

2015. 3. 26

## ゴーシェ病に対する初めての経口治療薬 「サデルガ®カプセル 100mg」の製造販売承認取得について ～ゴーシェ病患者さんに新たな治療選択肢～

2015. 3. 26

サノフィ・グループのジェンザイム・ジャパン株式会社(本社：東京都新宿区、代表取締役社長：足利英幸、以下「ジェンザイム」)は、本日、ゴーシェ病経口治療薬であるグルコシルセラミド合成酵素阻害薬「サデルガ®カプセル 100mg」(一般名：エリグルスタット酒石酸塩、以下「サデルガ®」)の製造販売承認を厚生労働省より取得しましたのでお知らせいたします。

サデルガ®は、ゴーシェ病に対する日本で初めての経口治療薬であり、「ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善」を効能・効果として承認されました。この新薬により日本のゴーシェ病患者さんに新たな治療選択肢を提供できると共に、その利便性などにより、患者さんのQOL(クオリティ・オブ・ライフ=生活の質)の更なる向上が期待できます。なお、Cerdelga®(海外販売名)は、2014年8月に米国食品医薬品局(FDA)で、2015年1月に欧州委員会(EC)で承認されています。

今回の厚生労働省による承認は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、3つの第3相試験が含まれます。

酵素補充療法の治療歴を問わないゴーシェ病患者さんを対象とした第3相試験「EDGE試験」は、用法・用量を設定することを目的に行われ、165例中137例で骨クリーゼ、ヘモグロビン値、血小板数、脾容積および肝容積の有効性複合評価項目を達成しました。なお、本試験に参加した日本人患者さん10例全例においても有効性複合評価項目を達成しました。また、未治療のゴーシェ病患者さんを対象とした第3相試験「ENGAGE試験」は、プラセボ群に対する優位性を示すことを目的に行われ、9ヵ月間の投与後、ヘモグロビン値・血小板値・肝容積および脾容積という評価項目に改善が見られました。もう一つの第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、症状の安定を評価することを目的に行われました。この試験で、Cerdelga®は酵素補充療法(イミグルセラゼ)に対する非劣性基準(ヘモグロビン値・血小板値・肝容積および脾容積の複合評価項目)を満たしました。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、大半は現在投与開始から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相試験の患者さんの大多数は、現在投与開始から8年目となっています。

ジェンザイムは「ひとつでも多くの笑顔のために、希少疾患に向き合うみなさまへ新たな希望を届けつづけます」というミッションのもと、ゴーシェ病に対する初めての経口薬となる「サデルガ®」を提供することで、日本の患者さんとそのご家族や医療関係者へ更なる貢献をしております。

以上

### サデルガ®の製品概要

製品名	サデルガ®カプセル 100mg
一般名	エリグルスタット酒石酸塩
剤型	カプセル剤

効能・効果	ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善
用法・用量	通常、CYP2D6 Extensive Metabolizer 及び Intermediate Metabolizer の成人にはエリグルスタット酒石酸塩として 1 回 100mg を 1 日 2 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜減量する。

### 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。詳細は、<http://www.lysolife.jp>(ライソゾーム病の疾患サイト)および<https://gaucher.mps-navi.jp>(医療従事者用 ゴーシェ病の疾患サイト)をご参照ください。

### サデルガ®について

サデルガ®（一般名：エリグルスタット酒石酸塩）は経口投与可能な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、ゴーシェ病患者さんの細胞と組織内に蓄積する物質です。

### ジェンザイム・ジャパンについて

ジェンザイム・ジャパン株式会社は、ジェンザイム・コーポレーションの日本法人として 1987 年に設立されました。「ひとつでも多くの笑顔のために、希少疾患に向き合うみなさまへ新たな希望を届けつづけます」というミッションのもと、海外バイオ企業の日本法人としては初めて、他社と提携することなく自社単独で医療用医薬品の開発・販売に成功しました。

現在、希少疾患であるライソゾーム病のうち、「ゴーシェ病」「ファブリー病」「ムコ多糖症Ⅰ型」「ムコ多糖症Ⅱ型」「糖原病Ⅱ型(ポンペ病)」の 5 つの治療薬と内分泌領域の 1 製品、併せて 6 つの希少疾病用医薬品を販売しています。2011 年からはサノフィ・グループの一員となり、世界トップ製薬企業の規模と資源を生かし、共に患者さんの生活を向上させることにコミットしています。詳細は、<http://www.genzyme.co.jp>をご参照ください。

### サノフィについて

サノフィ・グループは、フランス・パリに本社を置きグローバル事業を総合的に展開するヘルスケアリーダーです。世界 100 カ国に 11 万人以上の社員を擁し、糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品、新生ジェンザイムの 7 つを成長基盤として、患者さんのニーズにフォーカスした治療ソリューションの創出・研究開発・販売を行っています。サノフィは、パリ (EURONEXT:SAN) およびニューヨーク (NYSE:SNY) に上場しています。日本においては、約 2,700 人の社員が、「日本の健康と笑顔に貢献し、最も信頼されるヘルスケアリーダーになる」をビジョンに、医薬品の開発・製造・販売を行っています。詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください