# BioCryst、日本で小児 HAE 患者を対象としたオラデオ®の承認を取得

*2 歳以上 12 歳未満の HAE 患者にも対象を広げ、1 日 1 回の経口予防薬という治療選択肢を提供*

**ノースカロライナ州リサーチトライアングルパーク — 2026 年 8 月 24 日 —** BioCryst Pharmaceuticals, Inc.（Nasdaq：BCRX）は本日、1 日 1 回経口投与薬のオラデオ®（一般名：ベロトラルスタット）について、日本において、2 歳以上 12 歳未満の遺伝性血管性浮腫（HAE）小児患者における発作の発症抑制を適応として、厚生労働省より製造販売承認を取得したことを発表いたしました。

BioCryst の社長兼最高経営責任者（CEO）である Charlie Gayer は、次のように述べています。「日本で小児 HAE 患者さんに対するオラデオの使用が承認されたことは、世界中の HAE 患者さんに 1 日 1 回の経口治療薬をお届けするという当社の目標に向けた重要な一歩です。日本の小児 HAE 患者さんの治療負担を軽減し、生涯にわたりこの疾患と向き合う患者さんとご家族に、より利便性の高い経口予防薬という選択肢を提供できることを誇りに思います。」

小児 HAE 患者では、治療に注射剤が用いられる場合があり、患者および保護者・介護者の負担となることがあります。オラデオ顆粒分包（米国ではペレット製剤と呼ぶ）は、小児が服用しやすいように開発された製剤で、口に直接入れて水または牛乳とともに速やかに飲み込むか、スプーン 1 杯分の柔らかい非酸性食品とともに服用することができます。

今回の承認は、C1 インヒビター欠損に起因する HAE を有する 2 歳以上 12 歳未満の患者を対象に、オラデオの薬物動態、安全性および有効性を評価した APeX-P 臨床試験の 48 週間の評価結果に基づくものです。同試験は、小児 HAE 患者を対象とする長期予防試験として最大規模の試験です。APeX-P 試験の 48 週間の評価結果は、複数のアレルギー・免疫学関連学会で発表され、学術誌『Annals of Allergy, Asthma & Immunology』に掲載されました。この結果では、オラデオの忍容性は概ね良好で、当該年齢層において安全性に関し、成人の安全性と同様の一貫した結果が確認されました。また、これまでの試験で認められたもの以外に新たな安全性上の懸念は認められず、月間発作率の早期かつ持続的な低下が示されました。最も多く報告された治療下で発現した有害事象（TEAE）は、上咽頭炎でした。

BioCryst は、薬価収載手続きの完了後、日本で小児 HAE 患者を対象にオラデオ顆粒分包を発売する予定です。OrphanPacific, Inc.は、BioCryst の日本における提携パートナーであり、製造販売承認を保有しています。

オラデオは、2 歳以上の HAE 患者に対する日本初かつ唯一の標的型経口予防薬です。カプセル製剤は、成人および 12 歳以上の小児 HAE 患者における発作の発症抑制を適応として、2020 年 12 月に米国食品医薬品局（FDA）より承認を取得しており、現在、日本を含む世界 45 カ国以上で承認されています。2025 年 12 月には、経口ペレット製剤（日本では顆粒分包と呼ぶ）が、米国で 2 歳以上 12 歳未満の小児 HAE 患者における発作の発症抑制を適応として承認されました。

日本では、オラデオのカプセル製剤が成人および 12 歳以上の小児 HAE 患者における発作の発症抑制を適応として 2021 年 1 月に厚生労働省より承認を取得しており、今回の承認はオラデオの国内で 2 件目の薬事承認となります。

BioCryst は、欧州医薬品庁（EMA）およびカナダ保健省（Health Canada）にも、2 歳以上 12 歳未満の HAE 患者に対するオラデオの使用について承認申請しています。その他の国・地域でも、順次、規制当局への申請を予定しています。

詳細については、https://orladeyo.jp/をご覧ください。
日本における承認内容については、厚生労働省および PMDA の公開情報もご参照ください。

**APeX-P について**

APeX-P は、C1 インヒビター欠損に起因する HAE を有する 2 歳以上 12 歳未満の患者を対象として、オラデオの薬物動態、安全性および有効性を評価する継続実施中の非盲検試験です。オラデオの投与開始前に、患者は 12 週間の標準治療（SOC）を受けました。オンデマンド治療を必要とする HAE 発作の頻度および医療従事者によるケアを必要とする発作数を、12 週間の SOC 期間と 48 週間のオラデオ投与期間との間で比較しました。被験者（n=29）は、ベースライン時の体重に基づき、4 つのコホートのいずれかに組み入れられました。

**オラデオ®（ベロトラルスタット）について**
オラデオ®（ベロトラルスタット）は、成人患者および 2 歳以上の小児 HAE 患者における遺伝性血管性浮腫（HAE）発作の発症抑制を目的として開発された、初めてで唯一の経口治療薬です。1 日 1 回投与のオラデオは、血漿カリクレイン活性を低下させることにより、HAE 発作を抑制します。

**適応および有害事象報告**

**適応**
オラデオ®（ベロトラルスタット）は、成人患者および 2 歳以上の小児 HAE 患者における遺伝性血管性浮腫（HAE）発作の発症抑制を適応とする血漿カリクレイン阻害剤です。

**有害事象報告**
副作用が疑われる有害事象を報告する場合は、BioCryst Japan 03-4216-8260（平日 9:00 - 18:00（土日祝、会社休日を除く））までご連絡ください。

**BioCryst Pharmaceuticals について**

BioCryst は、遺伝性血管性浮腫（HAE）およびその他の希少疾患の治療薬の開発・商業化に注力するグローバルバイオテクノロジー企業であり、これらの疾患とともに生きる人々の生活向上に深く尽力しています。BioCryst は、初の 1 日 1 回投与の経口血漿カリクレイン阻害剤であるオラデオ®（ベロトラルスタット）を商業化しており、希少疾患に対するファースト・イン・クラスまたはベスト・イン・クラスとなる可能性のある治療薬候補の開発を進めています。詳細については、www.biocryst.com をご覧いただくか、LinkedIn で当社をフォローしてください。

**将来予測に関する記述**

本プレスリリースには、規制当局への申請、商業化および潜在的な有用性を含む、HAE を有する 2 歳以上 12 歳未満の小児患者に対するオラデオの使用に関する BioCryst の見通しなど、将来予測に関する記述が含まれている。これらの記述には、既知および未知のリスク、不確実性ならびにその他の要因が伴い、BioCryst の実際の結果、業績または成果が、将来予測に関する記述において明示または示唆された将来の結果、業績または成果と著しく異なるものとなる可能性がある。これらの記述は、将来の事象に関する当社の現時点での見解を反映しており、仮定に基づくとともに、リスクおよび不確実性を伴う。こうした不確実性を考慮し、これらの将来予測に関する記述を過度に信頼すべきではない。本プレスリリースに含まれる将来予測に関する記述に影響を及ぼす可能性のある要因の一部として、以下が挙げられる。オラデオの商業化計画（1 日 1 回投与の経口顆粒製剤に関する計画を含む）を BioCryst が成功裏に実行する能力、オラデオ経口顆粒製剤の商業的実現可能性、臨床試験の中間解析結果から必ずしも最終結果を予測できるとは限らないこと、価格設定および償還に関する決定その他の措置が想定された時期に行われない、またはまったく行われない可能性、当該決定その他の措置の結果が BioCryst の現時点での見通しと一致しない可能性など、政府による措置に関連するリスク、その他の該当する規制当局が 2 歳以上 12 歳未満の小児 HAE 患者に対するオラデオの使用を想定された期間内に承認しない、またはまったく承認しない可能性、開発プログラムまたはその実施に不備があると最終的に判断する可能性、追加情報または追加試験を要求する可能性、当社の安全性および有効性に関する結論に同意しない可能性、一定の制限、警告またはその他の要件を課す可能性、オラデオに関して臨床試験一時停止命令（クリニカルホールド）を行う可能性、またはオラデオの製造販売承認を保留もしくは遅らせる可能性、ならびに、承認後に FDA、厚生労働省およびその他の該当する規制当局がオラデオの製造販売承認を取り消す可能性。このリストは網羅的なものではない。より包括的なリスクの一覧については、BioCryst が米国証券取引委員会に定期的に提出している書類、具体的には BioCryst の最新の Form 10-K による年次報告書、Form 10-Q による四半期報告書および Form 8-K による臨時報告書をご参照ください。これらの書類には、実際の結果が BioCryst の将来予測に関する記述に示された結果と著しく異なる原因となり得る重要な要因が記載されている。

**お問い合わせ：**

**投資家向け：**
investorrelations@biocryst.com

**報道関係者向け：**
media@biocryst.com