

2022年3月28日

酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症治療剤 「ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg」 日本で製造販売承認を取得

酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症 (ASMD) で唯一の治療薬
サノフィ初の先駆け審査指定制度に基づき、世界初の承認を取得

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:岩屋孝彦、以下「サノフィ」)は、ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg(一般名:オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)、以下「ゼンフォザイム®」)について、「酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症」の効能又は効果で、本日、製造販売承認を取得しました。この度の承認は、対象疾患の重篤性などの指定基準を満たす画期的新薬の日本での研究開発を支援する制度である先駆け審査指定制度*に基づいています(2017年4月21日付で先駆け審査指定制度の対象品目に指定)。ゼンフォザイム®は酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症(ASMD)で唯一の治療薬となります。

*現在の名称は「先駆的医薬品等指定制度」

ASMD は、ライソゾームという細胞内器官でスフィンゴミエリンと呼ばれる脂質を分解する酵素である酸性スフィンゴミエリナーゼ(ASM)の欠損または活性の低下により現れる疾患であり、スフィンゴミエリンが代謝されずに細胞内に蓄積します。やがて細胞は死滅し、内臓等の機能に異常が現れます。ライソゾーム酵素であるASMの活性の低下は、スフィンゴミエリンホスホジエステラーゼ1の遺伝子(SMPD1)の変異により現れます。

サノフィは、2件の臨床試験で得られた肯定的な結果に基づき、2021年9月に先駆け審査指定制度のもと、承認申請しました。

- ASMDの成人患者36名が参加した第II/III相試験であるASCEND試験では、52週間にわたり、ゼンフォザイム®の肺機能、脾容積と肝容積等に対する有効性をプラセボとの比較で検討しました。
- ASMDの小児患者(18歳未満)20名を対象とした第I/II相非盲検単群試験であるASCEND-Peds試験では、64週間にわたりゼンフォザイム®の安全性と忍容性を評価しました。
- 両試験結果は、2020年10月に開催された第70回米国人類遺伝学会(ASHG 2020)で発表されました。

サノフィは、希少疾患領域において、引き続き日本の患者さんに希望をお届けできるよう鋭意努力し、患者さんとそのご家族や医療関係者へ更なる貢献をまいります。

【今回承認された効能又は効果、用法及び用量について】

販売名	ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg
一般名	オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)
効能又は効果	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症
用法及び用量(抜粋)	通常、オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)として、用量漸増法に従い、本剤の開始用量及びその後の用量を隔週点滴静脈内投与する。維持用量は、通常、1回体重 1kg あたり 3mg とする。
国内製造販売承認取得日	2022年3月28日

ASMDについて

ASMDは、スフィンゴミエリンホスホジエステラーゼ1の遺伝子(SMPD1)の変異により生じる様々な疾患の総称で、そのスペクトラムの両端にある疾患は、ニーマン・ピック病(NPD)A型とB型と呼ばれることもあります。NPD A型は、神経症状が急速に進行し、中枢神経系の合併症により小児期の早い段階で死に至る疾患です。NPD B型は、重篤で生命が脅かされる可能性のある疾患で、主に肺、肝臓、脾臓と心臓に症状が現れます。NPD A/B型は、A型とB型の中間にある疾患で、神経症状は患者によって様々です。NPD C型と呼ばれる疾患もありますが、これはASMDとは全く異なる疾患です。

ゼンフォザイム®について

ゼンフォザイム®は、活性が低下しているASMを補充し、スフィンゴミエリンの分解を促す目的で用いる、酵素補充療法の製剤です。ゼンフォザイム®は、ASMDの非中枢神経系病変に対する治療薬として開発されました。NPD A型の患者を対象とした本剤の試験は行っていません。

日本では、ゼンフォザイム®は、先駆け審査指定制度*の対象品目として指定されています。先駆け審査指定制度は、対象疾患の重篤性などの指定基準を満たす画期的新薬の日本での研究開発を支援する制度です。

*現在の名称は「先駆的医薬品等指定制度」

米国食品医薬品局(FDA)は、本剤をBreakthrough Therapy(画期的治療薬)に指定しました。画期的治療薬の指定は、重篤または生命が脅かされる疾患を対象に開発中の新薬の開発と審査を促進する目的で行われます。画期的治療薬の指定の基準には、臨床上意義のある評価項目の検討で、既存薬を大きく上回る改善をもたらす可能性を示す予備的な臨床エビデンスが得られていることなどの項目があります。

欧州医薬品庁(EMA)も、ゼンフォザイム®に対してPRIME(PRIority Medicinesの略称)の対象に指定しています。PRIME指定は、既存の治療薬を超える治療上の利点があるか、治療選択肢のない患者に有用と考えられる新薬の開発と審査を促進する目的で行われます。

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。