

美國 FDA 將中外製藥用於治療 A 型血友病的雙特異性抗體 ACE910 列入突破性治療藥物認證

-- 中外製藥第三個列入突破性治療藥物認證的備選藥物 --

2015 年 9 月 4 日 東京--中外製藥株式會社 [總部：東京中央區；董事長兼執行長：永山治] (東京：4519) (以下簡稱「中外製藥」) 今天宣布，美國食品藥品管理局(FDA)已將用於治療同時使用抑制劑的 A 型血友病患者的 ACE910 列入突破性治療藥物認證(Breakthrough Therapy Designation)。將用於 12 歲以上 A 型血友病和 FVIII 抑制因子患者的預防治療。

中外製藥總監兼執行副總裁 Yutaka Tanaka 博士表示：“我們很高興 FDA 將 ACE910 列入突破性治療藥物認證。我們相信，ACE910 的新作用模式將提供新的治療選擇，從而造福患者。”

A 型血友病的症狀表現為反復重度出血。由於凝血因子 VIII 的缺乏或功能障礙，該病患者的凝血反應無法正常進行。儘管定期的凝血因子 VIII 替代療法已廣泛用於預防出血，但這種靜脈內治療可能激發抗凝血因子 VIII 中和抗體（抑制劑），該抗體可導致療效降低。鑒於上述情況，A 型血友病具有遠遠未獲滿足的醫療需求。

ACE910 是中外製藥採用專利抗體工程技術研製的雙特異性抗體，旨在模擬凝血因子 VIII 的功能，從而提供治療 A 型血友病的新思路。日本 I / II 期臨床研究目前正在進行中，旨在調查同時使用抑制劑或不使用抑制劑的患者採用 ACE910 每週一次皮下注射在預防出血中的安全性，同時對預防出血的有效性進行探索性調查。

(中外製藥於 2015 年 6 月 23 日發布了有關該研究中期分析結果的新聞稿：

<http://www.chugai-pharm.co.jp/english/news/detail/20150623083000.html>)

2012 年 7 月生效的 FDA《安全性和創新法案》(FDASIA)納入了突破性治療藥物認證，旨在加快用於治療重度或威脅生命的疾病或症狀的藥物的開發和審理。列入 ACE910 是根據在健康的日本人和白人志願者以及日本 A 型血友病患者中展開的國內 I / II 期臨床研究。這是繼 alectinib (用於 crizotinib 治療期間疾病進展的 ALK 陽性非小細胞肺癌患者) 和 tocilizumab (全身性硬皮症)，中外製藥開發的第三個列入此認證的備選藥物。

日本、臺灣和韓國以外地區的開發權授權給 F. Hoffman-La Roche, Ltd. [總部：瑞士巴塞爾；執行長：Severin Schwan] (以下簡稱「羅氏」) (羅氏開發代碼：RG6013)。中外製藥和羅氏

計畫於 2015 年底前在同時使用抑制劑的患者中啟動一項 III 期全球性研究，並於 2016 年在不使用抑制劑的患者中啟動一項 III 期全球性研究。此外，A 型血友病兒科患者試驗的計畫將在 2016 年開始。

中外製藥的經營理念是「創新皆為患者」，基於此，中外製藥將與羅氏攜手合作，在世界各國申請 ACE910 上市，以便儘快為患者和醫療照護專業人員提供新的治療選擇。

[參考文獻]

關於 ACE910

A 型血友病患者缺乏凝血因子 VIII 或凝血因子 VIII 較少。ACE910 是中外製藥研製的雙特異性抗體，能夠與凝血因子 VIII 一樣，透過促進凝血因子 IXa 催化的凝血因子 X 啟動，替代凝血因子 VIII 的功能¹⁾²⁾。ACE910 預期能夠預防出血，無論抑制劑存在與否，因為 ACE910 的分子結構不同於凝血因子 VIII，國內臨床研究的中期分析顯示，ACE910 每週一次皮下給藥可取得良好效果。

1) Kitazawa, et al. Nature Medicine 2012;18(10):1570

2) Sampei, et al. PLoS ONE 2013;8:e57479

3) 美國血友病基金會

關於突破性治療藥物

2012 年 7 月生效的 FDA《安全性和創新法案》(FDASIA)納入了突破性治療藥物認證，旨在加快用於治療重度或威脅生命的疾病或症狀的藥物的開發和審理。要列入突破性治療藥物，需要有初步的臨床證據，證明該藥有可能在至少一個有臨床意義的重要終點上實質性優於現有治療藥物。儘管突破性治療藥物認證不同於 FDA 加快藥品開發和審理的其他系統，但該系統具備快速審查資格的所有益處。

關於中外製藥

中外製藥株式會社是日本領先的研究型製藥公司之一，在生物技術產品領域具有強大實力。中外製藥總部位於東京，專門研究處方藥物，並在東京證券交易所第一部上市。作為羅氏集團的重要成員，中外製藥積極參與日本及海外的研發活動。中外製藥特別致力於開發創新產品以滿足未得到滿足的醫療需求，主要關注腫瘤領域。

在日本國內，中外製藥位於禦殿場和鎌倉的研發設施正攜手開發新型藥物，而位於浮間的實驗室則在推動用於工業生產的技術開發研究。海外方面，位於新加坡的 Chugai Pharmabody Research 主要從事研發工作，專注於利用中外製藥專有的創新抗體工程技術來研發新一代新型抗體藥物。

Chugai Pharma USA 和 Chugai Pharma Marketing 在美國和歐洲展開臨床開發活動。

中外製藥 2014 年的合併收入總計 4,611 億日圓，營業收入為 773 億日圓（採用國際財務報告準則 (IFRS) 核心準則）。

更多資訊可在 <http://www.chugai-pharm.co.jp/english> 網站查閱。

本文為中外製藥株式會社（東京）於 2015 年 9 月 4 日（日本標準時間）發布的新聞稿之中文譯本，供媒體和投資人參考使用。請注意，對內容的理解應以日文原版新聞稿為準，翻譯文件僅供參考。

聯絡方式：

媒體

中外製藥株式會社

Media Relations Group, Corporate Communications Dept.,

Koki Harada

電話：+81-3-3273-0881

電子郵件：pr@chugai-pharm.co.jp

美國媒體

Chugai Pharma USA LLC

Casey Astringer

電話：+1-908-516-1350

歐洲媒體

Chugai Pharma France SAS

Nathalie Leroy

電話：+33-1-56-37-05-21

臺灣媒體

台灣中外製藥股份有限公司

Susan Chou (周淑升) / Osamu Kagawa (香川治)

電話：+886-2-2658-8800

投資人

中外製藥株式會社

Investor Relations Group, Corporate Communications Dept.,

Toshiya Sasai

電話：+81-3-3273-0554

電子郵件：ir@chugai-pharm.co.jp