イデルビオン静注用 250
イデルビオン静注用 500
イデルビオン静注用 1000
イデルビオン静注用 2000

2.2　緒言

CSL ベーリング株式会社

2.2　緒言

本剤（イデルビオン）は新有効成分としてアルブトレペノナコグ　アルファ（遺伝子組換え）［CSL654、遺伝子組換え血液凝固第 IX 因子アルブミン融合糖タンパク質（rIX-FP）］を含む製剤であり、血友病 B 患者に欠乏している止血に必要な血液凝固第 IX 因子（factor IX：FIX）を適切に補充する目的で静脈内投与する。本剤の有効成分（アルブトレペノナコグ　アルファ）は、遺伝子組換え技術により得られるタンパク質であり、遺伝子組換えアルブミンを遺伝子組換え血液凝固第 IX 因子（rFIX）に遺伝子融合させることにより生成される。アルブミンは血漿タンパク質で、血中半減期が約 20 日間と長く、免疫防御にも免疫応答にも関与しない天然の不活性担体である。本剤は FIX が活性化されるまで循環血液中では未変化で、FIX が凝固に必要になった時点でアルブミンが切り離され活性化した FIX が遊離する。このため本剤は、血漿由来血液凝固第 IX 因子（pdFIX）製剤及び半減期の短い遺伝子組換え血液凝固第 IX 因子（rFIX）製剤と比較して血中半減期が長く、全身曝露量が増加することから、定期補充投与における投与と投与の間の効果が、より長く持続するという利点を有する。

血友病 B（第 IX 因子欠乏症）は、X 連鎖劣性遺伝性の出血性疾患であり、FIX タンパク質の欠損又は機能低下により生じる希少疾患である。血友病 B は、臨床症状として、関節、筋肉、又は体内の組織器官において突発性の自然出血や、偶発的外傷及び手術時に出血を呈する。そのため、血友病 B に対する治療の主要目的は、出血を予防することである。FIX 補充療法は、FIX レベルを上昇させることにより血液凝固因子の欠乏を一時的に補正し、その結果、出血が減少する。

現在の補充療法には、pdFIX 製剤及び rFIX 製剤が使われている。pdFIX 製剤及び rFIX 製剤は、定期補充療法、及び周術期を含む出血エピソードに対する急性期の治療のいずれの場合も適応となる。pdFIX 製剤及び rFIX 製剤は、概して安全かつ有効であるが、血中半減期が比較的短いため、出血エピソードの予防及び管理のためには、頻回に投与する必要がある。したがって、安全性が高く、良好な薬物動態プロファイルを有し、投与間隔を長くしても効果が持続する FIX 補充製剤を投与することができれば、患者の治療の負担が減り、コンプライアンスが向上し、患者及び介護者の生活の質が改善することが期待される。

本剤は以下の効能又は効果（案）及び用法及び用量（案）として製造販売承認申請する。

【効能又は効果】
血液凝固第IX因子欠乏患者における出血傾向の抑制

【用法及び用量】
本剤を添付の溶解液全量で溶解し、緩徐に静脈内に注射する。
通常、1 回体重 1kg あたり 50 国際単位を投与するが、患者の状態に応じて適宜増減する。

定期的に投与する場合、通常、体重 1kg 当たり 35～50 国際単位を 7 日に 1 回投与する。また、患者の状態に応じて、体重 1kg 当たり 75 国際単位を 14 日に 1 回投与に変更することもできる。なお、いずれの投与間隔においても投与量は適宜調節するが、1 回体重 1kg 当たり 75 国際単位を超えないこと。