

2022 年 9 月 30 日

## 血友病 A 治療薬 efanesoctocog alfa 日本での承認申請のお知らせ

### 血液凝固第 VIII 因子活性を高く維持し 血友病 A 患者のアンメットニーズ改善の可能性

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、血友病 A に対する治療薬として開発を進めている efanesoctocog alfa(国際一般名)について、本日、日本で承認申請をいたしましたので、お知らせいたします。efanesoctocog alfa は承認が得られた場合、フォンビレブランド因子に依存しない薬理作用を持つ初めての凝固第 VIII 因子製剤となる見込みで、従来の製剤と比べて半減期が延長されたことにより、週一回の投与でその活性を週の大半にわたり正常～ほぼ正常範囲(40 IU/dL 超)に高く維持することが可能になります。

血友病 A は稀な遺伝性疾患で、第 VIII 因子の欠乏により血液が凝固する機能が損なわれます。血友病患者に出血が発生すると、痛み、繰り返される出血による不可逆的な関節損傷、生命が脅かされるような出血に至るおそれがあります。凝固因子製剤の投与が治療の基本で、様々な治療シナリオがあります。

今回の承認申請はピボタル第 III 相 XTEND-1 試験で得られた肯定的な結果に基づいています。

- ピボタル第 III 相 XTEND-1 試験において、第 VIII 因子補充療法を受けた経験のある 12 歳以上の重症血友病 A 患者(n=159)における efanesoctocog alfa の週 1 回投与の安全性、有効性と薬物動態を検討しました。2022 年 7 月の、第 30 回国際血栓止血学会(ISTH)でも試験結果が発表されました。本試験では、臨床的に意義のある出血抑制効果と、患者比較に基づく事前治療の出血抑制効果に対する優越性が示されました。efanesoctocog alfa の忍容性は良好で、第 VIII 因子に対するインヒビターの発現は認められませんでした。有害事象のうち、比較的高頻度(被験者全体の 5%超)で発現した有害事象は、頭痛、関節痛、転倒及び背部痛でした。
- efanesoctocog alfa の投与により、第 VIII 因子製剤の投与歴のある患者さんの身体的な健康状態、疼痛の強度、関節の状態が統計的に有意かつ臨床的に改善されました。

なお、efanesoctocog alfa は FDA より、2022 年 5 月に第 VIII 因子製剤として初の**ブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)指定**を受けました。また、FDA は efanesoctocog alfa を 2017 年にオーファンドラッグに指定、2021 年 2 月に**ファストトラック審査**の対象に、2022 年 8 月に**優先審査品目**に指定しています。

EU における承認申請は、現在実施中の小児を対象とする XTEND-Kids 試験のデータが得られ次第行う予定で、データ取得と承認申請はともに 2023 年の見込みです。2019 年 6 月には欧州委員会(EC)よりオーファンドラッグ指定を受けました。

サノフィはこれからも、ブランド使命である科学のもたらす奇跡を追求し、希少血液疾患領域において日本の患者さんとそのご家族や医療関係者へさらなる貢献をしております。

