

2015. 2. 16

欧州委員会 (European Commission) がジェンザイム社のゴーシェ病経口治療薬、Cerdelga® (一般名：エリグルスタット酒石酸塩) の販売承認を発表

2015. 2. 16

本資料は、2015年1月22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。

2015年1月22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、欧州委員会 (European Commission) がゴーシェ病に対する経口治療薬 Cerdelga® (一般名：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2014年8月に米国食品医薬品局に承認され、その他世界中の規制当局でも現在審査中です。Cerdelga®は、今後1~2年の間にEU各国で販売されることとなります。

Cerdelga®は骨髄を含め広く組織に分布する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であり、ゴーシェ病患者さんの細胞および組織内に蓄積する物質であるグルコシルセラミドの合成を抑制します。

Cerdelga®の副作用の多くは、軽度で一時的なものです。副作用で治療を中止した Cerdelga®投与の患者さんは、2%未満でした。

今回の欧州委員会による承認は Cerdelga®臨床開発プログラムのデータに基づくものです。Cerdelga®臨床開発プログラムはゴーシェ病においてこれまで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。この開発プログラムには、2つの主要な第3相試験から得られた有効性データがあります。治療を受けていないゴーシェ病患者さんを対象とした第3相試験「ENGAGE」試験では、9ヵ月間の Cerdelga®投与後、脾容積・血小板値・ヘモグロビン値・および肝容積という評価項目に改善が見られました。2番目の第3相試験である「ENCORE 試験」は酵素補充療法で治療されていた患者さんを対象に、病状の安定を評価することを目的に行われました。この試験は、定められた酵素補充療法(イミグルセラゼ)に対する非劣性基準(脾容積、ヘモグロビン値、血小板数、および肝容積の複合評価項目)を満たしています。プログラムに参加した患者さんは延長期間も Cerdelga®投与を継続し、大半は治療開始から4年目または5年目になります。未治療の患者さんを対象とした第2相臨床試験では、Cerdelga®は骨髄負荷(BMB)および骨密度(BMD)など骨に関するパラメータで好ましい効果を示し、この効果が4年以上持続しました。延長期間に入った第2相試験患者さんの大多数は、現在治療開始から8年目となっています。

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。

Cerdelga について

Cerdelga（一般名：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。前臨床試験では、同大学の James A. Shayman, MD とともに開発した分子が、グルコシルセラミド合成酵素に対する特異性を示しました。広範な前臨床およ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 相臨床プログラムが実施されました。

Cerdelga® は、ゴーシェ病を治療する希少疾病用医薬品として、欧州委員会の Community Register of Orphan Medicinal Products に登録されています。