



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12月20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、2017年1月10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。

サノフィジェンザイム、2016年の Patient Advocacy Leadership Awards (PALアワード)の 受賞団体を発表

マサチューセッツ州ケンブリッジ - 2016年12月20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、第6回「Patient Advocacy Leadership Awards (PALアワード)プログラム」の受賞団体を発表しました。この国際助成金プログラムは、進行性かつ消耗性の健康障害を引き起こす希少な遺伝性の疾患であるライソゾーム病(LSD)をもつ患者さんのために活動する非営利団体を支援しています。

サノフィジェンザイムと外部有識者で構成される審査委員会は、15カ国から寄せられた27の応募より受賞団体を選定しました。本プログラムの重要な要素は、協働です。複数の団体が協働してLSDコミュニティを支援する取り組みを受賞対象としました。今年は、応募要項と申請書を英語、スペイン語、ポルトガル語、中国語、およびフランス語の5カ国語で提供しました。

サノフィジェンザイム希少疾患事業部のグローバルヘッドであるRichard Peters, MD, Ph.D.は、「本賞は、世界中の非営利団体に応募いただけるものとする必要があります。今年は自国語での応募を呼びかけたところ、16もの組織に、自国語で応募いただきました」と述べています。

2011年より、サノフィジェンザイムのPALアワードプログラムにて、疾患の啓発、コミュニティの動員、非営利の開発およびグッドガバナンス活動を支援する世界各地の46団体が受賞されました。PALアワードプログラムは、各国における患者団体の年間活動支援を目的とした寄附金に代わるものではなく、それらの寄付に加えて行うサノフィジェンザイムの慈善活動です。本プログラムは、世界のLSDコミュニティのニーズを満たすべく、継続的に見直しを行い、変更を加えています。PALアワードプログラムに関する詳細については、www.PAL Awards.com (英語)をご覧ください。

2016年PAL アワード受賞団体とプロジェクトは下記のとおりです。

- **ポーランド: Polish Association of Families Affected by Gaucher Disease, Polish Association of Families Affected by Fabry Disease, and Polish Pompe Association**
Polish Association of Families Affected by Gaucher Disease(ポーランド・ゴーシェ病家族会)、Polish Association of Families Affected by Fabry Disease(ポーランド・ファブリー病家族会)とPolish Pompe Association(ポーランド・ポンペ病患者会)は、協働して「Storage」というオンラインプラットフォームを立ち上げ、ライソゾーム病に関する包括的情報を掲載するほか、患者の相互交流のためのインタラクティブフォーラムを提供します。本プロジェクトの拡大につれ、プラットフォームはLSDコミュニティのニーズの拾い上げや検

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



討の場としても活用されるようになり、ポーランドの患者団体のプログラムやイニシアチブを広く発信する場となります。

- **クロアチア: Croatian Alliance for Rare Diseases and National Organization for Rare Disease of Serbia**

希少疾患の患者が診断にたどりつくまでの道のりは往々にして長く、険しいことが多く、誤診を受けることも少なくありません。Croatian Alliance for Rare Diseases(クロアチア希少疾患連合会)とNational Organization for Rare Disease of Serbia(セルビア全国希少疾患協議会)は、協働して「Little Big Signs of Diagnosis(診断に向けた小さいけれど大きな手がかり)」と題したプロジェクト立ち上げ、医学生を対象にオンライン教育のプラットフォームを提供します。このプラットフォームでは、患者や保護者が、医学生に将来、LSDを正しく診断できるようになってもらいたいという思いから、初期に現れた重要な症状について話す啓発ビデオが掲載されます。

- **米国およびインド: Rare Genomics Institute and Organization for Rare Disease India**

LSDの原因となる遺伝子の多くは特定されており、多くの患者さんでは遺伝子配列が有用な診断ツールとなります。しかし、遺伝子解析を行うには、患者さんが検査を正しく受けられるようサポートする関係者が適切な教育を受け、患者や保護者に適切な情報を提供しなければいけません。遺伝子解析検査機能が強化され、最適な活動を行えるようにするため、米国のRare Genomics Institute(希少疾患ゲノミクス研究所)とOrganization for Rare Disease India(インド希少疾患協会)が協働して、患者支援団体、患者、保護者や医師を対象とした研修モジュールと教育資料を作成します。

- **ベトナム: Vietnam Rare Disease Network and the Vietnam National Hospital of Pediatrics**

患者支援団体にとって、世間の人々が希少疾患に関する知識を高め、希少疾患に対する偏見を捨ててもらうことは大きな目標であるとともに難しい課題でもあります。この課題に取り組むため、Vietnam Rare Disease Network(ベトナム希少疾患ネットワーク)はVietnam National Hospital of Pediatrics(ベトナム国立こども病院)と協働して各種のLSDの情報を示し、希少疾患をもつ22人の患者さんとその家族のストーリーをまとめた書籍を出版します。この書籍は希少疾患の啓発書としてはベトナム初の書籍であり、医学系学生の参考書としても活用されます。

- **英国: The Association for Glycogen Storage Disease and Royal College of General Practitioners**

希少疾患の患者の多くは、最初は家庭医(GP)を受診します。GPが診断につながる症状を見分けることができず、適切な専門医を紹介できないケースは、珍しくありません。Association for Glycogen Storage Disease(糖原病患者会)は、Royal College of General Practitioners(英国家庭医学会)と協働して、英国のGPを対象にポンペ病をはじめとする糖原病の初期症状・徴候に関する指導を行います。またeラーニングモジュールを作成し、英国内の52,000名以上のGPが所属する英国家庭医学会のウェブサイトに掲載する予定です。

- **ブラジル: Associação Catarinense de Pacientes e Amigos de Gaucher and Associação Gaúcha de Fabry**

医療従事者の多くは、慢性症状をもつ希少疾患の患者さんの管理方法について研修を受けた経験がありません。このギャップを埋めるため、ブラジルではAssociação Catarinense de Pacientes e Amigos de Gauche(ゴーシェ病患者友の会)とAssociação Gaúcha de Fabry(ファブリー病患者会)が協働して、医師、看護師、窓口/受付、心理学者やソーシャルワーカーを対象に地域医療センターへ資料や研修を提供します。研修は、医療従事者が医療施設を訪れる希少疾患患者を特定し、それぞれのニーズに沿った医療を提供し、不適切な治療のリスクを低減することを目標に行われます。

以上



ライソゾーム病について

ライソゾーム病(LSD)は、40 を越える疾患の総称です。ライソゾーム病に属する疾患はいずれも、遺伝子変異のために細胞内の老廃物の除去に必要な酵素の不足や機能異常が生じるために発生します。細胞内の老廃物は、ライソゾームと呼ばれる細胞内器官の中に蓄積するため、細胞の機能が損なわれ、様々な症状が現れます。ライソゾーム病は進行性の疾患で、生命が脅かされたり、重度の身体障害が現れることがあります。いずれの疾患もきわめてまれであるため、各疾患に関する情報を得ることすら難しいのが現状です。ライソゾーム病の中で比較的発症頻度の高い疾患であるゴーシェ病でも、診断されている患者さんは世界でもわずか 10,000 人ほどですが、希少疾患に罹っていても診断が確定されていない患者さんはさらに多いと考えられています。そのため、ライソゾーム病の情報を多くの方々に伝える必要があります。

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、コンシューマー・ヘルスケア)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、患者さんにご家族に希望をお届けしています。

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。