

2019年3月7日

報道関係各位

バイオベラティブ・ジャパン株式会社

sutimlimab の寒冷凝集素症に対する希少疾患用医薬品の指定について

希少血液疾患の患者さんの人生を変えることに邁進するサノフィグループのバイオベラティブ・ジャパン株式会社（本社：東京都中央区、以下「当社」）は、厚生労働省より sutimlimab（治験薬記号；BIVV009、予定効能・効果「寒冷凝集素症（以下、「CAD」）における溶血抑制」）が希少疾患用医薬品の指定を受けたことをお知らせします。

CAD は、慢性自己免疫性溶血性貧血であり、古典的補体経路とよばれる体の免疫系の一部が活性化し、自己の赤血球を誤って破壊（溶血）する疾患です。CAD 患者さんには慢性的な重度の貧血や消耗性疲労があり、死亡リスクおよび脳卒中や心臓発作などの生命を脅かすイベントのリスクが上昇します。現時点で承認されている治療法はありません。現行の治療法は CAD に特化したものではなく、重大な毒性リスクがあり、患者さんは頻繁な輸血に頼らざるを得ない場合が多く、輸血副作用のリスクが高まります。

sutimlimab（治験薬記号；BIVV009）は、C1s（免疫系の補体経路内の C1 複合体に含まれるセリンプロテアーゼ）を標的とした画期的新薬候補のヒト化モノクローナル抗体で、古典的補体経路の活性を阻害します。独特の作用機序と高い標的特異性を持つ sutimlimab は、古典的補体経路における疾患プロセスを選択的に阻害する一方で、免疫監視やその他の諸機能にとって重要な副補体経路やレクチン補体経路の活性は維持します。sutimlimab は米国及び欧州においては、CAD を含む自己免疫性溶血性貧血の治療薬として希少疾病用医薬品として指定を受けています。さらに、米国 FDA より CAD 患者における溶血に対するブレイクスルーセラピー（画期的治療薬）の指定を受けています。

当社は、CAD 患者さんへ本剤をいち早くお届けできるように、国内を含めたグローバル承認申請に向けた準備をしています。

希少疾病用医薬品について

医薬品医療機器法第 77 条の 2 に基づき、対象患者数が国内において 5 万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定する制度です。希少疾病用医薬品に指定された医薬品は、できるだけ早く医療の現場に提供できるよう、他の医薬品に優先して承認審査がなされます。

ブレイクスルーセラピー（画期的治療薬）について

重篤な疾患を対象に、既存の治療薬よりも高い治療効果を示す可能性のある薬剤の開発および審査を促進し、患者さんにより早く新薬を届けるための米国の制度です。

サノフィグループのバイオベラティブについて

サノフィグループのバイオベラティブは、革新的治療法の世界的研究、開発、および製品化を通じ、血友病およびその他の希少血液疾患の患者さんの人生を変えることに邁進しています。バイオベラティブは、血液疾患コミュニティと積極的に連携することに全力を注いでおり、当社の開発した血友病治療薬は上市時、20 数年ぶりに血友病治療の進展に大きく貢献しました。

© Bioverativ Japan Ltd.

BIVV001-JP-0004