コンシズマブ（遺伝子組換え）

2.2 緒言

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2.2　緒言

コンシズマブ（遺伝子組換え）（以下、コンシズマブ）は、ファースト・イン・クラスとなる組織因子経路インヒビター（TFPI）に対する抗体であり、すべての血友病の分類において、皮下投与による出血予防を目的としたモノクローナル抗体である。コンシズマブは、血液凝固第 VIII 因子（FVIII）又は第 IX 因子（FIX）とは独立して作用を発揮し、活性型血液凝固第 X 因子（FXa）の産生を増加させることにより凝固カスケードの初期相を増強し、止血に十分な量のトロンビンを生成させる。

インヒビターを保有するすべての血友病患者にアンメットメディカルニーズが存在し、インヒビターを保有する血友病 B 患者ではさらに大きい。よって、新しい作用機序を有し、安全で有効な、皮下投与による出血予防の選択肢は、すべてのインヒビターを保有する血友病患者にベネフィットを提供できると考える。

2021 年 2 月 19 日、コンシズマブは「インヒビターを保有する先天性血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子欠乏患者の出血傾向の抑制」を予定される効能又は効果として、厚生労働省により希少疾病用医薬品に指定された。

臨床試験の結果より、コンシズマブによる出血予防（定期投与）は、インヒビターを保有する血友病 A 及び B 患者のいずれにおいても好ましいベネフィットーリスクバランスが認められ、いずれの血友病の分類においても出血エピソードを効果的に予防することができると考える。このように、コンシズマブは、アンメットメディカルニーズに対応し、インヒビターを保有する血友病患者が健常人に近い生活を送ることを可能にし、それによってインヒビターを保有する血友病患者の治療に大きな貢献と改善をもたらすと考えられる。

以上を踏まえ、コンシズマブについて下記製剤の承認申請を行うこととした。

申請する製剤：

アレモ ™ 皮下注 15mg
アレモ ™ 皮下注 60mg
アレモ ™ 皮下注 150mg
アレモ ™ 皮下注 300mg

効能又は効果（案）：

血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子に対するインヒビターを保有する先天性血友病患者における出血傾向の抑制