

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2022年3月9日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約し、3月16日に配信するものです。本資料の正式言語はフランス語・英語であり、その内容および解釈については両言語が優先します。日本で承認されている主な製品名および一般名についてはカタカナ表記をしています。

2022年3月16日

efanesoctocog alfa、血友病 A におけるピボタル試験で 主要評価項目と重要な副次評価項目を達成し、 既存の凝固因子製剤による定期補充療法との比較で優越性を立証

- efanesoctocog alfaの週1回投与は、第III相試験の主要評価項目を達成し、出血エピソードに対する臨床的に意義のある出血抑制効果を示しました。
- 重要な副次評価項目では、efanesoctocog alfaは出血抑制効果において優越性を示し、前治療の既存の第VIII因子製剤による定期補充療法に比べ、年間出血率(ABR: annualized bleeding rate)について、統計学的に有意で臨床的に意義のある低下を示しました。
- 開発中の新規第VIII因子製剤であるefanesoctocog alfaは、週1回の定期補充療法で正常値に近い第VIII因子活性レベルを1週間の大半にわたり維持できるよう設計された製剤です。

パリおよびストックホルム - 2022年3月9日 - サノフィとスウェディッシュ・オーファン・バイオビトラム社(Sobi®) (STO:SOBI)は、12歳以上の治療経験のある重症血友病 A 患者における efanesoctocog alfa(国際一般名、開発コード: BIVV001)の安全性、有効性と薬物動態を評価するピボタル第III相 XTEND-1 試験について、肯定的な速報データを発表しました。

臨床的に主要評価項目を達成し、efanesoctocog alfaによる週1回の定期補充療法を52週間継続した重症血友病A患者において、臨床的に意義のある出血抑制効果が得られることを示しました。年間出血率(ABR: annualized bleeding rate)の中央値は0で、平均値は0.71でした。重要な副次評価項目も達成し、efanesoctocog alfaの週1回投与は前治療の既存の第VIII因子製剤による定期補充療法との比較で優越性を示し、患者内比較で年間出血率の統計学的に有意な減少を認めました。efanesoctocog alfaの忍容性は良好で、第VIII因子に対するインヒビターの発現は認められませんでした。試験治療下で発現した有害事象のうち、比較的高頻度(被験者全体の5%超)で発現した有害事象は、頭痛、関節痛、転倒及び腰痛でした。

ディートマー・ベルガー(Dietmar Berger, MD, PhD)

サノフィ グローバル開発ヘッドおよび最高医学責任者

「血友病の治療法は進歩しましたが、アンメット・メディカル・ニーズは未だ存在します。今回得られた肯定的な速報データは、年間出血率が極めて低いことを示すもので、efanesoctocog alfaが血友病Aの治療に変革をもたらす可能性をさらに高めるものでした。私たちは、efanesoctocog alfaが長期的にわたり、より高い出血抑制効果を発揮し、週1回の投与で済むことで治療の負担を低減できると考えています。今後は規制当局と連携し、本治療薬をできる限り早期に患者さんにお届けできるよう活動してまいります」

血友病Aは稀な遺伝性疾患で、第VIII因子の欠乏により血液が凝固する機能が損なわれます。日本における血友病Aの患者数は約5,000人と報告されており¹、女子の発生頻度は男子より低率です。血友病患者に出血が発生すると、痛み、不可逆な関節障害や、生命が脅かされるような出血に至るおそれがあります。

アンデシュ・ウルマン(Anders Ullman, MD, PhD)

Sobi 研究開発ヘッドおよび最高医学責任者

「efanesoctocog alfaは週1回投与で、週の大部分にわたり第VIII因子の活性レベルを正常値近辺で維持できるよう設計された第VIII因子療法製剤を代表する新たなクラスの医薬品となる可能性を持つと、私たちは考え

ています。今後、第III相試験で得られた身体的な健康状態、疼痛の発生状況や関節の状態などの結果を学会で発表する予定です」

今回の試験のデータに基づき、今年から世界各国における承認申請を行う予定です。EUにおける承認申請は、現在実施中の小児を対象とするXTEND-Kids試験のデータが得られ次第行う予定で、承認申請は2023年の見込みです。efanesoctocog alfaは2017年8月、米食品医薬品局(FDA)から希少疾病用医薬品指定を受け、2019年6月には欧州委員会(EC)より希少疾患用医薬品指定を受けました。2021年2月には、米国FDAよりファストトラック審査の対象に指定されました。efanesoctocog alfaは現在、臨床試験の段階にあり、その安全性と有効性は、いかなる規制当局の十分な評価を受けてはいません。

第III相XTEND-1試験について

第III相XTEND-1試験(NCT04161495)は、第VIII因子補充療法を受けた経験のある12歳以上の重症血友病Aの患者(n=159)における安全性、有効性と薬物動態を検討する目的で実施した非盲検非無作為化介入試験です。試験は、定期補充療法群とオンデマンド療法群の二つの並行群から構成されます。定期補充療法群(A群)では、efanesoctocog alfa 50 IU/kgの週1回投与を52週間行い、このうち一定数の患者についてはefanesoctocog alfaの投与に先立ち既存の第VIII因子製剤による定期補充療法下の観察期間を設けました。オンデマンド療法群(B群)では、前半26週間はefanesoctocog alfa 50 IU/kgのオンデマンド療法投与を受け、後半26週には週1回の定期補充療法を受けました。

主要評価項目は、A群における年間出血率(ABR: annualized bleeding rate)としました。重要な副次評価項目は、XTEND-1試験への参加前に観察研究(242HA201/OBS16221)に参加したA群の患者を対象として、観察研究中の既存の第VIII因子製剤による定期補充療法実施時の年間出血率とefanesoctocog alfa週1回投与時の年間出血率の患者内比較を行いました。

efanesoctocog alfa (BIVV001)について

efanesoctocog alfaは、血友病A患者に対して週1回の定期補充療法により、従来より長期間持続する出血抑制効果を得ることを目的として現在開発を進めている、新たな遺伝子組換え型第VIII因子製剤です。本剤は、革新的なFc融合技術に加えてフォン・ヴィレブランド因子(VWF)の一部とXTEN[®]ポリペプチドを組み込むことで、より長時間にわたり循環血中に存在できるよう設計されています。現行の第VIII因子製剤の半減期は、VWFの半減期に依存しますが、本剤はこの制限を受けないことを明らかにした初の第VIII因子製剤です。efanesoctocog alfaは現在、臨床試験の段階にあり、その安全性と有効性は、いかなる規制当局の十分な評価を受けてはいません。

サノフィとSobiの提携について

Sobiとサノフィは、オルプロリクス[®]およびイロクテイト[®]の開発と事業化を連携して進めています。両社は、血友病Aの患者さんに週1回投与することで凝固因子の活性レベルを高く維持する作用をもつ現在開発中の第VIII因子療法製剤であるefanesoctocog alfaの開発と事業化においても連携しています。Sobiは、同社の担当地域(基本的には欧州、北アフリカ、ロシア、中東市場の大部分)における開発と事業化に関する最終的な権利を有します。サノフィは、北米と、Sobiの担当地域以外の全世界において開発と事業化に関する最終的な権利を有します。

Sobi[®]について

Sobiは、希少疾患の人々の生活を変えることを目的とする国際的バイオ医薬品企業です。Sobiは、血液疾患、免疫疾患およびスペシャルティ領域における革新的治療について、持続的なアクセスを提供しており、現在、欧州、北米、中東およびアジアで約1,600名の従業員が活動しています。2021年のSobiの収益は、155億スウェーデンクローナ(約16億米ドル)でした。Sobiは、ナスダックストックホルムに上場しています(STO:Sobi)。Sobiに関する詳細は、sobi.com、LinkedInとYouTubeをご覧ください。

¹ https://www.jsth.org/glossary_detail/?id=112

XTEN[®]は、Amunix Pharmaceuticals社の登録商標です。

サノフィについて

サノフィは、人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求する、というゆるぎない使命を原動力に進み続ける革新的でグローバルなヘルスケア企業です。約 100 カ国の社員は、医療を変革し、不可能を可能に変えるため、日々研鑽に努めています。私たちは、社会的責任と持続可能性を企業の本質とし、画期的な医薬品や生命を守るワクチンを開発し、世界何百万もの人々に届けていきます。

日本法人であるサノフィ株式会社の詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。

サノフィの今後の見通しに関する記述

当プレスリリースには、1995 年民間有価証券訴訟改正法(修正を含む)でいう「今後の見通しに関する記述」が含まれています。今後の見通しに関する記述とは、歴史的事実を述べるものではない記述です。これらの記述には、計画と予測ならびにそれらの根拠となる前提、将来の財務結果、事象、事業、サービス、製品の開発および可能性に関する計画、目標、意向および期待に関する記述、ならびに、将来の実績に関する記述が含まれます。一般的に、今後の見通しに関する記述は、「予想」、「期待」、「見込み」、「予定」、「予測」、「計画」などの表現によって識別されます。サノフィの経営陣はそのような今後の見通しに関する記述に反映された予想を妥当と考えますが、投資家は今後の見通しに関する情報と記述がさまざまなリスクと不確実性の影響を受けやすく、それらの多くが予測困難であり、通常サノフィが制御できず、そのために実際の結果と進展が、今後の見通しに関する情報と記述の中で表現された、暗示された、または予測されたものとは実質的に異なる場合があることに注意してください。そのようなリスクと不確実性には、研究開発、市販後を含む今後の臨床データおよび解析、薬剤・機器・生物学的製剤などの製品候補について提出される申請の承認の是非および時期に関する FDA や EMA などの規制当局の決定、ならびにそのような製品候補の利用可能性や商業的可能性に影響を及ぼすラベリングその他の問題に関する当局の決定に付随する不確実性、製品候補が承認された場合に商業的に成功するという保証の欠如、代替治療薬の将来的な承認および商業的成功、サノフィが外部成長の機会から利益を得る可能性および/または規制当局の承認を得る能力、知的財産に関連するリスクおよび知的財産に関する現在係争中または将来に生じる訴訟、当該の訴訟の最終結果に付随する不確実性、為替レートと実勢金利のトレンド、不安定な経済・市場情勢、コスト削減イニシアチブとその後の変更の影響、COVID-19が当社、顧客、サプライヤー、ベンダーその他のビジネスパートナーに及ぼす影響、これらのうちいずれかの財務状況、および当社の従業員、世界経済全体に及ぼす影響があり、これらのいずれかにCOVID-19が影響を及ぼした場合には、当社にも悪影響が生じる可能性があります。状況は急速に変化しており、現時点では把握していない影響が生じるおそれや、既に確認されているリスクがさらに悪化するおそれがあります。またそのようなリスクと不確実性には、サノフィの 2021年12月31日終了事業年度フォーム 20-F 年次報告書の「リスク要因」および「今後の見通しに関する記述」項目を含む、サノフィが作成した SEC および AMF に対する公の届け出の中で議論されているかまたは特定されているものが含まれます。サノフィは、適用法によって義務付けられている場合を除き、今後の見通しに関する情報または記述の更新または見直しを行う義務を負うものではありません。