

2014. 08. 29

FDA がジェンザイム社の Cerdelga™ (エリグルスタット酒石酸塩) カプセルを承認

2014. 08. 29

本資料は、2014 年 8 月 19 日 (米国時間) にジェンザイム社が発表したプレスリリースを翻訳・編集したものです。原文 (英文) と翻訳に相違がある場合には、その内容および解釈については原文が優先します。原文 (英文) は、ジェンザイム社のサイト (www.genzyme.com) からご覧いただくことができます。

2014 年 8 月 19 日 (米国時間) ジェンザイム社プレスリリース

サノフィ・グループの一員である Genzyme (サノフィ社 (EURONEXT : SAN および NYSE : SNY) の一員 ; 以下、ジェンザイム社) は本日、米国食品医薬品局 (FDA) がゴーシェ病に対する経口治療薬である Cerdelga™ (エリグルスタット酒石酸塩) カプセルを承認したと発表しました。Cerdelga は 1 か月以内に患者さんへの処方が始まる予定です。

「Cerdelga はゴーシェ病患者さんのための重要な新しい選択肢となります。」 「酵素補充療法はゴーシェ病に対する標準療法であり、患者さんは生涯、隔週での静脈内投与を受けることとなります。第一選択経口治療薬としての FDA 承認を得たことから、Cerdelga はこの重篤な疾患と共に生活していらっしゃる患者さん達にとって貴重な治療選択肢となる可能性があります。」と、米国ゴーシェ財団の CEO である Rhonda Buyers 氏は述べました。

「Cerdelga の承認は、ゴーシェ病患者の励みとなるでしょう。何故なら、この薬剤は好ましいリスク・ベネフィットプロファイルを有する第一選択経口治療薬であり、従って科学的観点と臨床的観点の両方から大変重要であるからです。」 「酵素補充療法は細胞内に蓄積して様々な症状を引き起こす沈着物を分解しますが、Cerdelga はその前にこれらの沈着物の蓄積を阻害します。」と、イェール大学医学部内科・小児科教授であり米国ゴーシェ病治療センターのディレクターである Dr. Pramod Mistry, MD, PhD は述べました。

ジェンザイム社は、創薬および前臨床研究から臨床開発まで、ゴーシェ病の経口治療薬を 15 年間研究してきました。Cerdelga 臨床開発プログラムは、ゴーシェ病においてこれまでに実施された試験の中で最大規模のものであり、29 カ国で約 400 例の患者さんが参加しました。

「20 年以上前に、ジェンザイム社は世界初のゴーシェ病の治療薬を発売しました。我々はこの財産を基礎とすることを誇りとし、進行中の研究と新しい治療法によりゴーシェ病患者さんの生活を引き続き向上させます。」 「Cerdelga の承認は、ゴーシェ病患者コミュニティに対する我々の確固たる決意を示すものです。」と、ジェンザイム社社長兼 CEO の David Meeker, M.D は述べました。FDA による承認は、Cerdelga の 2 つの肯定的な第 3 相試験から得られた有効性データに基づいています。その 1 つは未治療の患者さんを対象としたもの (Trial 1) 、もう 1 つは既承認の酵素補充療法から切り替えるもの (Trial 2) です。申請資料には、Cerdelga の第 2 相試験から得られた 4 年間の有効性データも含まれます。

Trial 1 では、Cerdelga を 9 ヶ月間投与した結果、脾容積、血小板数、ヘモグロビン値、肝容積のエンドポイントすべてで改善が見られました。患者さんは長期投与期において引き続き Cerdelga による治療を受け、大多数の患者さんは 18 ヶ月間以上、Cerdelga による治療を継続しています。

Trial 2 では、事前に設定された脾容積、ヘモグロビン値、血小板数、肝容積の各パラメータの複合エンドポイントにおいて、酵素補充療法 (イミグルセラゼ) に対する非劣性が証明されました。

患者さんは長期投与期において引き続き Cerdelga による治療受け、大多数の患者さんは 2 年間以上、Cerdelga による治療を継続しています。

最もよくみられる副作用（ $\geq 10\%$ ）は、疲労、頭痛、悪心、下痢、背部痛、四肢痛、上腹部痛でした。Cerdelga はグルコシルセラミド合成酵素の特異的セラミドアナログ阻害薬（ $IC_{50}=10$ ng/mL）であり、広く組織に分布します。Cerdelga は、ゴーシェ病患者の細胞及び組織内に蓄積する物質であるグルコシルセラミドの産生を減少させます。詳細については、www.cerdelga.com（英語サイト）をご参照ください。

Cerdelga の販売承認は、欧州医薬品庁（EMA）や本邦の医薬品医療機器総合機構（PMDA）を含むその他の規制当局でも審査中です。

ゴーシェ病について

ゴーシェ病は世界でも患者数が 1 万人にも満たない先天性脂質代謝異常症です。糖脂質を分解するライソゾームの酵素（グルコセレブロシダーゼ）が生まれつき少ないために、糖脂質が体内の細胞に蓄積し、肝脾腫、貧血、出血傾向、進行性の骨疾患など重篤な全身性の症状を引き起こします。

ジェンザイム社のゴーシェ病プログラムについて

ゴーシェ病患者さんコミュニティにおけるアンメットニーズを満たすことを使命とし、ジェンザイム社はゴーシェ病患者さんのための治療法を 20 年以上研究・開発してきました。そしてジェンザイム社はゴーシェ病に対する新世代の酵素補充療法を開発しました。これが今や、長期にわたる有効性及び安全性データを備えた標準治療となっています。2014 年、ジェンザイム社はゴーシェ病に対する第一選択経口治療薬を初めて発売し、患者さんのための新しい治療選択肢を提供することとなりました。ジェンザイム社は引き続きこのコミュニティのために尽くし、これからも将来のゴーシェ病治療の進歩のために専念して参ります。

Cerdelga について

Cerdelga（エリグルスタット酒石酸塩）は経口投与する新規のグルコシルセラミドアナログであり、グルコシルセラミド合成酵素を阻害し、その結果、グルコシルセラミドの産生を減少させます。グルコシルセラミドは、ゴーシェ病患者細胞と組織内に蓄積する物質です。創薬概念は当初、ミシガン大学の故 Norman Radin, MD により提唱されました。広範な前臨床及び初期臨床研究プログラムの後、Cerdelga はゴーシェ病を対象とした最大規模の第 3 相臨床試験で検討されました。

将来の見通しに関する記述

このプレスリリースには、改訂された 1995 年の私募証券訴訟改革法において定義されている将来の見通しに関する記述が含まれている。将来の見通しに関する記述とは、歴史的事実の記述ではない。これらの記述には、見通し及び予測ならびにその前提、将来の財務状況・出来事・操作・サービス・製品開発及び可能性に関する計画・目的・意図・期待に関する記述、ならびに将来のパフォーマンスに関する記述が含まれる。将来の見通しに関する記述は、一般に「期待する」、「予想する」、「考える」、「意図する」、「予測する」、「計画する」、及びこれに類似した表現により確認される。サノフィ社の経営陣は、そのような将来の見通しに関する記述に反映されている期待は合理的なものであると考えるが、将来の見通しに関する記述は様々なリスクや不確実要素に影響されることに出資者は注意されたい。その多くは予測困難かつ概してサノフィ社の統御を越えるものであるため、実際の結果や開発は将来の見通しに関する情報及び記述の中で明示・示唆・予測されているものと大きく異なることになる可能性がある。かかるリスク及び不確実要素として、とりわけ、研究・開発に固有の不確実要素、市販後を含めて将来の臨床データならびに解析結果、製品候補について提出されるかもしれない医薬品、医療機器ないし生物学的製剤申請を承認するか、そして、いつ承認するかに関する FDA や EMA など規制当局の決定、そのような製品候補の利用可能性ないし商業的可能性に影響を及ぼすことがある表示その他の問題に関する規制当局の決定、承認さ

れた場合に製品候補が商業的に成功する保証がないこと、治療代替品の将来の承認及び商業的成功、外部成長の機会から利益を得るサノフィ・グループの能力、為替レート及び現行利子率の傾向、医療費抑制方針とさらにその後の変更の影響、及び発行済み株式の平均数、そして、2013年12月31日に終了した年度に関する Form 20-F によるサノフィ社の年次報告書の「リスク要因」及び「将来の見通しに関する記述についての注意事項」の項に列挙されたものを含めて、サノフィ社が SEC 及び AMF に公式に提出した文書中で検討又は指摘されている事項が挙げられる。適用法規により要求されている場合を除き、サノフィ社は将来の見通しに関する如何なる情報又は記述も、それを更新又は改訂する義務を一切負わない。