

本資料は、報道関係者を対象としています。医療現場や一般の方々を対象とした医学的な情報提供や、プロモーションが目的のものではありません。なお、これらの資料は配信時当初の情報が掲載されており、最新の情報が反映されているとは限らないことをご了承ください。

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2024年7月17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、7月19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。

報道関係者各位

2024年7月19日

オルツビーオ®海外第III相試験 XTEND-Kids NEJM に掲載

- オルツビーオ®が重症血友病Aの小児患者の治療に変革をもたらす可能性を
さらに裏づける結果 -

- オルツビーオ®は、12歳未満の血友病A患者への週1回投与で高い凝固因子活性を維持*しました。
- XTEND-Kids 試験の結果では本剤は血友病A患者の出血抑制に高い効果を示し、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。

*3日間は正常範囲からほぼ正常範囲(40IU以上)の第VIII因子活性を示し、投与後ほぼ7日間は10IU以上の活性を示しました

パリ、2024年7月17日 – 海外第III相試験 XTEND-Kids の詳細な結果がニューイングランド・ジャーナル・オブ・メディスン誌 (NEJM) に掲載され、オルツビーオ®(一般名: エファネソクトコグ アルファ(遺伝子組換え))の有効性、安全性と薬物動態が示されました。オルツビーオ®(エファネソクトコグ アルファ)は、新しいクラスの高活性維持型血液凝固第VIII因子製剤で、血友病Aの成人および小児患者において週1回の定期補充療法、出血時投与や、周術期管理に用いる医薬品として承認されています。

リン・マレック(Lynn Malec, MD)

バーシティ血液研究所 血液疾患総合センターメディカルディレクターおよび試験分担医師、ウィスコンシン医科大学小児内科准教授

「小児患者では有効な出血抑制を行うのは難しく、標準治療の最適化を模索する私たちにとって、今回発表された結果は重要な進歩といえます。週1回投与で高い凝固因子活性を維持することで、重症血友病の治療で頻繁に直面する血液凝固因子補充療法の負担と有効性とのトレードオフの解消に一歩前進します」

NEJMに掲載されたXTEND-Kids 試験では、オルツビーオ®は、主要評価項目である第VIII因子インヒビターの発現した症例はありませんでした(0% [95%信頼区間(CI)] 0-5)。副次評価項目の年間出血率(ABR)では、オルツビーオ®の投与により、試験計画に従って治療を受けた患者73名における年間出血率(ABR)の中央値は0.00(四分位範囲[IQR]: 0.00-1.02)、ABRの推定平均値(95% CI)は0.61(0.42-0.90)でした。小児患者では凝固因子濃縮製剤の血液からの消失速度は成人より高く、半減期標準型(SHL)や半減期延長型(EHL)の製剤では、多くの場合、週に2~4回の投与が必要となります。人生を通じて関節を健康に保つには、あらゆる関節内出血を抑制することが重要です。オルツビーオ®の毎週投与を受けた小児患者の82%では関節内出血の発生回数が0回で、本剤の週1回の定期補充療法で関節の健康状態が長期間にわたり守られる可能性を示しました。

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

「XTEND-Kids 試験のデータは、凝固因子活性を長期間にわたり高く維持することと、関節の健康状態などの健康状況の改善に関連があることを確認するものとなりました。血友病の小児患者さんの出血抑制効果が強化できる治療選択肢をお届けすることで、日常活動に参加するお子さんを見守るご家族の安心感が高まります。今回の結果は、オルツビーオ®をはじめとする血友病治療薬の幅広いポートフォリオを通じて、血友病と共に生きる子どもたちの標準治療の再定義を目指し活動する私たちの専門性と取り組みの証といえます」

小児患者におけるオルツビーオ®の忍容性は良好で、有害事象により投与中止に至った患者さんはいませんでした。高頻度(>10%)で現れた試験治療下で発現した有害事象は、SARS-CoV-2 検査陽性、上気道感染と発熱でした。特に注目すべき有害事象として規定された、重篤なアレルギー反応、アナフィラキシーや、塞栓性または血栓性の有害事象の報告はありませんでした。

オルツビーオ®について

オルツビーオ®(一般名:エファネソクトコグ アルファ(遺伝子組換え))は、新しいクラスの高活性維持型血液凝固第 VIII 因子製剤で、血友病 A の成人および小児患者において週 1 回の定期補充療法で出血抑制効果が長時間持続するよう設計されています。成人患者と青年患者における本剤の半減期は、従来の半減期標準型製剤や半減期延長型製剤と比べて 3~4 倍長く、その活性を正常~ほぼ正常範囲に高く長く維持することができるため、週 1 回の投与が可能です。先行世代の第 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。

オルツビーオ®は現在、米国、台湾および日本で承認され、販売されています。2024 年 6 月 17 日、欧州委員会が本剤を血友病 A 患者の出血の治療および抑制と周術期予防を適応症として、ALTUVOCT の商品名で承認しました。

オルツビーオ®は第 VIII 因子製剤としては初めて、米国食品医薬品局(FDA)より 2022 年 5 月にブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)指定、2021 年 2 月にファストトラック指定、2017 年 8 月にオーファンドラッグ指定を受けました。欧州委員会は、2019 年 6 月に本剤をオーファンドラッグに指定しました。

XTEND-Kids 試験について

XTEND-Kids 試験(NCT04759131)は、非盲検非無作為化介入試験で、治療経験がある 12 歳未満の重症血友病 A の患者を対象にオルツビーオ®の週 1 回投与を行いました。試験に参加した患者(n=74)は、オルツビーオ®の週 1 回投与(50 IU/kg)による定期補充療法を 52 週間受けました。主要評価項目は、第 VIII 因子インヒビターの出現としました。副次評価項目は、治療を要した出血の年間発生率(ABR)、出血に対する治療、関節の健康状態、生活の質(QOL)、周術期管理、薬物動態と安全性などでした。

XTEND-ed 試験(NCT04644575)は現在実施中の継続投与試験で、治療経験のある重症血友病 A の患者を対象に最長で 4 年間にわたりオルツビーオ®を投与し、長期安全性と有効性を評価します。

血友病 A について

血友病 A は、まれな疾患で、血液が凝固する機能が損なわれ、関節内に前触れなく出血し、関節の損傷や慢性の痛みが現れることがあり、生活の質(QOL)が損なわれる可能性があります。血友病の重症度は、血液中の凝固因子活性に基づき判定します。出血リスクと凝固因子活性との間には、負の相関があります。

サノフィと Sobi の提携について

Sobi およびサノフィは、オルプロリクス®(一般名:エフトレノナコグ アルファ(遺伝子組換え))および イロクテイト®(一般名:エフラロクトコグ アルファ(遺伝子組換え))の開発と事業化を連携して進めています。両社は、オルツビーオ®(一般名:エファネソクトコグ アルファ(遺伝子組換え)、米国、台湾および日本での商品名であり、欧州での商品名は ALTUVOC™)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ア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、アジアとオーストラリアで約 1,800 名の従業員が活動しています。2023 年の Sobi の収益は、221 億スウェーデンクローナ(約 21 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、および [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/sobi) 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。

お問い合わせ先

サノフィ株式会社

広報部 中居

TEL: 080-6628-7532 e-mail: Communications.SAJ@sanofi.com

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、製品のマーケティングおよびその他の可能性、あるいは製品から将来得られる可能性のある利益に関する予測や見通しが含まれます。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、予測されない規制当局の行動または遅延、または政府の規制全般のうち本製品の入手可能性や商業的可能性に影響を及ぼすもの、製品が商業的に成功するという保証の欠如、臨床開発に付随する不確実性すなわち今後得られる製品の臨床データや現存する臨床データ(市販後調査を含む)の解析、予測されない安全性、品質または製造に関する問題、競争全般、知的財産に関連するリスクおよび知的財産に関して将来に生じる訴訟、当該の訴訟の最終結果に付随するリスク、経済情勢や市場状況の変化、パンデミックその他の世界的危機が当社、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などがあります。またそのようなリスクと不確実性には、サノフィの 2023 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。

本プレスリリースに記載されている商標は全て保護されています。