

報道関係各位

この資料は、米バクスターインターナショナルインクが2014年8月21日に発表しましたプレスリリースを日本語に翻訳再編集し、皆様のご参考に提示するものです。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が優先します。

バクスター、半減期を延長した血友病 A 患者用遺伝子組換え型第 VIII 因子製剤「BAX855」第 III 相試験の主要評価項目の統計学的有意な結果を発表

週 2 回の定期投与レジメンにより、出血時投与との比較で、年間出血率中央値が 95% 低減

2014年8月21日、米国イリノイ州ディアフィールド発

バクスターインターナショナルインク (NYSE : BAX) は、血友病 A 治療用遺伝子組換え型第 VIII 因子 (rFVIII) を基盤とした「BAX855」の第 III 相ピボタル臨床試験の肯定的結果を発表しました。「BAX855」は「アドベイト」(遺伝子組換え型血液凝固第 VIII 因子製剤) に基づき開発され、半減期を延長した治験薬です。この試験では、出血時投与群との比較での定期投与群における年間出血率 (ABR) の低減という主要評価項目が達成されました。

この国際共同前向き多施設第 III 相試験から得られた統計学的解析の結果は、「BAX855」が、12 歳以上の患者の出血のコントロール、定期補充療法および周術期管理における主要評価項目を満たしたことを示しました。週 2 回定期投与群の患者は、出血時投与群との比較で、ABR 中央値の 95% 低減を示しました (それぞれ 1.9 vs. 41.5)。「BAX855」は出血時補充療法についても有効であり、エピソードの 96% は 1 回または 2 回の投与によりコントロールすることができました。「BAX855」の半減期は、第 I 相試験の結果と同じく「アドベイト」の 1.4~1.5 倍でした。「BAX855」に対するインヒビターの発現、及び過敏症などの治療に関連する重篤な有害事象は認められませんでした。本製剤に関連して最もよく認められた (3 例) 有害事象は頭痛でした。

「BAX855 試験の肯定的結果は、新治療の開発を推し進め、血友病の患者さんのための治療選択肢を拡充するという当社の持続的、長期的なコミットメントを示すものです。当社は BAX855 プログラムをさらに進め、本年末までに米国での承認申請を行いたいと考えています」とバクスターのバイオサイエンス事業部グローバル研究開発担当バイスプレジデントであるジョン・オーロフは述べています。

この多施設共同、非盲検試験は、治療歴のある 138 名の青少年および成人の血友病 A 患者を対象に「BAX855」を評価したものです。患者に週 2 回投与 (45IU/kg) または出血時投与による治療を行い、6 ヶ月間追跡しました。本試験の主要目的は、出血時補充療法と比較した場合の治療期間中の ABR の低減でした。また本製剤を定期投与または出血時投与の治療レジメンのいずれかで投与した場合の安全性および免疫原性についても評価を行いました。

バクスターは、「BAX855」の生物学的製剤承認申請 (BLA) を 2014 年末までに米国食品医薬品局 (FDA) に行い、今後数ヶ月で追加データを示す予定です。当社は、ピボタル試験を完了した患者を対象に実施中の継続試験に加え、12 歳未満の治療歴のある 60 名の重症血友病 A 患者を対象として「BAX855」の安全性と有効性を評価する第 III 相、前向き、非盲検、多施設共同試験を開始しています。申請前に 12 歳未満の小児患者を対象に試験を行うことを求める欧州医薬品庁 (EMA) 公表のガイドラインに従い、当社は小児試験の完了時に EMA に医薬品販売承認申請を行う予定です。

「BAX855」は、世界で 10 年以上の臨床使用実績を持つ全長第 VIII 因子である「アドベイト」に基づき開発されたものです。ネクター・セラピューティックス社（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ばすよう設計された特許技術である PEG 化技術を活用しています。この特許技術は、慢性疾患や重篤な疾患の治療用の承認された多数の医薬品において 10 年以上にわたり利用されています。

「アドベイト」について

「アドベイト」は、血友病 A（先天性第 VIII 因子欠乏症つまり古典的血友病）の小児および成人の患者に適応となる遺伝子組換え型抗血友病因子であり、以下を目的としています。

- ・ 出血エピソードのコントロール・周術期管理
- ・ 出血エピソードのコントロールや頻度低減のための定期補充療法

「アドベイト」はフォンビルブランド病の治療については適応となりません。

「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。

バクスターインターナショナルインクについて

バクスターインターナショナルインクは、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。

バクスター株式会社について

バクスター株式会社は、腎不全、血友病、輸液、麻酔、疼痛管理の領域に特化した世界的なヘルスケアカンパニー、米バクスターインターナショナルインクの日本法人です。医薬品、医療機器、バイオテクノロジーを中心とした医療サービスを患者さんや医療現場に提供し、医療に新たな価値を創造します。

<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) 6204 3680