



- 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11月4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、11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III相試験に日本も参加しています。

サノフィジェンザイム、開発中の第2世代ポンペ病治療薬 NeoGAAのピボタル第III相試験を開始

マサチューセッツ州ケンブリッジ - 2016年11月4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 neoGAA のピボタル第 III 相臨床試験(COMET 試験)に最初の患者さんが登録され、治験薬の投与を受けたことを発表しました。NeoGAA は、ポンペ病の治療薬として現在開発中の第2世代酵素補充療法剤です。

ポンペ病は、進行的に悪化し、死に至ることも多い消耗性神経筋疾患で、ライソゾーム酵素のひとつである酸性アルファグルコシダーゼ(GAA)の欠損または活性低下が原因で生じる疾患です。世界では、ポンペ病の患者数は 5 万人と推定されています。患者さんは歩行が困難になり、車椅子での生活を余儀なくされることが多いとされています。また呼吸困難が現れることも多く、人工呼吸器が必要となることもあります。

第 III 相無作為化多施設国際共同二重盲検試験である COMET 試験では、治療経験のない遅発型ポンペ病の患者さんを対象に neoGAA またはアルグルコシダーゼアルファの隔週投与を行い、両剤の有効性と安全性を比較します。本第 III 相試験の主要評価項目は、呼吸筋力に対する neoGAA の効果です。これは立位での努力性肺活量(FVC)の予測値に対する割合に基づき評価します。このほか、6 分間歩行試験で評価する持久力、筋力、運動機能、健康関連 QOL、および患者さんの報告によるアウトカムも評価対象とします。本試験には、3 歳以上の患者さん約 96 名が登録される予定です。試験は 3 年間にわたり行われ、この間に 49 週間の二重盲検試験と 96 週間にわたる非盲検治療試験が行われます。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。

サノフィジェンザイムの稀少疾患治療薬開発部門長である Rand Sutherland, M.D.は「このピボタル試験の開始は、ポンペ病の理解向上に向け長年活動してきたサノフィジェンザイムにとって、きわめて重要なマイルストーンとなります。私たちは、ポンペ病の患者さんのアンメットニーズに応えるため、新規治療薬の研究開発に取り組んでいます」と述べています。

「ポンペ病は、重篤な進行性疾患です。私は、骨格筋に対する効果を高めた第2世代酵素補充療法剤が、この重篤な疾患の患者さんにさらなる恩恵をもたらすことを願っています」と、Shafeeq S. Ladha, M.D.(Ira A. and Mary Lou Fulton Chair in Motor Neuron Diseases, Director, Gregory W. Fulton ALS and Neuromuscular Disorders Center, Department of Neurology, Barrow Neurological Institute)は述べています。

以上

NeoGAA とは

NeoGAAは、現在開発中の第2世代アルグルコシダーゼアルファ酵素補充療法剤で、筋細胞上のM6P受容体に対する親和性を高めることでM6P受容体に対するターゲティング能力と細胞内への取り込みを向上させ、

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



グリコーゲン除去効果をさらに高め、アルグルコシダーゼアルファの臨床上の有効性をさらに向上させる目的で開発された薬剤です。非臨床試験では、neoGAAはアルグルコシダーゼアルファに比べ、組織内のグリコーゲンに対する除去効果が約5倍高いことが示されました。ポンペ病のモデルマウスでは、neoGAAは、アルグルコシダーゼアルファの5分の1の量でアルグルコシダーゼアルファと同程度の基質蓄積の低下を示しました。ⁱ このデータの臨床的意義を明らかにするには、さらに研究を行う必要があります。

第I/II相概念実証(POC)試験の結果は、今年3月に開催されたWorld Symposium 2016にて発表されています。

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(糖尿病および循環器、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、サノフィパズツール、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リ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実質的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サノフィが外部成長の機会から利益を得て、規制当局の認可を取得する可能性に付随する不確実性、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、ならびにそのような訴訟の最終結果に関連するリスク、為替レートと実勢金利のトレンド、不安定な経済情勢、コスト削減イニシアチブ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。

ⁱ Zhu et al, Molecular Therapy, 2009.