



2018年8月10日

## サノフィジェンザイム、 ゴーシェ病Ⅲ型の治療薬を評価する第Ⅱ相臨床試験を開始

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:ジャック・ナトン、以下「サノフィ」)は、サノフィのスペシャルティケア グローバルビジネスユニットであるサノフィジェンザイムが、ゴーシェ病Ⅲ型に対する経口治療薬として現在開発中の **venlustat** の第Ⅱ相臨床試験 (LEAP 試験) に、1 例目の日本人患者さんが登録されたことをお知らせします。

ゴーシェ病は希少な遺伝性疾患で、世界で約1万人が診断されています。ゴーシェ病Ⅰ型は神経症状を伴わない疾患であるのに対し、ゴーシェ病Ⅱ型は乳児期に発症し、臓器症状と神経症状が急速に進行します。ゴーシェ病Ⅲ型では、慢性的臓器・神経症状を伴います。ゴーシェ病の非神経系症状に対しては治療選択肢が存在しますが、脳内に到達してゴーシェ病Ⅲ型に伴う神経症状に効果を発揮する医薬品は、未だ承認されていません。

サノフィジェンザイム ジェネラルマネジャーのパスカル・リゴディは、次のように述べています。「サノフィジェンザイムは、ゴーシェ病の患者さんにおけるアンメット・ニーズを満たすべく、30年間以上にわたり治療薬の開発をリードしてきました。ゴーシェ病Ⅲ型の患者さんは、**venlustat** が非臨床試験において示したような脳内に到達する特性を有し、本疾患の消耗性の神経症状を改善する医薬品を必要としています」

LEAP 試験は、2 期からなる非盲検多施設国際共同試験で、**venlustat** とセレザイム® (一般名:イミグルセラゼ(遺伝子組換え))を併用した治療の安全性と忍容性を検討し、有効性を探索する試験です。試験の第1期では、ゴーシェ病Ⅲ型の成人患者において、ゴーシェ病Ⅰ型患者からゴーシェ病Ⅲ型患者を識別する中枢神経系バイオマーカーを測定し、**venlustat** による治療に適した患者さんを特定します。試験の第2期では、ゴーシェ病Ⅲ型の成人患者における **venlustat** の安全性と忍容性を検討し、有効性の探索的検討を行い、脳脊髄液中の中枢神経系バイオマーカーの変化を検討します。本試験に関する詳細については、<https://www.clinicaltrials.gov/> または <https://www.clinicaltrialsregister.eu> をご覧ください。

本試験について、東京慈恵会医科大学小児科学講座教授 井田博幸先生は次のように述べています。「本 LEAP 試験に日本人の患者さんが登録されたことは大変意義深いことです。現在、神経症状に対して有効な治療法が存在しないゴーシェ病Ⅲ型患者さんにとって、本試験が希望をもたらすきっかけとなることを願っています」

### ゴーシェ病について

ゴーシェ病の患者さんでは、グルコシルセラミド (GL-1) という脂肪分子を分解する酵素であるグルコセレブロシダーゼが欠乏しています。GL-1が体内に蓄積すると、挫傷、疲労、貧血、血小板減少、骨痛、関節痛、肝腫大、脾腫大のほか、けいれん発作や重度の協調運動障害などのさまざまな全身症状が現れます。サノフィジェンザイムは世界で初めてゴーシェ病の治療薬を発売し、その数年後、サノフィジェンザイムが開発したゴーシェ病に対する次世代の酵素補充療法は、今や標準治療として用いられ、長年にわたる有効性と安全性のデータが得られています。2014年(米国、日本においては2015年)、サノフィジェンザイムは経口投与が可能なゴーシェ病のファーストライン治療薬を発売し、患者さんに新たな治療選択肢をお届けしています。サノフィの研究開発部門は、新たな治療選択肢でゴーシェ病患者さんに貢献すべく研究を続けています。

---

### サノフィ株式会社

〒163-1488 東京都新宿区西新宿 3-20-2 東京オペラシティタワー  
[www.sanofi.co.jp](http://www.sanofi.co.jp)



### セレザイム® (イミグルセラゼ(遺伝子組換え))について

セレザイム®(イミグルセラゼ(遺伝子組換え))は、ゴーシェ病の診断が確立した患者を対象とした、貧血、血小板減少症、肝腫大、脾腫大および骨症状といったゴーシェ病の諸症状改善のための治療剤です。日本では2011年3月に発売が開始されています。

以上

### サノフィについて

サノフィは、健康上の課題に立ち向かう人々を支えます。私たちは、人々の健康にフォーカスしたグローバルなバイオ医薬品企業として、ワクチンで人々を守り、革新的な医薬品で痛みや苦しみを和らげます。希少疾患をもつ少数の人々から、慢性疾患をもつ何百万もの人々まで、寄り添い支え続けます。

サノフィでは、100カ国において10万人以上の社員が、革新的な医学研究に基づいたヘルスケア・ソリューションの創出に、世界中で取り組んでいます。

サノフィは、「Empowering Life」のスローガンの下、ヘルスジャーニー・パートナーとして人々を支えます。

日本法人であるサノフィ株式会社の詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。