目次

2.2 緒言 2

2.2 緒言

クロバリマブ（遺伝子組換え）（以下，クロバリマブ［開発コード：RO7112689又はSKY59］）は，ヒト化抗補体第5成分（C5）モノクローナル抗体である。pH 依存的に抗原に結合し，標的を効率的に除去するとともに，胎児性 Fc 受容体（FcRn）への結合を増強し，抗体のリサイクル効率を改善した免疫グロブリン G1（IgG1）サブタイプの抗体である。このような特徴から，機能的半減期が延長し，標的である C5の蓄積を持続的に抑制させることにより，本剤の4週ごとの皮下投与が可能となる。

今般，発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）に対する開発において，補体阻害剤による治療歴のない（以下，「未治療の」）PNH 患者を対象として，本剤とエクリズマブを比較した非盲検ランダム化国際共同第 III 相試験（BO42162試験）における主要解析の結果より，本剤のエクリズマブに対する非劣性が示され，良好な忍容性が確認された。また，補体阻害剤による治療を受けていた PNH 患者を対象として，本剤とエクリズマブを比較した非盲検ランダム化国際共同第 III 相試験（BO42161試験，当初の計画に沿った有効性の検証に必要となる十分な検出力を担保する患者数を確保できないことが予想されたため，2022年9月に有効性の評価を探索的かつ記述的な位置づけに変更），未治療の中国人 PNH 患者を対象とした単群第 III 相試験（YO42311試験），並びに健康成人及び PNH 患者（未治療の患者及び治療を受けていた患者を含む）を対象とした国際共同第 I/II 相試験（BP39144試験）の結果からも本剤の有効性及び安全性を支持するエビデンスが得られた。

これらの結果に基づき，中外製薬株式会社は予定する効能又は効果を「発作性夜間ヘモグロビン尿症」として，本剤の製造販売承認申請を行うこととした。

販売名	ピアスカイ注340mg
申請区分	(1) 新有効成分医薬品
効能又は効果	発作性夜間ヘモグロビン尿症
用法及び用量	通常、クロバリマブ（遺伝子組換え）として、患者の体重を考慮し、初回（1日目）に1回1,000又は1,500mg を点滴静注し、2、8、15及び22日目に1回340mg、29日目以降4週ごとに1 回680又は1,020mg を皮下投与する。