



- 本資料は、サノフィジェンザイム(マサチューセッツ州ケンブリッジ)が2016年7月6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、7月14日に配信するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容および解釈については英語が優先します。
- 本第II/III相試験に日本も参加を予定しています。

サノフィジェンザイム、酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症の成人患者を対象とした **olipudase alfa** の重要な第 II/III 相試験を開始

マサチューセッツ州ケンブリッジ - 2016年7月6日 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は、現在開発中の **olipudase alfa** の重要な第 II/III 相試験である ASCEND 試験に最初の成人患者が参加し、治験薬の投与を受けたことを発表しました。**Olipudase alfa** は、酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症(**acid sphingomyelinase deficiency: ASMD**)の中でも、中枢神経症状のない病型(ニーマンピック病 B 型)に対する酵素補充療法剤として現在開発中です。

ASMD は遺伝子変異を原因とし、細胞内の代謝に障害が出るライソゾーム病のひとつです。**ASMD** は重篤且つ生命に関わる疾患で、酸性スフィンゴミエリナーゼという酵素が十分に機能せず、体内の様々な臓器にスフィンゴミエリンが蓄積します。症状として、肝脾腫、肝機能障害、浸潤性肺疾患、出血性合併症、心血管疾患、骨疾患や、成長の遅延などが現れます。現在、**ASMD** の治療薬として承認された医薬品はありません。

ASCEND 試験は、第 II/III 相国際多施設共同二重盲検プラセボ対照試験で、**ASMD** のひとつであるニーマンピック病 B 型の成人患者に 52 週間にわたり **olipudase alfa** の隔週静脈内投与を行い、同薬の有効性、安全性、薬力学および薬物動態を評価します。本試験では、**olipudase alfa** の脾臓容積や肺機能をはじめとする重要な臨床パラメータに対する効果を検討します。**ASCEND** 試験には 36 名の患者が参加し、**olipudase alfa** またはプラセボの投与を受ける予定です。主要解析を行う 52 週間の試験期間の終了後、全ての患者が継続投与試験に参加し、治療を受ける予定です。

本試験の責任医師である Villa Metabolica Mainz University Medical Center の Eugen Mengel, M.D. は「**ASMD** は希少な消耗性疾患で、肺や肝臓、心臓の障害などの重篤な病状が生じるおそれがあります。今回の重要な試験の開始は、**olipudase alfa** が **ASMD** 患者さんの生活を改善する可能性を検討していく上で大きな節目となります」と述べています。

2015 年 6 月、サノフィジェンザイムは、**ASMD** のニーマンピック病 B 型の小児患者を対象とした第 I/II 試験の開始を発表しました。両試験の詳細については、<https://www.clinicaltrials.gov/> または <https://www.clinicaltrialsregister.eu> をご覧ください。米国食品医薬品局(FDA)は、**olipudase alfa** をブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)に指定しています。FDA のブレイクスルーセラピーの指定は、重篤または命に関わる疾患に対する新薬の開発と審査を迅速に行う目的で行われています。

サノフィジェンザイムの稀少疾患治療薬開発部門の臨床部門ヘッドである Rand Sutherland, M.D は「小児患者さんと成人患者さんの双方を対象とした **olipudase alfa** の臨床試験が実施中であることを大変喜ばしく感じています。これは意義ある治療選択肢に対する **ASMD** 患者さんのニーズを満たすための重要な一歩で

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



す。このマイルストーンへの到達を支えていただいた患者さん、医師および医学界のご協力とご支援に深く感謝いたします」と述べています。

以上

サノフィについて

サノフィは、グローバル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。5つのグローバルビジネスユニット(糖尿病と循環器領域、ジェネラルメディスンと新興市場、サノフィジェンザイム、サノフィパストツール、メリアル)で組織され、パリ(EURONEXT:[SAN](#))およびニューヨーク(NYSE:[SNY](#))に上場しています。

サノフィジェンザイムは、診断と治療が難しいことが多い消耗性疾患に対するスペシャルティ医薬品の開発に取り組み、患者さんご家族に希望をお届けしています。サノフィジェンザイムの詳細については、www.sanofigenzyme.comをご覧ください。

サノフィ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2015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。