

## 研究結果報告書（概要）

研究課題名： 血友病治療薬の臨床評価における留意事項に関する検討

主たる研究者（所属部署）： 岡田 真由美（ワクチン等審査部、新薬審査第四部、再生医療製品等審査部）

### 【目的】

国内で承認された血友病治療薬の臨床試験の計画、成績、並びに臨床的有効性及び安全性に関する機構の審査内容について検討し、血友病治療薬の臨床試験における有効性及び安全性の評価項目等について総括し、今後の治験相談や審査時の臨床試験の評価に役立てることを目的とする。

### 【研究方法】

2013年度以降に国内で承認された血友病治療薬を研究対象とした。公開されている審査報告書、添付文書等を用い、申請区分、開発様式（国内開発、国際共同試験等）、臨床試験デザイン、主要試験の主要評価項目、試験成績、機構の審査内容について品目横断的に検討した。

### 【結果・考察】

直近9年間に国内で承認された血友病治療薬は、血液凝固第VIII因子製剤8品目9申請、血液凝固第IX因子4品目5申請、バイパス製剤2品目2申請、非因子製剤1品目2申請の計15品目18申請であった。主要試験は、新有効成分医薬品の場合、国内開発のバイパス製剤1品目を除き国際共同第III相試験であった。主要試験の多くで年間出血率（ABR）を主要評価項目としていた。承認用法・用量は、出血時治療は多くが国内既承認薬と同一とされ、定期的投与は、臨床試験の用法・用量を基に設定されていた。血友病領域は、以前から個別化医療が最も推進されている領域であるが、定期的投与の用法・用量の承認により、患者にとって治療の選択肢が増加し、さらにその傾向が加速することが示唆された。

### 【結論】

調査対象とした血友病治療薬の多くは、国際共同試験を主要試験とした臨床データパッケージにて申請され、主要試験の多くでABRが主要評価項目とされていた。今後は実臨床での定期的投与の普及や非因子製剤の開発状況等を踏まえて、新たな臨床評価の考え方を検討していく必要がある。