

Press Release

本資料は、カルビスタ ファーマシューティカルズの米国本社が 2025 年 1 月 21 日に発表したプレスリリースの日本語抄訳であり、参考資料として提供するものです。本資料の正式な言語は英語であり、内容と解釈に関しては英語が優先します。原文は[こちら](#)をご参照ください。

報道関係者各位

2025 年 1 月 28 日

カルビスタ ファーマシューティカルズ ジャパン株式会社

カルビスタ、遺伝性血管性浮腫(HAE)の経口急性発作治療薬 セベトラルスタットが国の希少疾病用医薬品の指定を受け、製造販売承認を申請 承認されれば、日本で初めての経口投与可能な HAE 急性発作治療薬に

カルビスタ ファーマシューティカルズ ジャパン株式会社は、セベトラルスタット(sebetralstat)が厚生労働省による希少疾病用医薬品の指定を受けるとともに、同製品の承認申請を行ったことのお知らせします。セベトラルスタットは遺伝性血管性浮腫(HAE)の成人および 12 歳以上の小児患者を対象とした急性発作治療薬として開発中の経口投与可能な新規血漿カリクレイン阻害薬であり、承認されれば、日本で初めての経口 HAE 急性発作治療薬となる見込みです。

カルビスタ ファーマシューティカルズの最高経営責任者(CEO)である、ベンジャミン・L・パレイコは次のように述べています。「今回の日本におけるセベトラルスタットの承認申請は、この重要な新しい治療薬をできるだけ多くの HAE 患者さんへお届けするという、私共の願いを大きく前進させるものです。そして、今回セベトラルスタットが希少疾病用医薬品に指定されたことは、日本において新規作用機序を有する効果的かつ経口投与が可能な HAE 急性発作治療薬が強く求められていることを示すと同時に、セベトラルスタットが、既存薬では解決できない困難を抱えている患者さんに対し、有用な解決策となり得ることを反映していると考えています。当社は、HAE 患者さんと医療従事者の皆様の治療環境を向上する上で、最前線に立っていることを誇りに思っています。」

本承認申請は、第 3 相 KONFIDENT 試験結果および進行中の非盲検継続投与 KONFIDENT-S 試験のデータを含めて実施されました。

第 3 相 KONFIDENT 試験について

本試験は、遺伝性血管性浮腫(HAE)の成人者および 12 歳以上の小児患者を対象とする経口薬として、セベトラルスタット 300 mg および 600 mg の有効性および安全性をプラセボと比較検討する無作為化、二重盲検、3 群交差法の臨床試験です。20 カ国 66 の医療施設で実施され、136 名の HAE 患者が無作為に割り付けられた、HAE を対象とした最大規模の臨床試験です。被験者は、1 回の HAE 発作につき最大 2 回分の用量の試験薬を服用し、試験期間中に最大 3 回の HAE 発作において試験薬を服用しました。被験

者は、無作為割付け前の 90 日以内に HAE 発作を 2 回以上起こした 1 型または 2 型 HAE 患者であり、長期予防療法を受けていた患者も含まれています。

第 3 相 KONFIDENT-S 試験について

本試験は、1 型または 2 型遺伝性血管性浮腫(HAE)の成人患者および 12 歳以上の小児患者を対象とし、HAE 急性発作治療におけるセベトラルスタットの長期的な安全性および有効性を検討する、多くの実臨床要素を反映した非盲検継続投与試験です。カルビスタ ファーマシューティカルズは、米国において 2026 年にセベトラルスタットの新規口腔内崩壊錠剤(ODT)の適応追加申請を行う予定であり、本試験の被験者に対して治験薬を同剤形へ移行しています。承認されれば、口腔内崩壊錠剤は HAE 患者さんにとって、さらに新たな経口急性発作治療薬の選択肢を提供することが期待されています。

セベトラルスタット(sebetralstat)について

セベトラルスタットは、遺伝性血管性浮腫(HAE)の経口薬として開発されている、新規の血漿カリクレイン阻害薬です。当社は、12 歳以上の HAE 患者を対象とする初めての経口急性発作治療薬として、複数国においてセベトラルスタットの製造販売承認を申請しました。また、現在 2~11 歳の小児患者を対象とした国際共同治験も実施しています。セベトラルスタットは、承認が得られた場合、HAE 疾患管理における世界的な標準治療となりうる潜在的な可能性があります。

遺伝性血管性浮腫について

遺伝性血管性浮腫(hereditary angioedema: HAE)は、C1-エステラーゼインヒビター(C1INH)タンパク質の欠損(1 型 HAE)または機能不全(2 型 HAE)を原因として、カリクレイン・キニン経路が制御不能な活性化を起こす希少遺伝性疾患です。疼痛および衰弱を伴う浮腫の発作が体のさまざまな部位に出現し、発作部位によっては生命を脅かすこともあります。現在承認されている治療薬は、すべて静脈内または皮下投与を必要とします。

KalVista Pharmaceuticals, Inc.について

カルビスタ ファーマシューティカルズは、アンメット・メディカル・ニーズの高い疾患の患者を対象とし、大幅な生活改善に貢献する経口薬の創薬および開発に注力する世界的な製薬会社です。開発中の主力製品であるセベトラルスタットは、遺伝性血管性浮腫(HAE)の新規経口急性発作治療薬です。セベトラルスタットは、現在米国食品医薬品庁(FDA)による承認審査を受けており、また、当社は欧州医薬品庁(EMA)および数カ国の規制当局への製造販売承認申請を完了しています。

カルビスタ ファーマシューティカルズの詳細については、www.kalvista.com をご覧ください。

※カルビスタ ファーマシューティカルズ ジャパン株式会社

弊社は、アンメットニーズが極めて高い希少疾患の治療薬の研究開発から商業化までを行う米国カルビスタ ファーマシューティカルズの日本法人です。

将来予想に関する記述

本プレスリリースには、1995 年米国民事証券訴訟改革法 (Private Securities Litigation Reform Act of 1995) の免責条項で定義される「将来予想に関する記述」が含まれています。将来予想に関する記述では、「期待する」、「予定する」、「計画」、「目標」、「目指す」、「考える」、「予想する」、「予測する」、「見込む」、「戦略」、「将来」、「恐らく」、「可能性がある」、「すべきである」、「今後～をする」、およびその他将来に言及する表現が使用されます。これらの記述は多くのリスクおよび不確実性に左右されることがあり、実際の結果と当社の予測との間に大きな相違が生じる場合があります。将来予想に関する記述には、次のような記述が含まれます: 米国食品医薬品庁 (FDA) との調整の時期および結果、当社の治療薬候補の安全性および有効性に関する予測、当社の治療薬候補を対象とした臨床試験の時期および結果、当社の臨床試験を開始する能力および KONFIDENT-S 試験・KONFIDENT-KID 試験を含めた進行中の臨床試験を完了させる能力、当社のセベトラルスタットおよびその他開発中の治療薬候補の承認を取得する能力、セベトラルスタットの商業化活動の成果、セベトラルスタットおよびその他開発中の治療薬候補の遺伝性血管性浮腫 (HAE) またはその他疾患に対する治療効果、開発段階にある経口 Factor XIIa 阻害薬の今後の進捗および成功する可能性。当社の事業および業績に影響を及ぼす可能性がある潜在的风险の詳細は、米国証券取引委員会 (Securities and Exchange Commission) に提出している書類 (2023 年 4 月 30 日を期末とする年間報告書 (フォーム 10-K)、四半期報告書 (フォーム 10-Q)、その他米国証券取引委員会に時折提出している報告書) に記載されています。当社は、新たな情報、今後の動向、その他事由により時折書面または口頭で行う将来予想に関する記述について、公的に更新する義務を一切負いません。

本資料に関するお問い合わせ先

カルビスタ ファーマシューティカルズ ジャパン広報事務局
コスモ・ピーアール 関
電話: 080-9434-6797 Email: kalvistaPR@cosmopr.co.jp