

2015. 6. 19

FDA がジェンザイム社の olipudase alfa [酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症の非神経型（ニーマン・ピック病 B 型）に対する酵素補充療法の治験薬] を画期的治療薬に指定

2015. 6. 19

本資料は、2015 年 6 月 4 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 6 月 4 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 olipudase alfa が画期的治療薬に指定されたこと（Breakthrough Therapy Designation）を発表しました。この酵素補充療法は、酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症（ASMD）の中でも、神経症状のない患者さんの治療のために研究開発されています。ASMD のうち神経症状のない病型はニーマン・ピック病 B 型、神経症状のある病型はニーマン・ピック病 A 型と呼ばれています。ASMD は、酸性スフィンゴリエリナーゼ（ASM）と呼ばれる酵素の活性が不十分なために起こる重篤かつ生命にかかわる疾患で、スフィンゴリエリンと呼ばれる物質の有毒な蓄積をもたらします。現在のところ、ニーマン・ピック病 B 型の患者さんに対して投与できる承認された薬剤はありません。

画期的治療薬への指定は、重篤な疾患や生命に関わる疾患を対象とした新たな治験薬の開発と審査の迅速化を意図しています。画期的治療薬の指定を受けるための基準は、臨床的に重要な評価項目において、現在利用可能な治療よりも大幅な改善があることを示す予備的な臨床エビデンスがあることです。画期的治療薬の指定は、薬剤の開発および審査を迅速化するための FDA の他の仕組みとは異なり、olipudase alfa の開発プログラムに関してジェンザイム社と FDA が密接に協力することを可能にするものです。

ジェンザイム社はこの疾患の原因となっている問題に取り組むべく、olipudase alfa の開発を行っています。体内で生成される酵素の欠損や不足を olipudase alfa の投与により補充することで、ASMD の臨床症状の原因となっている蓄積されたスフィンゴリエリンの分解を可能にします。

画期的治療薬への指定は、既に完了した olipudase alfa の第 1b 相試験のデータが根拠となっています。神経症状のない 5 名の ASMD 成人患者さんの試験結果は 2015 年 2 月に開催されたライソゾーム病ネットワーク世界シンポジウム（Lysosomal Disease Network's WORLD Symposium）で発表されました。Olipudase alfa の反復投与による安全性、薬力学および予備的な有効性データにより、神経症状のない ASMD 患者さんを対象に、これからも開発を継続していくことが決まりました。

ジェンザイム社は小児の患者さんを対象とした第 1/2 相試験への患者登録を開始しており、2015 年下期には成人の患者さんを対象とした第 2/3 相試験への患者登録の準備も予定しています。

ジェンザイム社の希少疾患事業部門長の Richard Peters, M.D., Ph.D. は「ASMD/ニーマン・ピック病 B 型コミュニティーには大きなアンメットニーズがあります。Olipudase alfa が患者さんコミュニティーに重要な貢献ができると期待しております。また、この重要な開発プログラムに対して、

FDA が支援、すなわち、olipudase alfa に優先的な薬剤開発の道筋を利用する機会を与えて下さったことに感謝しています。これは、進行性かつ消耗性の慢性疾患に罹患した患者さんへの希望につながっていると考えます。」と述べました。

ASMD（ニーマン・ピック病）について

酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症（Acid Sphingomyelinase Deficiency [ASMD]）はニーマン・ピック病 A 型および B 型（NPD A および NPD B）と呼ばれ、遺伝子変異を原因とし、先天性代謝異常を引き起こすライソゾーム病の 1 種です。ASMD は、酸性スフィンゴミエリナーゼ（ASM）と呼ばれる特定の酵素の欠損によって起こります。この酵素は、ライソゾームと呼ばれる細胞内の特定の区画に見られるもので、スフィンゴミエリンと呼ばれる脂質を分解するために必要とされています。ASM が欠損もしくは十分に機能しない場合、スフィンゴミエリンが適切に代謝されず、体内の細胞内に蓄積し、細胞死や臓器の機能不全を引き起こします。ニーマン・ピック病 A 型およびニーマン・ピック病 B 型はいずれも同一の酵素欠損に因るものであり、これら 2 つの病型は、1 つの疾患における連続した病態の幅の別の部分であると考えられつつあります。

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 2014 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。