

2017年7月6日

報道関係各位

指定難病「遺伝性血管性浮腫(HAE)」の治療薬として 「イカチバント」の製造販売承認を申請

～承認された場合、遺伝性血管性浮腫(HAE)の治療薬として28年ぶりの新薬となり、
日本初の自己注射による早期治療が可能に～

希少疾患や特殊疾患のリーディング・カンパニーである、シャイアー・ジャパン株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：グレン・スノハラ）は、2017年7月6日（木）、国が定める指定難病^{※1}のひとつである遺伝性血管性浮腫（Hereditary angioedema, HAE）の成人向け急性発作の治療薬として開発中のイカチバント（米国における製品名：FIRAZYR[®]）について、国内における製造販売承認の申請を行いましたのでお知らせします。

承認された場合、発作発症時に在宅自己注射による速やかな早期治療が可能となり、患者さんの通院負担やQOLが著しく^{※2}改善されることが期待されます。

遺伝性血管性浮腫（HAE）は、突然顔や唇、手足、消化器などさまざまな部位に腫れやむくみ、激しい痛みが起きる遺伝性の疾患です^{※3,4}。罹患率は5万人に1人の割合で、国内の患者数は推定2,500人^{※5}ですが、実際に治療されている患者さんは400人強にとどまるといわれています。浮腫の症状は2-5日間程度で収まることが多い^{※6}ものの慢性的に繰り返します。

遺伝性血管性浮腫（HAE）の患者さんは、しばしば身動きができなくなるほどの激しい腹痛に襲われたり、唇や顔がひどく腫れて変形し、別人のように変貌してしまうような発作を起こします。さらに、顔面の腫れが時間の経過とともに喉頭におよんだ場合、呼吸困難や窒息を起こす危険もあり^{※7}、発作時は出来る限り早く治療することが推奨されています^{※8}。しかしながら、学校や職場で発症した場合、多くの患者さんにとってその場を離れて速やかに医療機関を受診することは容易ではなく、特に夜間に発症した場合には、その場で早期に治療できる選択肢が存在しないために翌朝まで自宅で我慢を強いられている患者さんが少なくありません。このように、「早期治療」は現在、日本におけるHAE治療の最大のアンメットニーズのひとつとして認識されています。

イカチバントは、一回の注射で速やかに遺伝性血管性浮腫（HAE）の発作症状を緩和させることのできる優れた効果と安全性プロファイルを有する薬剤です。ヨーロッパで2008年に最初の承認を受けた後、既に世界36カ国で承認、販売されており、HAE発作治療の標準薬として、延べ28万人以上^{※9}の患者数に相当するイカチバントが早期治療に貢献しています。またイカチバントは、注射器内に予め充填された自己注射が可能な薬剤として設計されており（プレフィルドシリンジ製剤）、煩雑な投与前準備も必要ありません。

イカチバントの国内第Ⅲ相試験（301試験）の治験責任医師である、広島大学皮膚科学教授 秀道広先生は「イカチバントが承認されれば、遺伝性血管性浮腫（HAE）の多くの患者さんが抱えている、早期治療という未解決の課題を満たすことができるようになります。HAE発作は、適切な治療のタイミングを逸すると致死的となりかねません。イカチバントが速やかに評価・承認され、諸外国と同様に日本のHAE治療にもパラダイムシフトをもたらし、患者さんのQOLが大幅に改善されることを期待します。」と述べています。

また、シャイアーのグローバル臨床開発部門長ホワード・マイヤーは「シャイアーは長年、遺伝性血管性浮腫（HAE）治療のグローバルリーダーとして、患者さんに貢献してきています。欧米において「イカチバント」は、約10年にわたり「早期治療」というアンメットニーズを満たし、患者さんのQOLを高めています。本剤を一日でも早く日本の患者さんにお届けできるように、鋭意準備を進めて参ります」と述べています。

以上

遺伝性血管性浮腫（Hereditary angioedema, HAE）について

遺伝性血管性浮腫（HAE）は、常染色体優位遺伝性の希少性衰弱性疾患です。罹患率は5万人に1人の割合で、国内の患者数は推定2,500人^{※5}といわれていますが、一方で実際に治療を受けている患者数は400人強にとどまるといわれています。浮腫の症状は2~5日間程度で収まることが多い^{※6}ものの慢性的に繰り返すため、日常生活に支障をきたし、消化器に浮腫が生じると激しい腹痛や下痢などの症状を伴い^{※4}、さらに喉頭に生じると呼吸困難や窒息を起こす危険さもあります^{※6}。疾患の認知が低いために、欧州の研究では確定診断までに平均8~16年を要するといわれており^{※10,11}、発症後長期に適切な診断や治療を受けることができない患者さんが数多く存在しています。

シャイアーについて

シャイアーは、希少疾患や特殊疾患の患者さんを専門とした、グローバルなバイオテクノロジーのリーディング・カンパニーです。血液、免疫、神経科、眼科、ライソゾーム病、消化器・内科・内分泌、遺伝性血管性浮腫（HAE）、そして、成長中の腫瘍領域フランチャイズにおいて、革新的な医薬品の開発に努めています。シャイアーの製品は、100ヶ国以上で提供されています。

世界中に多くいる、希少疾患・特殊疾患をもつ患者さんや、効果的な治療法がない患者さんが、より質の高い日常生活を過ごすことができるよう、革新的な医薬品を開発し提供するという使命のもと、シャイアーの社員は日々尽力しています。

www.shire.com

日本のシャイアーについて

日本においても、Shire plc（シャイアー社）の子会社であるシャイアー・ジャパン株式会社およびバクスアルタ株式会社は、希少疾患および特殊疾患の治療薬の開発・販売のほか、それら疾患の認知向上に力を入れています。40年以上の実績をもつ血友病治療分野では、血友病A治療薬「アディノベイト[®]静注用」「アドベイト[®]静注用」、血友病インヒビター治療薬「ファイバ[®]静注用」、血友病B治療薬「リクスビス[®]静注用」と、幅広いラインアップをもち、患者さんに貢献しています。さらに、本態性血小板血症治療薬「アグリリン[®]カプセル」、ゴーシェ病治療薬「ビプリブ[®]点滴静注用」、低並びに無ガンマグロブリン血症治療薬「ガンマガード[®]静注用」を販売しており、2017年5月には、注意欠陥/多動性障害（AD/HD）治療薬「インチュニブ[®]錠」を発売しました。なお、「インチュニブ[®]錠」においては、塩野義製薬株式会社が承認を取得しており、プロモーション提携をしています。

www.shire.co.jp

参考文献

1. 「指定難病」（厚生労働省）、<http://www.rnhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000084783.html>
2. Aleena, B., et al : Current state of hereditary angioedema management: a patient survey Allergy Asthma Proc., 2015, 36(3), 213
3. Bork, K., et al. : Am. J. Med., 2006, 119 (3), 267
4. Bowen, T., et al. : Allergy. Asthma. Clin. Immunol., 2010, 6 (1), 24
5. 「遺伝性血管性浮腫（HAE）ガイドライン改定2014年版」（一般社団法人日本補体学会 HAEガイドライン作成委員会）
6. Agostoni A, Cicardi M. Hereditary and acquired C1-inhibitor deficiency: biological and clinical

- characteristics in 235 patients. Med 1992;71:206-15
7. Bork, K., et al. : J. Allergy. Clin. Immunol., 2012, 130 (3), 692
 8. アレルギー, 2015, 64(9), 1215
 9. シャイアー調べ
 10. Caballero, T., et al. : Allergy. Asthma. Proc., 2014, 35 (1), 47
 11. Bygum, A. : Br. J. Dermatol., 2009, 161 (5), 1153

本件に関するお問い合わせ先 :
シャイアー・ジャパン株式会社
渉外企画・広報部
03-6737-0028
C-ANPROM/JP//0175 July 2017