

2017年6月22日

報道関係各位

バイオベラティブ・ジャパン株式会社

## 血友病 B 治療薬オルプロリクス® 静注用 4000 の製造販売承認を申請

バイオベラティブ・ジャパン株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：笠本 浩）は 2017 年 6 月 16 日、血友病 B 治療薬オルプロリクス® 静注用 4000 [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] の製造販売承認申請を行いましたのでお知らせします。

オルプロリクス®は、血友病 B 患者を対象とした長時間作用のヒト遺伝子組換え血液凝固第 IX 因子製剤です。第 IX 因子とヒト免疫グロブリン G1 (IgG1) の Fc 領域が共有結合した構造をもち、IgG1 の Fc 領域は、Neonatal Fc 受容体 (FcRn) との作用を介してリソソーム分解を受けずに循環血液中に再循環されることで、血漿中消失半減期が延長されます。そのため、従来の製剤と比べて半減期の延長が著明に延長<sup>1</sup>された薬剤であり、定期補充療法を実施している血友病患者さんの輸注回数を減らし、身体的負担を軽減することが期待できる<sup>2</sup>薬剤です。

本剤は 2014 年 3 月に米国およびカナダで承認され、日本では 2014 年 7 月に、「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・効果として承認されました。現在、250 国際単位・500 国際単位・1000 国際単位・2000 国際単位・3000 国際単位の 5 製剤が承認されています。

バイオベラティブ・ジャパンは、本剤をラインナップに追加することで、よりきめ細かい治療選択肢を提供することが可能となり、血友病患者さんの QOL 向上により一層貢献して参ります。

### 血友病 B について

血友病 B は、正常な血液の凝固に必要な第 IX 因子が減少または欠乏することにより引き起こされます<sup>3</sup>。世界血友病連盟 (WFH) が 2012 年に行った国際調査では、全世界で約 2 万 8 千人が診断されていると推定しています<sup>4</sup>。

血友病 B の患者さんは、出血を繰り返し、それに伴う痛み、不可逆的な関節障害、また致命的な出血を引き起こすことがあります。第 IX 因子補充療法は出血を止めるために必要な凝固因子に成り代わり、予防的に投与されれば、新たな出血エピソードを回避できます<sup>3</sup>。

## バイオベラティブ・ジャパンについて

バイオベラティブ・ジャパン株式会社は、血友病などの希少血液疾患領域に特化したグローバル・バイオテクノロジー企業である米国バイオベラティブの日本法人です。バイオベラティブは、革新的な治療薬の世界レベルの研究開発とその製品化を通じて、患者さんの人生を変えることに貢献すべく、2017年2月1日バイオジェンの血友病事業から分社して設立されました。バイオジェンの科学的イノベーションの基盤を受け継ぐとともに、血液疾患の患者コミュニティと積極的に協働し、患者さんが最も必要とすることに進歩を生み出すことをミッションとしています。バイオベラティブの開発した血友病治療薬は、20数年ぶりに血友病治療の進展に大きく貢献しました。

バイオベラティブは本社をマサチューセッツ州ウォルサムに置く NASDAQ 上場企業です。

詳細は [www.bioverativ.com](http://www.bioverativ.com) をご覧ください

## 将来予想に関するセーフハーバー

将来の見通しに関する記述には、様々なリスクや不確定要素が内在しています。このため、実際の業績は、かかるリスクや不確定要素の影響を受け、これらの見通しと大きく異なる結果となりうることをご承知おきください。そのようなリスクや不確定要素としては、例えば、ELOCTATE（イロクテイド）および ALPROLIX（オルプロリクス）の売上高に対するバイオベラティブの依存の程度、競合他社との熾烈な製品競争のために、進出している市場においてバイオベラティブが効果的に競争できない可能性、製品の品質または安全性に関わる有害事象の発生を含む安全性に対する懸念、製品開発に関わるリスク、臨床試験に関わるリスク、規制当局の措置に関連するリスク、自社製品および候補製品の製造・供給・販売において第三者に依存することのリスク、バイオベラティブが製造する医薬品について適切なカバレッジ、価格設定および償還を獲得し維持する上での難しさ、知的財産権およびその他保有する財産権の適切な保護を取得かつ維持できない可能性、国際市場において事業を展開することのリスク、現行および将来起こり得る可能性のある医療保障制度改革に関わるリスク、事業開発や研究・開発の機会を見極めて実行に移すことができない可能性、その他のリスクおよび不確定要素などが挙げられますが、これらに限られるものではありません。

将来予想に関する記述は、本プレスリリースの発表日現在における当社の信念と予想に基づいています。当社は、新しい情報や今後の進展などに応じて、これらの将来予想に関する記述を更新し公表する義務を負いません。

---

<sup>1</sup> Powell J. et al.: N Engl J Med. 2013; 369: 2313-2323.

<sup>2</sup> Wyrwich KW. Et al.: Haemophilia. 2016; 22: 866-872.

<sup>3</sup> World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: [http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference\\_A\\_B](http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B). Accessed on: January, 13, 2017.

<sup>4</sup> World Federation of Hemophilia. Report on the Annual Global Survey 2013. Available at: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1591.pdf>. Accessed on: January 13, 2017.