

厚生労働大臣賞

血液凝固第Ⅷ因子機能を代替する バイスペシフィック抗体医薬の創製

<受賞者>

中外製薬株式会社

奈良県立医科大学 医学部長 嶋 緑倫

<功績>

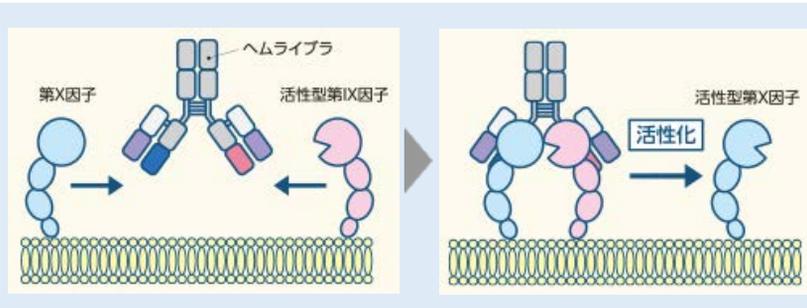
中外製薬株式会社は、**血友病Aで欠乏/欠損している第Ⅷ因子の機能を代替するため、活性型第Ⅸ因子と第Ⅹ因子を架橋するバイスペシフィック抗体を創製し、奈良県立医科大学との共同研究を経て、エミシズマブ（ヘムライブラ®皮下注）として実用化した。**本剤は、現在、世界90カ国以上で承認されている。

<業績>

血友病Aは、血液凝固第Ⅷ因子の欠乏/欠損により血液凝固反応が正常に進まず、重篤な出血症状が反復して生じる疾患である。本業績のバイスペシフィック抗体※1は、活性型第Ⅸ因子と第Ⅹ因子に結合して架橋することにより、第Ⅷ因子の機能※2を代替し、出血傾向を抑制する。

ヘムライブラ®皮下注は、従来、週数回の静脈内投与が必要だった第Ⅷ因子製剤に対して、1週に1回、または2週もしくは4週に1回のいずれの間隔でも皮下投与で出血予防が可能な製剤であり、静脈血管確保の必要がなく、自己注射や家庭内投与の負担が激減するなど、患者と家族のQOL向上に大きく貢献している。また、本剤は約15%の第Ⅷ因子に相当する活性を維持することにより、軽症化することが可能である。同時に、第Ⅷ因子に対する同種中和抗体（インヒビター※3）の有無にかかわらず有効であるなど、画期的な治療を提供するとともに、医療費のコストダウン効果も期待される。本剤は世界90カ国以上で承認（日本では2018年に承認）され、2019年において日本円換算で1,500億円を超える年間売上げを達成するブロックバスター※4となっている。

中外製薬株式会社は、創薬研究から臨床開発を一貫して産学連携で進めるとともに、バイスペシフィック抗体医薬の生産技術を新たに確立した。奈良県立医科大学の嶋氏は本剤の解析・評価、臨床試験の設計・推進に大きく貢献した。この業績は、世界に先駆けた日本発の創薬である。



※1、バイスペシフィック（二重特異性）抗体：2つの抗原結合部位がそれぞれ異なる抗原と結合するように改変された抗体

※2、第Ⅷ因子の機能：止血の場において、活性型第Ⅸ因子が触媒する第Ⅹ因子活性化反応を促進する生理機能

※3、インヒビター：投与された血液凝固因子に対して免疫反応が働き出現し、その因子の機能を阻害する抗体。

※4、ブロックバスター：画期的新薬であり、その対象疾患領域において突出した売り上げを誇る医薬品。通常、全世界における年間売上げが10億ドル以上の医薬品をブロックバスターと呼ぶ。

<参考> 中外製薬HP

https://smile-on.jp/patients/patients1_1.html