



- 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2017年2月14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、2月23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相臨床試験に日本も参加予定です。

サノフィ、遺伝性パーキンソン病治療薬を評価する 第II相臨床試験を開始

マサチューセッツ州ケンブリッジ - 2017年2月14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、遺伝性パーキンソン病患者を対象に、現在開発中の経口治療薬の第II相試験を開始したことを発表しました。対象患者は最も一般的なパーキンソン病に対する遺伝的リスク・ファクターである遺伝子変異を、一対の遺伝子の片方に有する患者です。本試験では、試験薬の薬力学、有効性と安全性を評価します。本試験は、遺伝性パーキンソン病の患者を対象として実施する企業主導型第II相臨床試験としては初の試験です。

パーキンソン病は慢性の神経変性疾患であり、患者数は米国では100万人、世界では500万人以上と考えられています¹。パーキンソン病患者の5~10%はグルコセレブロシダーゼ(GBA)遺伝子に変異があると推定されています。GBA遺伝子の変異により、スフィンゴ糖脂質と呼ばれる脂質が細胞内に蓄積します。今回の試験薬であるGZ/SAR402671は、スフィンゴ糖脂質の産生を抑える働きがあります。

本試験の責任研究者である Anthony Schapira, MD, DSc, FRCP, FMedSci, Head of Department of Clinical Neurosciences, UCL Institute of Neurology は「パーキンソン病でGBA遺伝子変異がみられる患者は、若年から運動症状が現れ、認知障害の発現率が高く、疾患の進行が早い傾向があります。このような患者に対する分子標的療法を研究することは、パーキンソン病と戦っている患者や家族がもつ大きなアンメット・ニーズに取り組む重要な第一歩です」と述べています。

この臨床試験(MOVES-PD試験)は、用量漸増試験と有効性・安全性試験の2相から構成されます。無作為化二重盲検として、世界各地の試験参加施設において200名以上の患者が登録されます。本試験の主要評価項目は、パーキンソン病の進行の評価指標として広く用いられている、国際運動障害学会(Movement Disorder Society)が作成したパーキンソン病統一スケール(Unified Parkinson's Disease Rating Scale)のパートIIとパートIIIのスコアのベースラインからの変化です。このスコアには、患者自身による日常生活動作や運動機能の評価、さらに医師による運動機能評価が含まれます。

サノフィの研究開発部門でパーキンソン病・運動障害に関するグローバル早期開発プロジェクトの責任者である Tanya Fischer, MD, PhD は「GBA遺伝子変異に関する私たちの長年の研究成果を、パーキンソン病患者に役立つ可能性がある新しい治療領域へと発展させることができ大変嬉しく思っています。今回検討する試験薬は非臨床試験で脳内に移行することが明らかにされており、パーキンソン病が神経にもたらす破壊的な影響を阻止する働きを示すものと期待しています」と述べています。

サノフィは、GBA遺伝子変異を30年以上にわたり研究してきました。両親から受け継ぐ一対のGBA遺伝子の片方に変異があった場合はパーキンソン病のリスクが高まりますが、両方に変異があった場合はゴーシェ病が現れます。ゴーシェ病は、まれな遺伝疾患で、細胞内に脂質が蓄積し、挫傷、疲労、貧血、血小板減少、骨

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



痛、関節痛、肝脾腫などの様々な全身症状が現れるほか、重症例では痙攣発作や協調運動障害などの神経症状が現れます。

サノフィジェンザイムは、世界初のゴーシェ病治療薬を開発・発売しました。サノフィの研究開発部門は、ゴーシェ病やパーキンソン病などの GBA 変異に関連する疾患の治療薬の開発に引き続き注力してまいります。

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。

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、サノフィパストゥール、コンシューマー・ヘルスケア)で組織されています。

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、患者さんと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。

¹ Michael J. Fox Foundation. 2016. Understanding Parkinson's [ONLINE]. Available at : <https://www.michaeljfox.org/understanding-parkinsons/i-have-got-what.php> [Accessed 8 December 2016]