

2015. 3. 10

ライソゾーム病ネットワーク世界シンポジウムで、ジェンザイム社が Cerdelga®（一般名：エリグルスタット酒石酸塩）の第3相臨床試験の延長試験結果を発表

2015. 3. 10

本資料は、2015年2月12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2月12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、ゴーシェ病に対する経口治療薬として米国食品医薬品局（FDA）および欧州委員会（European Commission）の承認を得た第一選択経口治療薬である Cerdelga®（一般名：エリグルスタット酒石酸塩）の第3相試験である ENGAGE 試験および ENCORE 試験の延長試験データを報告しました。これらの結果は本日、米国フロリダ州で開催された第11回ライソゾーム病ネットワーク世界シンポジウム（11th Annual Lysosomal Disease Network WORLD Symposium）で発表されました。どちらの延長試験でも、設定された評価項目および治療目標すべてにわたり、継続的な安定性および／または改善が実証されました。

ジェンザイム社は、ゴーシェ病患者さんに代替治療薬を提供し、患者さんや医師にさらに幅広い治療選択肢を提供することを目的として、経口治療薬である Cerdelga®を開発しました。ジェンザイム社による 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。

これらの第3相試験に関する発表内容は、以下の通りです

- ・ ENGAGE 試験－ゴーシェ病患者さんを対象に、エリグルスタットの有効性および安全性を検討した、第3相無作為化二重盲検プラセボ対照多施設共同試験の18ヶ月後の結果。イェール大学ライソゾーム病センターおよびイェール大学医学大学院ゴーシェ病治療センターのディレクターである Dr. Pramod Mistry (MBBS, PhD, F. R. C. P) は次のように述べています。「主要解析期間には、9ヶ月間の Cerdelga®投与後、脾容積、血小板数、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。9ヶ月間の延長期間には、プラセボからエリグルスタットに切り替えた患者さんにも、主要解析期間中にエリグルスタットを投与した患者さんと同様の改善が見られました。また、主要解析期間中からエリグルスタットを投与していた患者さんは9ヶ月間の延長期間中も、引き続き改善を示しました。治療に関連する中止はありませんでした。」

- ・ ENCORE 試験－酵素補充療法を受けており安定しているゴーシェ病患者さんを対象に、エリグルスタットとイミグルセラゼを比較した、第3相無作為化比較対照非盲検非劣性試験の24ヶ月の結果。英国ケンブリッジ大学医学部アデンプルックス病院研究部長兼教授、Dr. Timothy M. Cox (MD, FRCP) は次のように述べています。「イミグルセラゼ（Cerezyme®）に対する非劣性の主要解析基準を満たした12ヶ月の本試験では、脾容積、ヘモグロビン値、血小板数、および肝容積からなる複合評価項目を評価しました。12ヶ月間の延長期間中、イミグルセラゼからエリグルスタット治療に切り替えた患者さんは、安定した状態を維持しました。24ヶ月間にわたりエリグルスタットを投与した患者さんも、延長期間中、臨床パラメータは安定した状態を維持しました。」

ENGAGE 試験および ENCORE 試験の主要解析期間における副作用（10%以下）は疲労、頭痛、悪心、下痢、背部痛、四肢痛、および上腹部痛でした。どちらの延長試験でも、Cerdelga®の副作用の多くは軽度で一時的なもので、主要解析期間に見られた副作用と一致していました。

どちらの第3相試験もほとんどの患者さんが長期にわたる延長試験中も Cerdelga®の投与を継続しています。患者さんの大半は治療開始から4年目または5年目になります。

ジェンザイム社の希少疾患部門長代理の Richard Peters (M. D, Ph. D)は、次のように述べています。「ジェンザイム社のゴーシェ病プログラムにおける継続的な取り組みと Cerdelga®の承認は、当社とゴーシェ病患者さん双方にとって重要です。患者さんの大半が治療を継続した延長試験の結果は、ゴーシェ病の長期的な管理を行う際の第一治療選択肢として Cerdelga®を使用することを支持しています。」

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。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。

サノフィ社の将来予想に関する記述

当プレスリリースには、1995年改正民事証券訴訟改革法に定義される将来予想に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、歴史的事実を述べるものではない記述です。これには、見通しと予測ならびにそれらの基礎となる将来の業績、事象、事業、サービス、製品開発および可能性に関する計画、目標、意図および予想とともに、将来の業績に関する記述が含まれます。将来予想に関する記述は、一般に、「期待」「見込み」「予定」「予測」「計画」などの表現により識別されます。サノフィ社の経営陣は、そのような将来予想に関する記述に反映された予想を妥当と考えていますが、投資家の皆様におかれましては、将来予想に関する情報および記述は様々なリスクと不確実性を有し、そうしたリスクや不確実性の多くは予測が困難であり、かつ一般にサノフィ社の権限の及ぶ範囲を超えているために、実際の結果や展開がここに明示、黙示または提示された情報や記述と大きく異なる可能性があることにご注意ください。そのようなリスクや不確実性には、特に、研究開発、市販後調査を含む将来の臨床データ・分析、FDAやEMA等の薬事規制当局による医薬品、医療機器またはそれら申請製品に関して提出される生物学的応用の承認の可否および時期に関する判断、また申請製品の可用性や販売潜在力に影響を与える可能性のある表示やその他の事柄に関するかかる薬事規制当局による判断、申請製品が承認された場合に商業的に成功する保証の欠如、代替治療製品の今後の承認および商業的成功、サノフィ・グループが外部からの成長の機会から利益を得る能力、為替レートや現行利子率の動向、コスト削減策とそれに伴う変化の影響ならびに平均発行済株式数に内在する不確実性ととも、サノフィ社の2013年12月31日終了事業年度の年次報告書（フォーム20-F）の中で「リスク要因」および「将来予想に関する記述に関する注意事項」として列挙したものを含め、米国証券取引委員会およびフランス金融市場庁への届出におい

てサノフィ社が論じまたは特定したリスクや不確実性が含まれます。適用法により義務づけられている場合を除き、サノフィ社は、将来予想に関する情報もしくは記述を更新または修正するいかなる義務も負うものではありません。