



本資料は、サノフィ(フランス、パリ)およびRegeneron Pharmaceuticals, Inc. (ニューヨーク州タリータウン)が2013年12月19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、2014年1月10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。

サノフィと Regeneron 社、 PCSK9 阻害剤の臨床プログラムについて 米国心臓病学会と提携

—ACC の通院患者登録研究 PINNACLE レジストリーを臨床試験の募集に初めて活用—

フランス・パリおよびニューヨーク州タリータウン—2013年12月19日—サノフィ (EURONEXT : SAN および NYSE : SNY) と Regeneron Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ : REGN) は本日、PCSK9 (前駆タンパク質転換酵素サブチリシン/ケキシシ 9 型) を標的としたモノクローナル抗体治療薬 **alirocumab** の臨床試験を強化するための、米国心臓病学会 (ACC) との革新的な提携を発表しました。PCSK9 は、血中の低比重リポタンパクコレステロール (LDL) 値に影響を与えることが知られています。**alirocumab** は現在、サノフィと Regeneron 社が共同で開発を進めています。

本提携の条項に基づき、第 III 相 ODYSSEY OUTCOMES 試験の適切な被験者対象になり得る患者さんを特定するため、ACC は臨床研究の専門知識と広範な登録研究を活用します。このデータ主導型被験者募集プログラムは、臨床試験の被験者を特定・募集する新しいアプローチです。また本提携には、もう 1 つの活動として、医師および患者さんの両者を対象に、臨床試験研究の価値に関する知識を広げ、理解を深めることを目的とした包括的教育プログラムも含まれています。

元 ACC 理事長で、全米心血管疾患データ登録研究 (NCDR) の渉外担当シニア・メディカル・オフィサーのラルフ・ブリンディス氏は、「このプロジェクトは、症例登録研究が医薬品の発展の支えとなることを示す一例です。ACC の登録研究や関連する医療情報提供者のネットワークは、開業医のための品質改善プログラムをサポートします。今回は、NCDR の通院患者登録研究 PINNACLE レジストリーが臨床試験の被験者募集に活用される初めてのケースであり、臨床試験に適切な患者さんの担当医師を特定するという困難な問題解決の一助になると信じております」と述べています。

サノフィの PCSK9 開発・上市ユニット責任者のジェイ・エーデルバーグ (M.D., Ph.D.) は、「この提携を通じて、第 III 相 ODYSSEY OUTCOMES 試験へのより良いアクセスを提供したいと思っています。ACC の PINNACLE レジストリーが臨床試験の被験者募集に活用されるのは今回が初めてであり、この新しいアプローチが治験実施施設での症例登録の目標達成や、それを上回る登録に役立つと考えています」と述べています。



ODYSSEY プログラムについて

ODYSSEY は、治験薬 **alirocumab** の世界的な第 III 相臨床試験プログラムです。ODYSSEY は現在、12 件の臨床試験から構成され、北米、南米、ヨーロッパ、オーストラリア、南アフリカ、およびアジアの 2,000 施設から高コレステロール血症の患者さん 23,000 人以上が登録される見込みです。

これらの試験では、既存の脂質低下療法ではコントロール不十分な心血管リスクの高い原発性高コレステロール血症患者、スタチン不耐性の原発性高コレステロール血症患者およびヘテロ接合体家族性高コレステロール血症 (HeFH) 患者を含む幅広い患者集団に対する、**alirocumab** と他の脂質低下剤との併用療法、または **alirocumab** 単剤療法を評価しています。

ODYSSEY 試験の主要評価項目 (ODYSSEY OUTCOMES 試験を除く) は、24 週目の時点における LDL コレステロールの平均低下率 (%) です。他に複数の脂質マーカーについても評価が行われ、試験は最長 24 カ月間続けられます。ODYSSEY OUTCOMES 試験の主要評価項目は、冠動脈疾患 (CHD) による死亡、非致死性心筋梗塞、致死性および非致死性の虚血性脳梗塞、入院が必要な不安定狭心症の複合指標です。

第 III 相臨床試験は、患者さんの個別のニーズを満たすようにさまざまなオプションを生み出すことを目的として設計されています。ODYSSEY 試験では、大部分の患者さんが **alirocumab 75 mg** の 2 週間に 1 回投与から開始し、8 週目に低比重リポタンパクコレステロール (LDL-C) の (リスクに基づく目標値までの) 低下が不十分であった場合に限り 150 mg の 2 週間に 1 回投与へ漸増します。さらに、ODYSSEY CHOICE I 試験では、**alirocumab** の 4 週間に 1 回投与の評価を行っています。

ODYSSEY CHOICE I 試験、ODYSSEY CHOICE II 試験、および ODYSSEY OUTCOMES 試験を除き、すべての ODYSSEY 試験の症例登録は完了しています。ODYSSEY 試験の詳細については、<http://www.odysseytrials.com> または <http://www.clinicaltrials.gov> をご参照ください。

PCSK9 について

PCSK9 は、血中の LDL 値に影響を与えることが知られており、LDL 受容体に結合してそれらの分解を促進します。その結果、血中の過剰な LDL コレステロールを取り込む肝細胞上の LDL 受容体の数が減少します。さらに、スタチンなどの従来の LDL 低下療法は PCSK9 の生成を促進するため、それらの薬剤が本来持っている LDL コレステロールの低下効果が減弱します。そのため、PCSK9 経路の阻害は、LDL コレステロール値を低下させるための新しい機序となる可能性を秘めています。

alirocumab について

alirocumab は、PCSK9 を標的として阻害する完全ヒトモノクローナル抗体で、臨床試験段階にある治験薬です。**alirocumab** は皮下注射で投与されます。血中の LDL コレステロール値に影響を与える PCSK9 を阻害することによって、**alirocumab** が肝細胞上の LDL 受容体を増加させ、LDL コレステロール値を低下させることが前臨床試験で明らかになっています。

上記で説明したこの治験薬は現在臨床開発段階であり、その安全性と有効性はいかなる規制当局からも十分に評価されているわけではありません。

サノフィについて

サノフィは、グローバル事業を統合的に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。



Regeneron Pharmaceuticals, Inc.について

Regeneron 社は、ニューヨーク州タリータウンを拠点とした科学的根拠に根差したバイオ医薬品企業のリーダーであり、重篤な疾患に対する治療薬の発見、発明、開発、そして商業化を行っています。Regeneron 社は、眼疾患、結腸直腸がん、および希少な炎症性症状の治療薬を発売しています。また、高コレステロール血症、関節リウマチ、喘息、アトピー性皮膚炎など、満たされていない医療ニーズの高い領域において、製品候補を開発しています。当社の詳細は、www.regeneron.comにてご覧いただけます。

サノフィの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場合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、為替レートと実勢金利のトレンド、コスト削減方針とその後の変更の影響、期中平均発行済み株式数、ならびにサノフィの 2012 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。

Regeneron 社の今後の見通しに関する記述

このプレスリリースには、今後の出来事や Regeneron 社の実績に関連するリスクと不確実性を伴う今後の見通しに関する記述が含まれており、実際の出来事や結果は今後の見通しに関する記述と大幅に異なる可能性があります。どの今後の見通しに関する記述にも含まれているとは限りませんが、今後の見通しに関する記述を識別するために、「予期」、「期待」、「予定」、「計画」、「見込み」、「追求」、「推定」などの単語、それらの単語のパリエーション、および同様の表現が用いられます。これらの記述は、特に、alirocumab や計画中の米国心臓病学会との提携を含む Regeneron 社の製品・製品候補・現在進行中または計画中の研究・臨床プログラムの性質・時期・成功可能性・治療適応、Regeneron 社の製品候補を臨床試験で使用することに関連した重篤な合併症や副作用を含め、製品および製品候補を患者に投与することによって生じる予期せぬ安全性の問題、Regeneron 社の後期開発段階にある製品候補が規制当局の承認を得て発売される可能性および時期、患者さんのプライバシーに関わるものを含め、Regeneron 社の研究・臨床プログラムおよびビジネスに影響を及ぼす進行中の規制面の義務および監督、Regeneron 社の製品や製品候補の開発・販売を継続する能力を阻害または制限するような規制当局や行政当局による決定、Regeneron 社の製品や製品候補よりも優れた競合薬の登場、Regeneron 社の製品や製品候補の市場受容性および商業的成功に関する不確実性、複数の製品および製品候補を生産し、サプライチェーンを管理する Regeneron 社の能力、メディケアやメディケイドを含む第三者支払機関による補償および保険償還に関する決定、予期せぬ費用の発生、製品の開発・生産・販売コスト、売上げその他の財務予測を達成する Regeneron 社の能力または予測やガイダンスの根拠となる前提の変更、サノフィおよびバイエルヘルスケア社と Regeneron 社との契約を含むライセンス契約や提携契約が製品の成功を取めることなく解消・終了となる可能性、および第三者の知的財産権やそれに関連した進行中または係争中の訴訟にかかわるリスクに関連しており、リスクと不確実性にはこれらのものが含まれます。これらを含む重大なリスクに関する完全な説明は、2012 年 12 月 31 日終了事業年度に関する Form 10-K と 2013 年 9 月 30 日終了四半期に関する Form 10-Q を含め、Regeneron 社が米国証券取引委員会（SEC）に提出した書類に記載されています。Regeneron 社による今後の見通しに関する記述に頼りすぎないよう注意してください。Regeneron 社は、新たな知見、今後の出来事の結果を問わず、財務予測やガイダンスを含む一切の今後の見通しに関する記述について、公に更新する義務を負うものではありません。