

ラスカー財団・ラスカー賞について



LASKER
FOUNDATION



■ ラスカー財団について

- 1942年に、アルバート・ラスカー、メアリー・ラスカー夫妻によって設立
- 国際的に高い評価を受けるラスカー賞の授与、教育活動、社会への働きかけを通じて、生物医学には人々の命を救い、生活をより豊かなものにする力があることを広く伝えている
- 生物医学研究への支援を提唱し、病気や障害の予防や治療に貢献することを目指す

■ ラスカー賞について

- 米国で最も権威ある生物医学研究賞として知られ、1945年の賞創設以来、360人がラスカー医学研究賞を受賞。このうち101人のラスカー賞受賞者がノーベル賞を受賞、過去20年間では28人
- 1985年にラスカー基礎医学研究賞およびノーベル生理学・医学賞を受賞したジョセフ・L・ゴールドスタイン氏が議長を務める国際審査委員会によって受賞者が選出される

重要な注意事項

- 本プレゼンテーションには、中外製薬の事業及び展望に関する将来見通しが含まれていますが、いずれも、既存の情報や様々な動向についての中外製薬による現時点での分析を反映しています。実際の業績は、事業に及ぼすリスクや不確定な事柄により現在の見通しと異なることもあります。
- 本プレゼンテーションには、医療用医薬品や開発品の情報を含む場合がありますが、本カンファレンスが対象とする参加者への情報提供を目的としたものであり、これらはプロモーションや広告、医学的なアドバイス等を目的とするものではありません。

次第

1. 受賞者コメント
2. エミシズマブ（ヘムライブラ）の創製
3. 質疑応答

※記者会見終了後、受賞者3名のフォトセッションを予定しております。あわせて、TV局の方で受賞者への個別取材をご希望の方は、当日、受付または広報担当者までお申し付けください。



 ロシュ グループ

日本で生まれた挑戦が、世界の血友病A治療を変えた — エミシズマブ（ヘムライブラ）の創製 血友病Aの方々の人生を変えたい、その思いから始まった挑戦

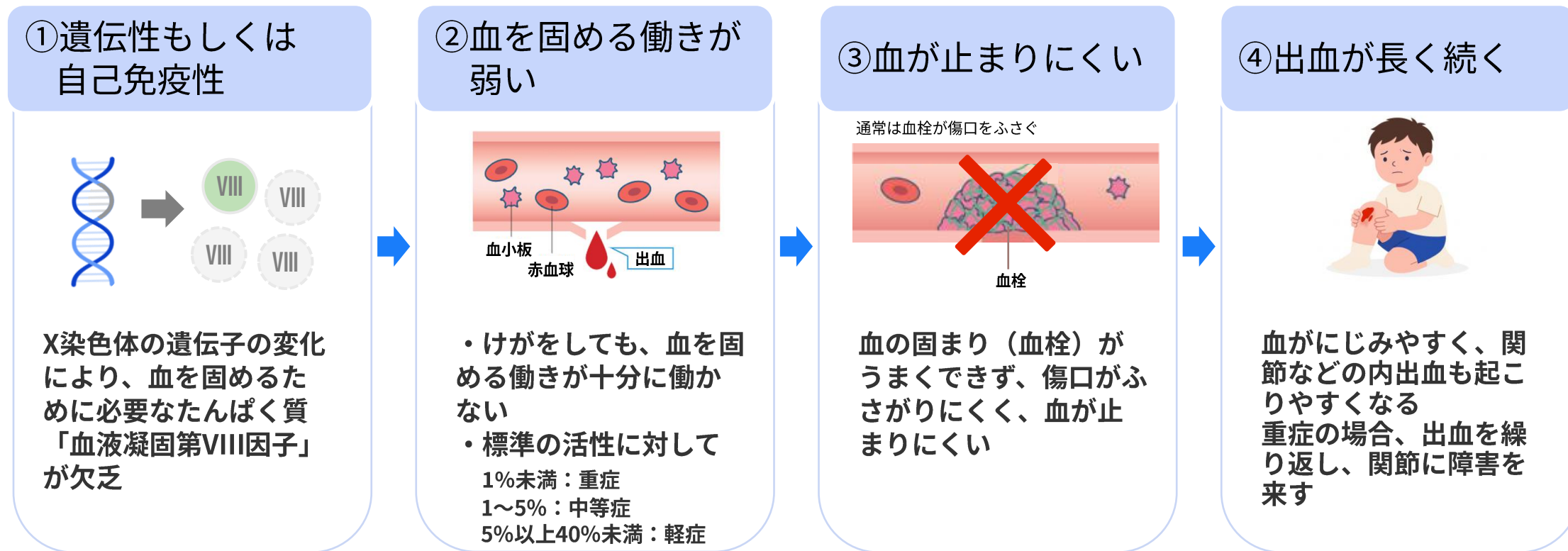
2026年9月10日

中外製薬株式会社

服部 有宏 北沢 剛久 井川 智之

血友病Aとは

- 血を固めるために必要なたんぱく質「血液凝固第VIII因子」が欠乏しており、血が固まりにくい体質です



血友病Aの方々の人数

- ・世界：224,353人（男性202,548人、女性8,223人、性別不明13,557人）¹更に多いと推測される
- ・日本：3,813人（男性3,685人、女性128人）²

血友病Aの医療課題

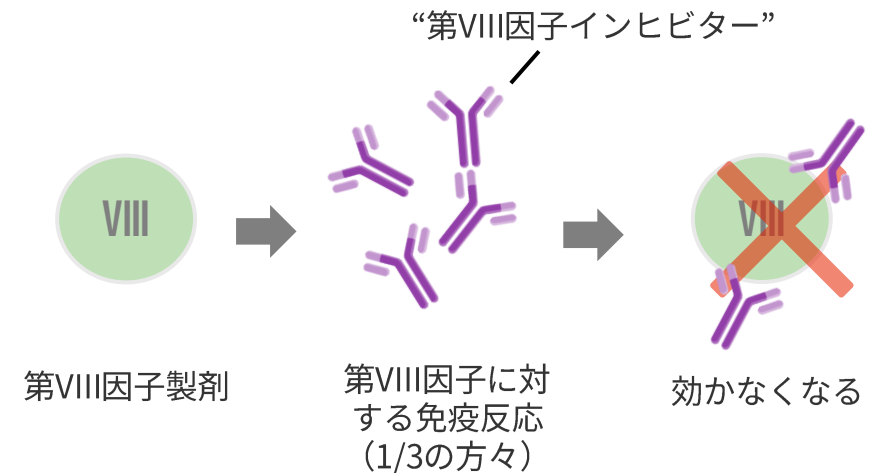
- 第VIII因子を補充する家庭療法の難しさや負担、および第VIII因子に対する免疫反応の課題から、より負担が少なく、多くの方々に使用できる治療法が求められていました

家庭で週数回の静脈注射が必要



静脈に正確に注射針を入れる難しさや痛みなどから、負担を感じる
(特にお子さん・投与を担うご家族)

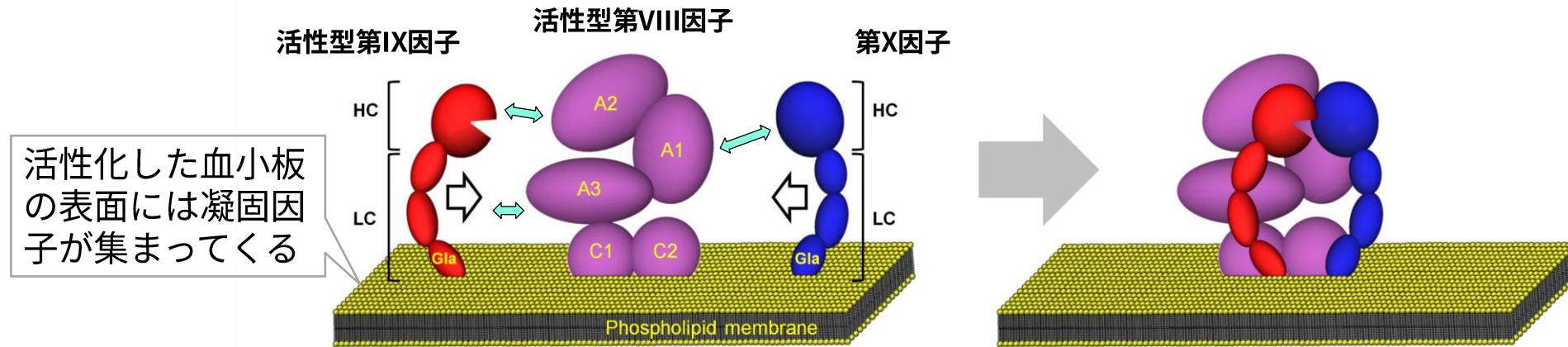
第VIII因子に対する免疫反応による無効化



血友病Aにて”異物”となる第VIII因子に対する免疫反応（第VIII因子インヒビター）が生じると、第VIII因子製剤は効きにくくなる

独自の着想：バイスペシフィック抗体で第VIII因子の機能を代替

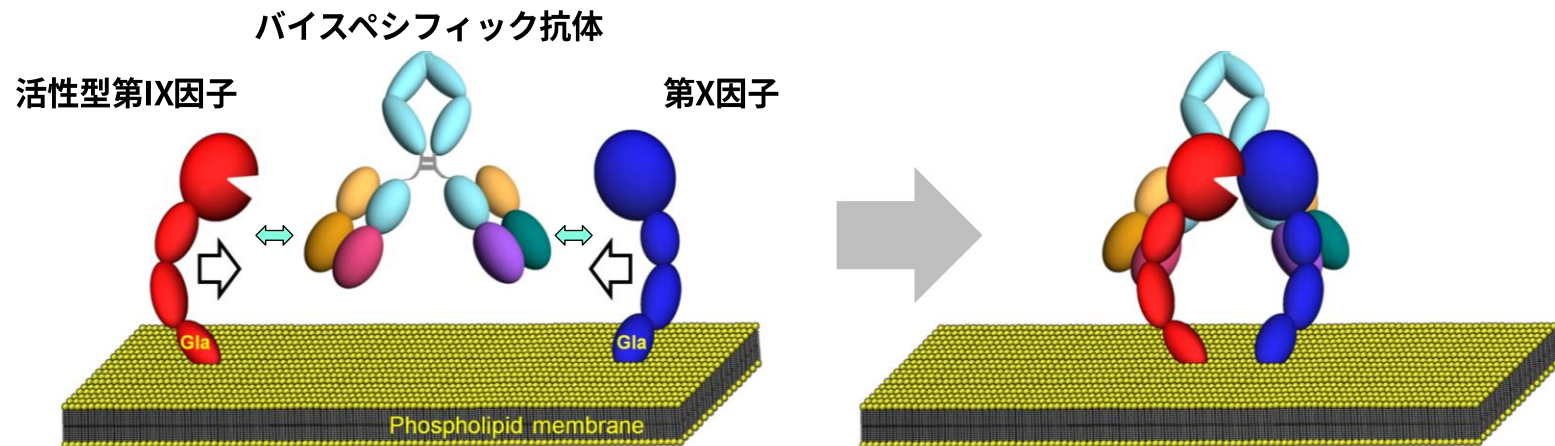
第VIII因子の機能・・・活性型第IX因子が第X因子を活性化する反応を促進する



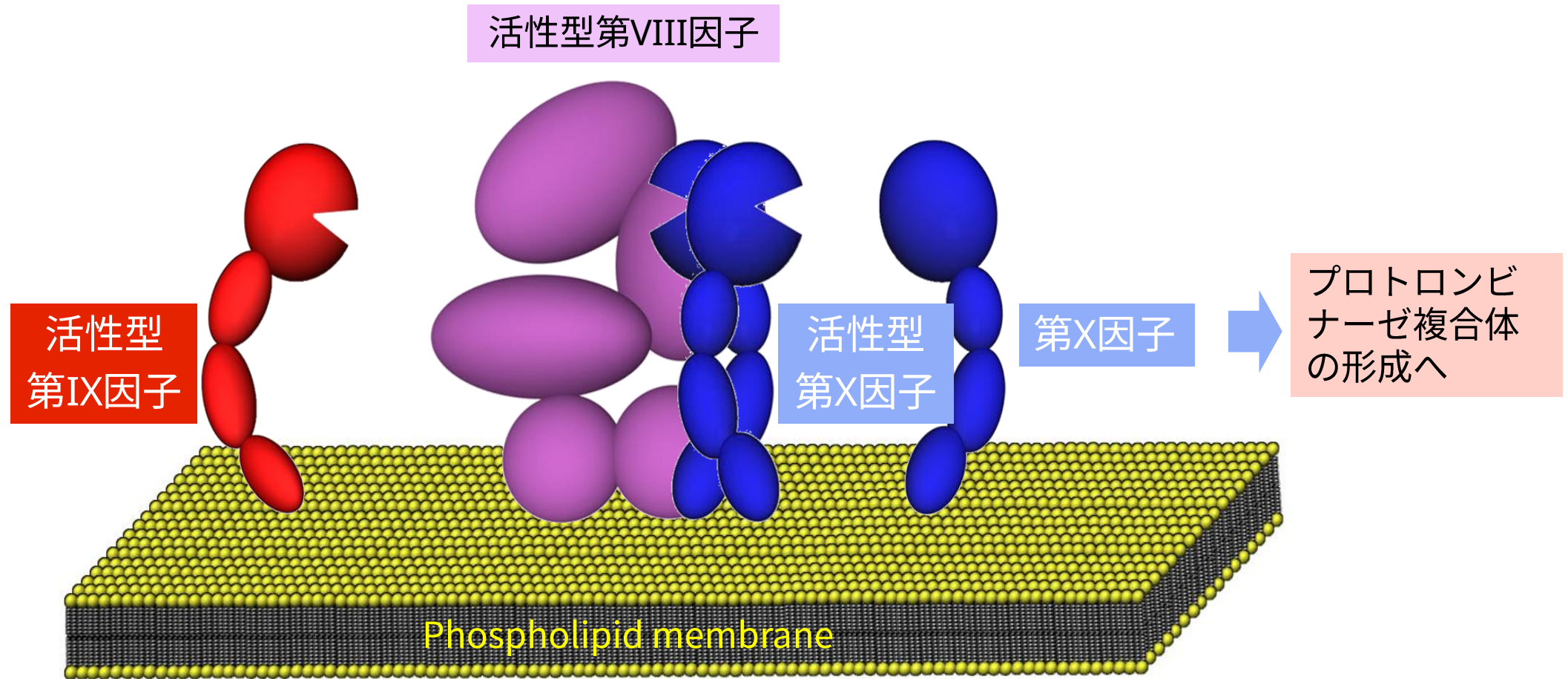
Kitazawa, Igawa. ..., Hattori. *Nat Med.* 18(10) 1570 (2012)

第VIII因子機能をもつ抗体を創製できるのでは？

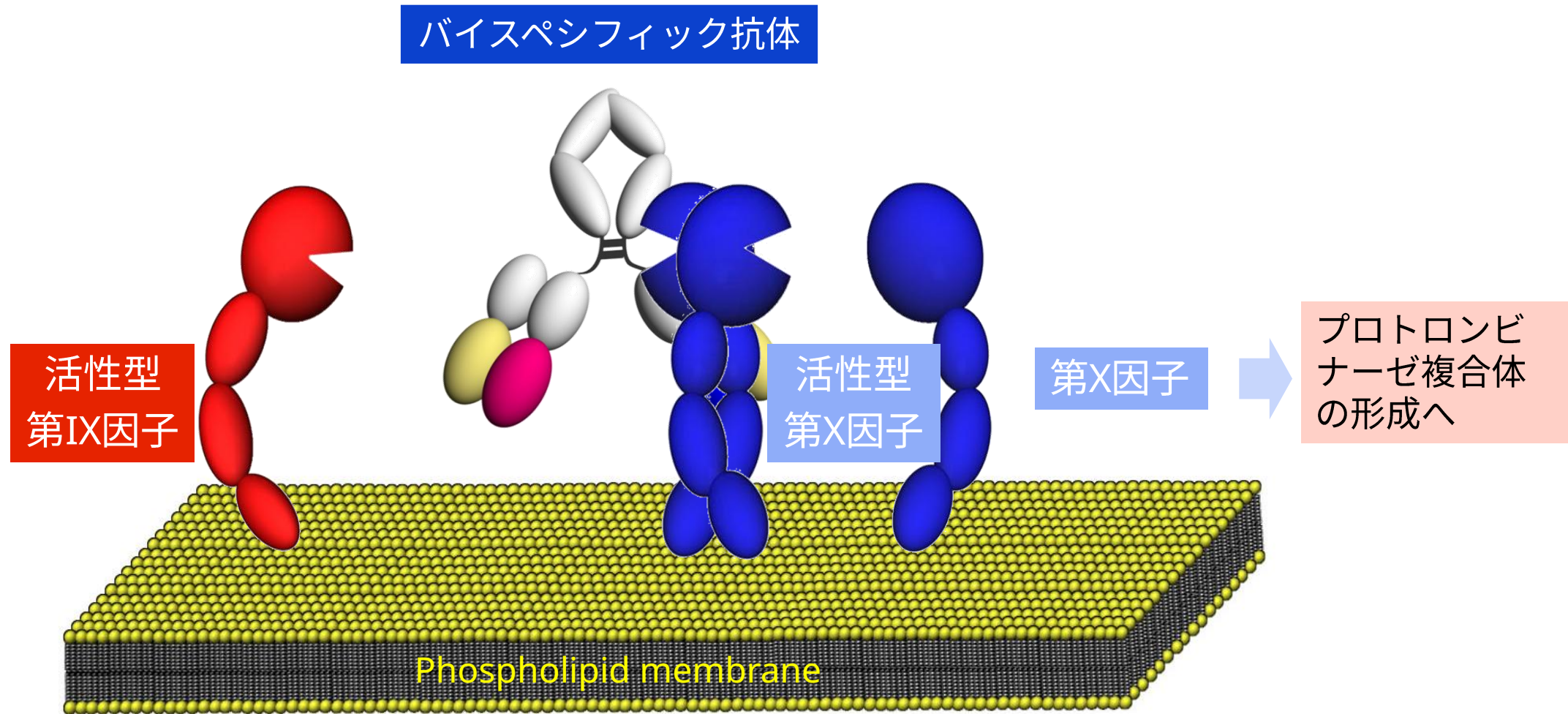
片腕で活性型第IX因子、他方の腕で第X因子に結合するバイスペシフィック抗体で上記作用を再現



独自の着想：バイスペシフィック抗体で第VIII因子の機能を代替



独自の着想：バイスペシフィック抗体で第VIII因子の機能を代替



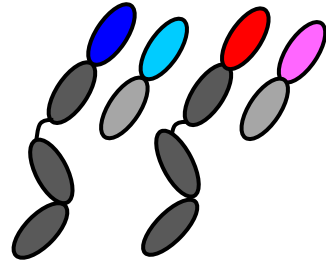
試行錯誤を重ねたリード抗体の同定

- 460 → 4,000 → 40,000種類のスクリーニングを繰り返し、一時は中止判断を乗り越えた再挑戦でリード抗体を同定しました



バイスペシフィック抗体の商業製造の課題

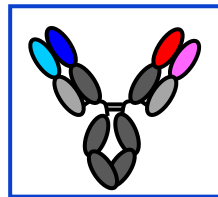
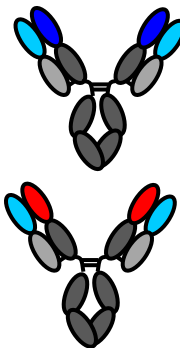
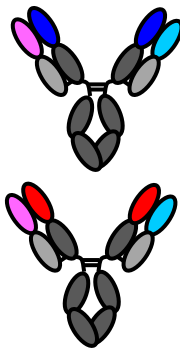
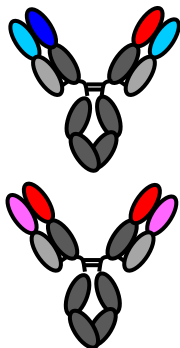
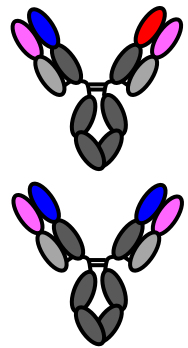
- 医薬品として実用化、大量生産するには課題がありました



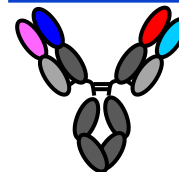
2種類の重鎖と2種類の軽鎖の遺伝子を細胞に導入し、細胞培養によって抗体たんぱく質を産生させる必要がある



ランダムに10種類の組合せができてしまう（9種類は不純物）



正しい組合せ

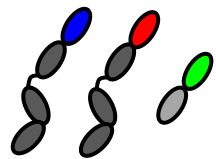


正しい組合せの抗体産生はわずかであり、大部分が不純物
 産生効率が低く、不純物との分離が困難
 薬として安定して大量生産することができない

課題を解決したART-Ig技術の開発

- 独自のART-Ig技術によって、純度の高い効率的な製造が可能となり、商業生産を実現しました

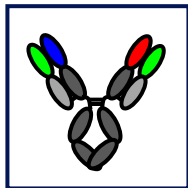
1 誤った組合せの種類を減らす方法



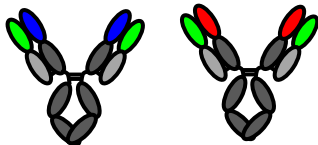
両方の腕で共通して働く軽鎖を同定する方法



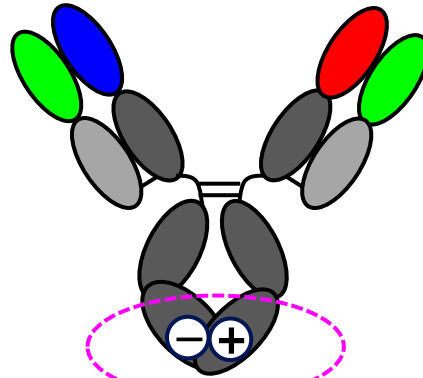
組合せは3種類に低減
(2種類は不純物)



正しい組合せ



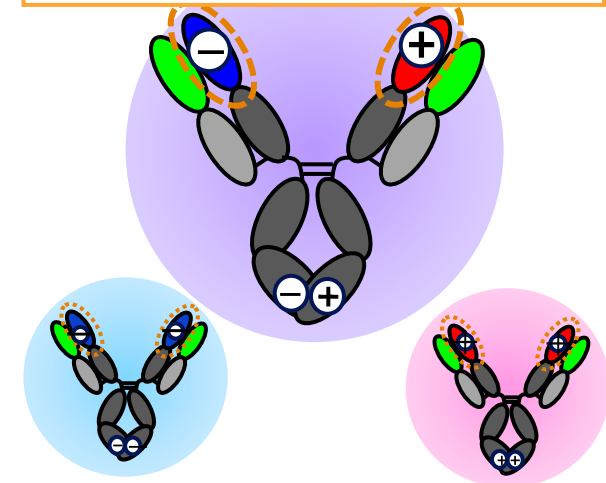
2 正しい組合せができやすくする方法



静電的な相互作用（引力・反発）によって、異なる重鎖の組合せ（目的の抗体）ができやすくする方法

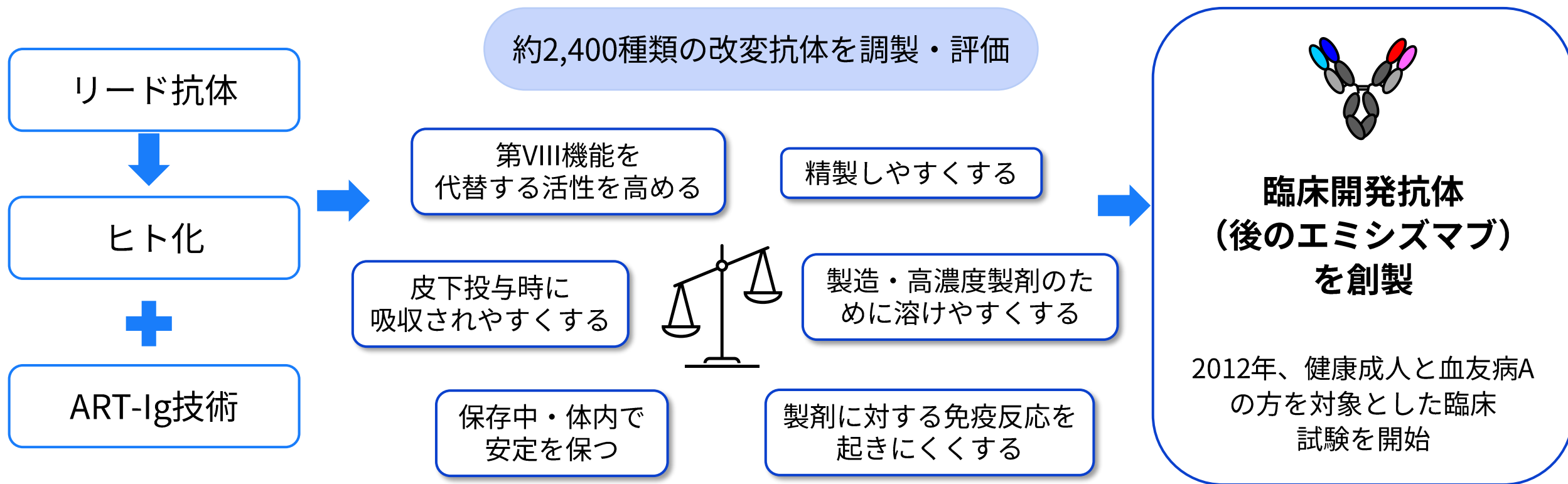
3 それでも少量生じる不純物を除く方法

電荷の特性を利用して、分子の性質に差をつける工夫で分離可能にする方法



多面的な最適化で後にエミシズマブとなる分子誕生

- 設計と評価を繰り返し、有効性と安全性等のバランスが取れた、開発可能な分子を創製
- 臨床開発抗体、後にエミシズマブとなる分子が誕生しました



反復的な試行錯誤により、有効性・安全性・持続性・
製造性などを同時に満たす最適化

臨床試験でエミシズマブの出血予防効果を確認

- 血友病Aの方々を対象とした臨床試験において、第VIII因子インヒビターの有無、重症度、成人・小児を問わず、血友病Aにおけるエミシズマブの出血予防効果および忍容性が確認されました

HAVEN1～4試験統合解析¹

目的	血友病A患者におけるヘムライブラの長期での安全性、有効性、及び薬物動態について、HAVEN1試験～HAVEN4試験を統合して検討すること。
対象	HAVEN1試験 ² ：12歳以上のインヒビター保有血友病A患者 113例 HAVEN2試験 ³ ：12歳未満のインヒビター保有血友病A患者 88例 HAVEN3試験 ⁴ ：12歳以上のインヒビター非保有重症血友病A患者 152例 HAVEN4試験 ⁵ ：12歳以上のインヒビター保有／非保有血友病A患者 48例
解析対象	登録例数：401例 有効性解析対象(ITT集団)：400例 安全性解析対象：399例
結果	【有効性】 主要評価項目である試験全体での治療を要した24週間おきの年間出血率（ABR）は1.4回/年でした。また、副次的評価項目の治療を要した出血が0回であった方は投与1～24週では70.8%（277/391例）、その後24週ごとに経時的に解析し、投与121～144週時点では82.4%（140/170例）だった。 【安全性】 新たな安全性上の懸念は確認されず、主な有害事象は注射部位反応（27.8%）だった。

※本剤は、一部国内の承認外の用法及び用量による臨床試験の成績も含めた臨床データパッケージで評価され、承認されました。そのため、国内承認されている用法及び用量と異なる記載が含まれます。

1. Michael U, et al. Blood (2021) 137 (16): 2231–2242, 2021
 2. Oldenburg J, et al: N Engl J Med. 377(9): 809-18, 2017
 3. Young G, et al: Blood. 134(24): 2127-38, 2019
 4. Mahlangu J, et al: N Engl J Med. 379(9): 811-22, 2018
 5. Pipe SW, et al: Lancet Haematol. 6(6): e295-e305, 2019

エミシズマブによる血友病A治療の変化

- 製品名Hemlibra/ヘムライブラとして、承認・発売。
- 2017年に米国、2018年に日本および欧州で承認、現在では120以上の国・地域で承認を取得。これまで3万人を超える血友病Aの方々に投与
- 出血頻度を低減するとともに投与負担を軽減し、生活の可能性を広げる治療へ

1 家庭療法の負担

- 皮下注製剤で家庭での簡便な投与
- 投与間隔の選択
週1回、2週に1回、4週に1回
- 小児と家族の心理的、時間的な変化

2 第VIII因子インヒビター保有者への治療機会提供

- 非保有者と同等の出血予防効果を実現
- 生活の質への影響が示唆

3 出血予防・関節への影響

- “治療を要する出血”や“出血頻度”の減少が確認
- 出血抑制と同時に、関節障害への影響が示唆

Sato et al. The Japanese Journal of Pediatric Hematology/Oncology. 59(1) 19 (2022)
 Fletcher et al. Health Expect. . 25(1) 443 (2022)
 Shima et al. Haemophilia. 25(6)979 (2019)
 Shima et al. Haemophilia. 27(1)81 (2021)
 Shimozawa et al. J. Nihon Univ. Med. Ass. 82(1) 23 (2023)

Callaghan et al. Blood. 137(16) 2231 (2021)
 Oldenburg et al. Haemophilia. 25(1) 33 (2019)
 Mancuso et al. Haemophilia. 26(6) 1009 (2020)
 Mahlangu et al. N Engl J Med. 379(9) 811 (2018)
 Shima et al. Res Pract Thromb Haemost. 9(8)103228 (2025)
 Astermark et al. Haemophilia. 31(6) 1271 (2025)

今後に向けて私たちが取り組むこと

■ まだ満たされていない医療課題の解決に取り組んでいきます

より自分らしく生活できる未来の実現

- より優れた治療法の開発
 - 生活スタイルにかかわらず「出血ゼロ」
 - 治療負担をさらに軽減を目指して



より多くの方々へ届けられるよう

- 世界中で治療アクセスを拡げるべく、力を尽くし続ける
 - 血友病ステークホルダーとともに歩む
- 科学的エビデンスのさらなる創出と、それらに基づいた確実な治療を提供する



謝辞

治験にご協力くださった血友病Aの皆様とご家族へ

勇気をもってご参加くださったことが、この治療の誕生につながりました

奈良県立医科大学をはじめとする医療関係者の皆様へ

臨床現場からの知見とご指導、熱意ある協働に支えられました

ロシュ・ジェネンテックの皆様へ

グローバルでの開発と供給を支え、世界の血友病Aの方々へ届けてくれました

ラスカー財団へ

この栄誉に深く感謝いたします
この受賞を大きな励みとし、さらなる挑戦を続けてまいります

研究・開発を共に進めてくれたすべての皆様に感謝いたします

お問い合わせ先

広報IR部

報道関係者の皆様：メディアリレーションズグループ

Tel : 03-3273-0881
E-mail : pr@chugai-pharm.co.jp
担当 : 香西、塩原、平野、宮澤、和泉

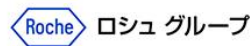
投資家の皆様：インベスターリレーションズグループ

Tel : 03-3273-0554
E-mail : ir@chugai-pharm.co.jp
担当 : 櫻井、島村、山田、池ヶ谷、大塚

創造で、想像を超える。



中外製薬



ロシュ グループ



自分を生きる。血友病と生きる。

Smile-On