

2022年9月26日

後天性血栓性血小板減少性紫斑病(TTP)で新規作用機序 「カブリビ®注射用 10mg」 日本で製造販売承認を取得

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:岩屋孝彦、以下「サノフィ」)は、カブリビ®注射用10mg(一般名:カプラズマブ(遺伝子組換え)、以下「カブリビ®」)について、「後天性血栓性血小板減少性紫斑病」の効能又は効果で、本日、製造販売承認を取得しました。カブリビ®は国内で2020年6月に希少疾病用医薬品に指定されており、後天性血栓性血小板減少性紫斑病(後天性 TTP)において微小血栓を阻害する新規*の作用機序を持つ治療薬となります。

*2022年8月時点

後天性 TTP は、生命が脅かされる稀な自己免疫性血液疾患で、予後不良な急性疾患です。急性期における死亡を防ぐためにも、緊急の治療を要します。後天性 TTP は、止血に関わる蛋白質であるフォン・ヴィレブランド因子(VWF)の特異的切断酵素である ADAMTS13(a disintegrin and metalloproteinase with a thrombospondin type 1 motif, member 13)の活性低下により、血液中に VWF が過剰に重合して蓄積し血小板凝集を引き起こすことが、原因で発症します。

多くの場合、後天性 TTP の診断直後の数日間は集中治療室で現行の治療(血漿交換療法と免疫抑制療法)を受けますが、死亡する患者は最大 20%に及び、その大部分は診断後 30 日以内に死亡しています。死亡率を下げるためには、早期診断・早期治療が重要です。

カブリビ®は、止血に関わる VWF を標的とする薬剤で、VWF と血小板の相互作用を阻害し、微小血栓形成を阻害します。これまで、後天性 TTP の治療薬として微小血栓形成を直接阻害する治療薬はなく、カブリビ®は後天性 TTP に対し新規の作用機序を持つ薬剤として発売することを目指しています。なお、欧州では 2018 年 8 月に、米国では 2019 年 2 月に薬事承認されています。

サノフィは、希少血液疾患領域において、引き続き日本の患者さんに希望をお届けできるよう鋭意努力し、患者さんとそのご家族や医療関係者へ更なる貢献をまいります。

【今回承認された効能又は効果、用法及び用量について】

販売名	カブリビ®注射用10mg
一般名	カプラズマブ(遺伝子組換え)
効能又は効果	後天性血栓性血小板減少性紫斑病
用法及び用量	成人及び12歳以上かつ体重40kg以上の小児には、本剤の投与初日は、血漿交換前に10mgを静脈内投与し、血漿交換終了後に10mgを皮下投与する。その後の血漿交換期間中は、血漿交換終了後に1日1回10mgを皮下投与する。血漿交換期間後は、1日1回10mgを30日間皮下投与する。 なお、患者の状態に応じて、血漿交換期間後30日間を超えて本剤の投与を継続することができる。
国内製造販売承認取得日	2022年9月26日

カブリビ® について

カブリビ®は抗VWFナノボディ®で、欧米で承認を取得したナノボディ®ベースの薬剤としては世界初の製品です（欧米での製品名：Cablivi®）。このナノボディ®は、特許で保護された新たなクラスの治療用タンパク質で、単一ドメイン抗体フラグメントで構成され、自然界に存在する重鎖のみで構成される抗体を応用したモダリティとなります。

caplacizumab の国内第 II/III 相試験について

caplacizumab の国内第 II/III 相試験は単群非盲検試験で、試験開始時に血漿交換療法の実施回数が 1 回以下の後天性 TTP と臨床的に診断された、年齢 18 歳以上の日本人患者 21 名が組み入れられました。caplacizumab は血漿交換療法と免疫抑制療法に加えて投与を開始し、血漿交換療法の終了後 30 日にわたり投与され、その後もなお ADAMTS13 の抑制が持続する場合は、試験責任医師の判断により最長で 8 週間の治療期間延長が認められました。主要評価項目は、per-protocol (PP) 集団における試験期間中に後天性 TTP を再発した患者の割合とし、再発率 20%以下を成功基準としています。

試験の詳細は当社の[プレスリリース](#)をご参照ください。

サノフィについて

サノフィは、人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求する、というゆるぎない使命を原動力に進み続ける革新的でグローバルなヘルスケア企業です。約 100 カ国の社員は、医療を変革し、不可能を可能に変えるため、日々研鑽に努めています。私たちは、社会的責任と持続可能性を企業の本質とし、画期的な医薬品や生命を守るワクチンを開発し、世界何百万もの人々に届けていきます。

日本法人であるサノフィ株式会社の詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。