



本資料は、サノフィ(フランス、パリ)が12月9日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・編集し、12月14日に配信するものです。本資料の正式言語はフランス語・英語であり、その内容および解釈については両言語が優先します。日本語で承認されている主な製品名および一般名についてはカタカナ表記をしています。

骨髄線維症に対するサノフィのJAK2阻害剤 第II相試験で主要評価項目を達成

- 米国血液学会(ASH)年次会議で発表された新たなデータにより、
疾病と症状の緩和に対する作用が明らかに -

フランス、パリー2012年12月9日ーサノフィ(EURONEXT:SANおよびNYSE:SNY)は本日、研究中の新規選択的JAK2阻害剤(SAR302503)に関する第II相試験の新たなデータを発表しました。このデータから、アンメットメディカルニーズを抱える血液悪性腫瘍である中等度2または高リスクの原発性または二次性骨髄線維症(MF)患者にSAR302503を使用すると、脾臓の大きさが縮小し、全身症状が改善することが明らかになりました¹。このデータは本日、2012年12月8日～11日にジョージア州アトランタで開催中の2012年米国血液学会(ASH)年次会議で発表されました。

ミシガン大学内科学教授であり、試験の治験責任医師を務めたモーシュ・タルパズ博士(M.D.)は、「SAR302503に関する試験で有望な結果が得られました。この消耗性の血液疾患の患者さんの治療ギャップを埋めるためには新たな治療オプションが必要とされており、特異的にJAK2酵素を標的とすることが有望なアプローチとなる可能性があります」と述べています。

今回の第II相試験の結果は、現在進行中のSAR302503の第III相JAKARTA試験のために選択された2種類の用量(400 mgと500 mg)の裏付けとなります。JAKARTA試験には9カ月間で289例が登録されました。初期の結果は2013年度第2四半期に得られる見込みです。

サノフィのシニア・バイスプレジデントでオンコロジー領域部門のヘッドを務めるデバシシュ・ロイチャウドゥリー(M.D.)は、「このたび弊社のJAK2阻害剤の開発において大きな進展が見られたことを非常に嬉しく思います。本試験でSAR302503の1日1回経口投与が確認され、治療困難な患者群を対象とする第III相試験の用法として規定されました。私たちは、SAR302503が原発性または二次性骨髄線維症の患者さんに有用性をもたらすことを確信しており、来年度の第III相試験結果を心待ちにしています」と述べています。

この第II相ランダム化オープンラベル用量設定試験は、300 mg、400 mg、および500 mgのSAR302503を1日1回経口投与が脾臓容積の減少に与える影響を評価するものです。主要評価項目は、3サイクル終了時に独立した中央判定によって評価されたMRIによる脾臓容積の変化です。副次的評価項目は、脾臓の反応(ベースラインから35%以上の脾臓容積の減少)、安全性、およびMPN-SAFスケールを用いた症状の反応です。

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



試験結果によると、本治療薬は、ランダム化された 31 例において脾臓容積およびその他の疾病症状の減少と関連していました¹。

- ベースラインと比較した脾臓容積減少率の中央値は、各群でそれぞれ 30% (n=10)、33% (n=10)、42% (n=11) でした。
- MRI で評価した脾臓容積の 35%以上減少を達成した患者の割合は、各群でそれぞれ 30%、50%、63.6% でした。
- 6 つの主要な全身症状(寝汗、かゆみ、腹部の違和感、腹痛、骨痛、早期満腹感)を合計した骨髄増殖性腫瘍の症状評価フォーム(MPN-SAF)スコアにおいて、50%以上低下を達成した患者の割合は、全群で同等でした(それぞれ 44%、50%、44%)。

過去の試験で報告されたデータと合わせて、最も一般的に見られた重篤(グレード 3~4)の血液有害事象は貧血であり、300 mg群、400 mg群、500 mg群でそれぞれ 33%、30%、55% でした。グレード 3~4 の血小板減少症の発生率は、それぞれ 20%、0%、9% でした。最も一般的に見られたグレード 3~4 の非血液有害事象は、下痢(10%、20%、0%)、嘔気(10%、10%、0%)、嘔吐(10%、10%、0%) でした。300 mg群の 2 例で有害事象(グレード 3 の貧血、グレード 4 のトランスアミナーゼ上昇)のために投与を中止しました¹。

以上

骨髄線維症について

骨髄線維症(MF)は、生命にかかわる希少な消耗性・進行性の血液悪性腫瘍であり、血液細胞の産生異常と骨髄の線維化(癒痕化)を特徴とする病気です。骨髄が癒痕化すると血液細胞の産生が妨げられ、脾臓と肝臓が血液細胞を余分に生成および貯蔵しようとするため、これらの臓器が肥大化します。

大部分の骨髄線維症患者では、脾臓が大幅に肥大化し(脾腫)、QOL(生活の質)に重大な影響を及ぼすさまざまな症状が現れます。このような症状には、疲労感、腹痛、寝汗、早期満腹感、咳、息切れ、運動量の低下などがあります。骨髄線維症のその他の症状・徴候として、貧血、血小板減少症、体重減少、重度のかゆみなどがあります。

骨髄線維症の正確な罹病率は明らかになっていません。最新の調査では、骨髄線維症の罹病率は米国では 10 万人当たり 4.2~5.6 人、すなわち約 15,000 人と推定されています。欧州における推定罹病率は、さらによくわかっていません。60 歳以上の人はこの病気を発症する可能性が高く、リスクは男女で同等です。

JAK2とSAR302503について

JAK2 は、血液細胞が成長するための鍵となる酵素です。JAK2 の突然変異は、JAK2 シグナルの調節異常につながり、骨髄線維症を引き起こすと考えられています。野生型JAK2 を持つ患者では、JAK2 シグナル伝達経路が持続的かつ調節異常の活性化を示すことが確認されています²。

SAR302503 は、JAK/STAT シグナル経路に対する開発中の新規選択的阻害剤であり、JAK2 を選択的に阻害します。サノフィオンコロジーは、原発性骨髄線維症(MF)、真性多血症(PV)、本態性血小板血症(ET)という 3 つの主な骨髄増殖性新生物を治療する化合物を開発しています。またサノフィは、骨髄癒痕化の軽減または逆行に対する化合物の効果についても研究を進めています。



サノフィのオンコロジー領域部門について

米国マサチューセッツ州ケンブリッジとフランス・ヴァイトリーを拠点とするサノフィのオンコロジー領域部門は、がん患者さんと臓器移植患者さんの満たされない医療ニーズに応えるべく、科学的研究を効果的な治療薬につなげる活動に熱心に取り組んでいます。疾病と患者さんに関する深い理解をはじめとして、創薬と臨床開発に革新的なアプローチを実施し、適切な患者さんに適切な医薬品を提供することを究極の目標に据えています。当社は、社内の科学的専門知識を業界や学術専門家の科学的専門知識と組み合わせるパートナーシップが重要であると考えます。当社の使命は、新しい科学と革新的な治療法によって、当社のポートフォリオである 11 の市販製品と、小分子や生物学的製剤を含む 15 以上の臨床開発段階にある化合物によって、患者さんがより健康に長生きできるように支援することです。

サノフィについて

サノフィは、グローバルに多角的事業を展開するヘルスケアリーダーとして、患者さんのニーズにフォーカスした医療ソリューションの創出・研究開発・販売を行っています。サノフィは、ヘルスケア分野において 7 つの成長基盤を中核としています。それは糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品、および新生ジェンザイムです。サノフィはパリ (EURONEXT: SAN) およびニューヨーク (NYSE: SNY) に上場しています。

参考文献

1. Talpaz, et al. A Phase II randomized dose-ranging study of the JAK2-selective inhibitor SAR302503 in patients with intermediate-2 or high-risk primary myelofibrosis (MF), post-polycythemia vera (PV) MF, or post-essential thrombocythemia (ET) MF. Abstract #2837 ASH 2012
2. Abdel-Wahab, O, et al. Primary Myelofibrosis: Update on Definition, Pathogenesis, and Treatment. Annu. Rev. Med. 2009. 60:233–45.

今後の見通しに関する記述

当プレスリリースには、1995 年民間有価証券訴訟改正法 (修正を含む) でいう「今後の見通しに関する記述」が含まれています。今後の見通しに関する記述とは、歴史的事実を述べるものではない記述です。これらの記述には、計画と予測ならびにそれらの根拠となる前提、将来の財務結果、事象、事業、サービス、製品の開発および可能性に関する計画、目標、意向および期待に関する記述、ならびに、将来の実績に関する記述が含まれます。一般的に、今後の見通しに関する記述は、「予想」、「期待」、「見込み」、「予定」、「予測」、「計画」などの表現によって識別されます。サノフィの経営陣はそのような今後の見通しに関する記述に反映された予想を妥当と考えますが、投資家は今後の見通しに関する情報と記述がさまざまなリスクと不確実性の影響を受けやすく、それらの多くが予測困難であり、通常サノフィが制御できず、そのために実際の結果と進展が、今後の見通しに関する情報と記述の中で表現された、暗示された、または予測されたものとは大幅に異なる可能性があることに注意してください。そのようなリスクと不確実性には、研究開発、市販後を含む今後の臨床データおよび解析、薬剤・機器・生物学的製剤などの製品候補について提出される申請の承認の是非および時期に関する FDA や EMA などの規制当局の決定、ならびにそのような製品候補の利用可能性や商業的可能性に影響を及ぼすラベリングその他の問題に関する当局の決定に付随する不確実性、製品候補が承認された場合に商業的に成功するという保証の欠如、代替治療薬の将来的な承認および商業的成功とグループが外部成長の機会から利益を得る可能性に付随する不確実性、ならびにサノフィの 2011 年 12 月 31 日終了事業年度フォーム 20-F 年次報告書の「リスク要因」および「今後の見通しに関する記述」項目を含む、サノフィが作成した SEC および AMF に対する公の届け出の中で議論されているかまたは特定されているものが含まれます。サノフィは、適用法によって義務付けられている場合を除き、今後の見通しに関する情報または記述の更新または見直しを行う義務を負うものではありません。