

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2022年8月30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、9月9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9月9日

## 米国食品医薬品局(FDA) efanesoctocog alfa を 血友病 A 治療薬として優先審査品目に指定

- 開発中の第 VIII 因子製剤である efanesoctocog alfa の FDA の審査終了日は、2023 年 2 月 28 日の予定です。
- 優先審査は、ピボタル第 III 相 XTEND-1 試験のデータに基づき行われます。
- 本剤は週 1 回の定期補充療法で第 VIII 因子活性レベルを1週間の大半にわたり正常値近くで維持できるよう設計された薬剤で、より高い出血抑制効果が長期間持続します。

**パリおよびストックホルム、2022 年 8 月 30 日** – 米国食品医薬品局(FDA)は、稀少で、かつ生命を脅かす可能性のある出血性疾患である血友病 A の治療薬として efanesoctocog alfa (BIVV001) の生物学的製剤承認申請(BLA)を優先審査対象に指定しました。FDA の審査終了日は、2023 年 2 月 28 日の予定です。サノフィと Sobi®は、efanesoctocog alfa の開発と事業化を連携して進めています。

### スティーブ・パイプ(Steve Pipe, MD)

ミシガン大学小児血友病・凝固障害プログラム長、教授

「血液凝固因子療法は血友病治療の基本ですが、出血抑制と煩雑な治療レジメンに関連する課題を解決するにはイノベーションが必要とされてきました。efanesoctocog alfa が承認されれば、正常値に近い凝固因子活性レベルを 1 週間の大半にわたり維持できるようになり、新しい段階の出血抑制が期待されます。このような治療上のメリットが得られれば、血友病 A の患者さんが抱えるアンメット・メディカル・ニーズの改善につながり、抑制療法が大きく変わると考えられます」

BLA は、ピボタル第 III 相 XTEND-1 試験データに基づきます。同試験の結果は、2022 年 7 月に開催された第 30 回国際血栓止血学会(ISTH)で発表されました。試験データは、臨床的に意義ある出血抑制効果が示され、既存の第 VIII 因子製剤を用いた定期補充療法との患者内比較で優れた出血抑制効果を示しました。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(全被験者の 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・バーガー(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

「ピボタル第 III 相 XTEND-1 試験の結果は、efanesoctocog alfa が年間出血率の低下をもたらすことを示すもので、治療効果においてベストの有効性をもつ治療法となる可能性を裏づけています。この新しい治療法を血友病 A の患者の皆様にお届けすることを目標に、FDA と審査期間を通じて密接に連携していきたいと考えています」

FDA は、重篤な疾患の治療、診断または抑制の著しい向上が望める治療法を優先審査の対象としています。efanesoctocog alfa は FDA より、2022 年 5 月に第 VIII 因子製剤として初の**ブレイクスルーセラピー**（画期的治療薬）指定を受けました。また、FDA は efanesoctocog alfa を 2017 年にオーファンドラッグに指定、2021 年 2 月に**ファストトラック審査**の対象に指定しています。

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、データ取得と承認申請はともに 2023 年の見込みです。2019 年 6 月には欧州委員会(EC)よりオーファンドラッグ指定を受けました。

### 第 III 相 XTEND-1 試験(NCT04161495)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 efanesoctocog alfa の週 1 回投与の安全性、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(A 群、n=133)とオンデマンド療法群(B 群、n=26)の二つの並行群から構成されます。A 群は、試験参加前に第 VIII 因子の定期投与を受けていた患者さんで構成され、試験中に efanesoctocog alfa 50 IU/kg の週 1 回投与を 52 週間受けました。B 群では、試験参加前に第 VIII 因子のオンデマンド療法を受けていた患者さんで構成され、試験前半 26 週間は efanesoctocog alfa 50 IU/kg のオンデマンド療法を受け、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)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試験(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(Study 242HA201/OBS16221)。

### 血友病 A について

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。血友病 A の発生頻度は、男子出生 5,000 人に約 1 人で、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、不可逆的な関節損傷、生命が脅かされるような出血に至るおそれがあります。凝固因子製剤の投与が治療の基本で、様々な治療シナリオがあります。

### 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、フォン・ヴィレブランド因子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 因子製剤候補です。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、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います。現在、Sobi は欧州、北米、中東とアジアで約 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](https://sobi.com)、[LinkedIn](#) および [YouTube](#) でご覧ください。

## 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。