシア、メキシコ、モロッコ、ニュージーランド、ノルウェー、パナマ、プエルトリコ、ロシア、セルビア、シンガポール、韓国、スリナム、スイス、台湾、チュニジア、トルコ、ウクライナ、ウルグアイ、ベネズエラを含む世界 64 カ国で承認されています。

アドベイトの処方情報については以下のサイトをご覧ください。

<http://www.baxter.co.jp/downloads/medical/products/jlbmad-pid011.pdf>

## 血友病について

血友病は生涯にわたる出血性疾患です<sup>1</sup>。患者さんは出血を抑制する、血中に自然に分泌されるタンパク質である血液凝固因子を十分に保有していません<sup>2</sup>。血友病患者は、健常人よりも過度あるいは速く出血はしませんが、止血するまでに時間がかかります<sup>2</sup>。深刻な症状は主として男性に発症します<sup>1</sup>。血友病 A はもっとも一般的な血友病のタイプで、多くは先天的な血液凝固第 VIII 因子と呼ばれるタンパク質の不足または欠乏により生じます<sup>1</sup>。日本では、血友病 A では 4,761 人の患者さんがいます<sup>3</sup>。

## バクスターの血友病領域における取組みについて

バクスターは、血友病領域において 60 年以上の実績があり、世界初となる治療法を数多く患者さんに提供してまいりました。業界随一の広範な血友病治療のポートフォリオを有し、各治療ステージに見合うさまざまな選択肢を提供することにより、患者さん個別の選択に対応することが可能です。血友病治療の最適化と世界中の出血性疾患の患者さんの生活改善に向けた研究に重点的に取り組んでおります。

## バクスターインターナショナルリンクについて

バクスターインターナショナルリンクは、その子会社を通して、血友病や免疫不全症、がん、感染症、腎疾患、外傷などに対する医薬品・医療機器を開発および製造販売し、患者さんの救命や生命維持に貢献しています。多様性に富んだグローバルヘルスケア企業として、医薬品、医療機器、およびバイオテクノロジーの専門技術を活用し、世界の医療の向上に寄与する製品を創出します。

1. About Bleeding Disorders: Frequently Asked Questions. World Federation of Hemophilia. Accessed on June 25, 2013. Available at: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637>
2. About Bleeding Disorders: What is Hemophilia? World Federation of Hemophilia. Accessed on June 25, 2013. Available at: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=646>
3. 厚生労働省委託事業「血液凝異常症全国調査」平成 25 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) 5961 7830