

開発の経緯

ヌーイック静注用(一般名:シモフトコグ アルファ(遺伝子組換え))は、Octapharma AG(本社:スイス)が創製した、ヒト胎児由来腎細胞株HEK293Fにより産生された遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤です。

本剤はBドメイン除去型で、化学修飾や他のタンパク質との融合を行っていません。

Octapharma AGは本来ヒトに存在する血液凝固第Ⅷ因子に近い製剤を開発するため、ヒト由来の細胞であるヒト胎児由来腎細胞株HEK293Fを宿主細胞として本剤を開発しました。一般的に、タンパク質は生合成過程において翻訳後修飾を受けることで機能が調節されています。タンパク質の翻訳後修飾の一つである糖鎖付加は、ヒトとマウスやハムスターでは異なることが知られています。本剤はヒト由来の細胞を用いているため、ハムスターやマウス由来の細胞を用いて産生される遺伝子組換え型製剤でみられる糖鎖であるN-グリコシルノイラミン酸(Neu5Gc)やGal α (1,3)Galは認められていません。

本剤の臨床開発プログラムは、欧州連合のガイドライン及び米国のガイドラインを考慮し策定され、2009年から開始されました。

本剤は2014年7月に「血友病A患者における出血の治療と予防のための薬剤」として、欧州医薬品庁(EMA)により承認されました。2015年9月には「血友病Aの成人及び小児患者における出血エピソードのオンデマンド療法及び止血管理、手術時の出血管理、出血エピソードの発現頻度を減少させるための定期補充療法」を適応として米国食品医薬品庁(FDA)により承認されました。

本邦における承認申請には、治療歴のある重症血友病A患者(PTP)を対象とした6つの試験と治療歴のない重症血友病A患者(PUP)を対象とした試験並びにその継続試験を用いました。このうち日本人を含む治療歴のある成人重症血友病A患者を対象とした国際共同試験GENA-21b試験を主要な試験として、藤本製薬が2020年1月に医薬品製造販売承認を申請しました。2021年1月22日に、「血液凝固第Ⅷ因子欠乏患者における出血傾向の抑制」の効能又は効果で承認されました。

2021年時点では、すべての年齢層の血友病A患者における出血の治療及び予防を対象に、米国、オーストラリア及び欧州各国を含む50以上の国又は地域で承認されています。