

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が 2025 年 3 月 28 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・編集し、4 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。

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。

報道関係各位

2025 年 4 月 16 日

Qfitlia、インヒビター保有および非保有の 血友病 A および血友病 B における 初のアンチトロンビン低下薬として米国で承認を取得

- ・ Qfitlia(fitusiran)は、血友病患者のアンチトロンビン濃度を低下させる初の治療薬で、最少で 1 年に 6 回投与することで一貫した出血抑制効果が期待されます。
- ・ 独自の作用機序により、血友病患者の出血エピソードが減少する可能性があります。

パリ、2025 年 3 月 28 日 – 米国食品医薬品局(FDA)が、血液凝固第Ⅷ因子または第Ⅸ因子に対するインヒビター保有または非保有の成人患者および小児患者(12 歳以上)における出血エピソードの抑制または出血頻度減少を目的として定期投与する初のアンチトロンビン(AT)低下薬として Qfitlia(fitusiran)を承認したことをお知らせします。今回の承認は、インヒビター保有および非保有の血友病患者を対象とし、年間出血率(ABR)による評価で臨床上意義ある改善がみられた ATLAS 第 III 相試験のデータに基づきます。

フィル・ガトン(Phil Gattone)

全米出血性疾患財団(National Bleeding Disorders Foundation)プレジデント・CEO

「血友病の患者さんは有効な出血コントロールと簡便な投与スケジュールのいずれかを選択するという、疾病管理の点で妥協せざるを得ない状況でした。Qfitlia は、血友病の患者さんご家族のために、出血を抑制しつつ投与頻度を下げるといった新しいアプローチを採っています」

Qfitliaは、血液凝固を阻害するタンパク質であるアンチトロンビンの濃度を下げ、トロンビン産生を促すことで血友病患者さんの止血バランスを調整します。Qfitliaは、siRNA(small-interfering RNA)技術を用いて、少量での皮下投与を低頻度で行える製剤として開発しました。

ブライアン・フォード(Brian Foard)

サノフィ エグゼクティブ・バイスプレジデント スペシャルティケア ヘッド

「今回の承認は、希少血液疾患コミュニティのためにイノベーションの推進とケアの向上を目指す当社の取り組みの成果の一つです。Qfitlia は、簡便な投与方法と低い投与頻度で効果的に出血を抑制できる製剤として、血友病治療に革新をもたらす可能性があります。当社の血友病治療のポートフォリオはますます充実しつつあり、個々の患者さんのニーズを最適な形で応える、治療の負担の少ない出血抑制薬をお届けできるよう注力しています」

ガイ・ヤング (Guy Young, MD)

ロサンゼルス小児病院 止血血栓センター所長

「Qfitlia は、血友病に対する出血抑制療法剤のなかで最も投与頻度が低い製剤であり、その独自の機序により、インヒビター保有例や血友病 B などのアンメットメディカルニーズがいまだ大きい患者さんを含むあらゆる患者さんに使用いただけます。アンチトロンビンは FDA が承認した血液検査で信頼性の高い測定が可能な生体内物質であり、Qfitlia はこのアンチトロンビンを標的とすることで止血バランスを調節し、出血率の低下や出血抑制効果の向上に役立ちます」

ATLAS臨床開発プログラムでは、Qfitliaを年間わずか6回の投与で、いずれのサブグループにおいても出血率の低下が認められました。主な結果は次の通りです。

- インヒビター非保有例については、Qfitliaの定期投与例は、凝固因子製剤のオンデマンド投与例に比べてABRが71%減少しました (ABRの推定平均値: 9.0 vs. 31.4; $p < 0.0001$)。インヒビター保有例では、Qfitliaの定期投与例はバイパス止血製剤のオンデマンド投与例に比べてABRが73%減少しました (ABRの推定平均値: 5.1 vs. 19.1; $p = 0.0006$)。
- 非盲検延長試験の観察に基づくABRの中央値は、インヒビター非保有例では3.8 (四分位範囲 (IQR): 0.0–11.2)、インヒビター保有例では1.9 (IQR: 0.0–5.6)でした。
- 非盲検延長試験の観察に基づく年間自然出血率 (AsBR) は、インヒビター非保有例では1.9 (IQR: 0.0–7.5)、インヒビター保有例では1.9 (IQR: 0.0–3.7)でした。非盲検延長試験に参加した患者の約半数では、出血回数が1回以下でした (31%が0回、47%が0～1回)。

血栓性事象、急性および再発性の胆嚢疾患や、肝毒性などの重大な副作用が生じる可能性があります。高頻度 (10%超) で認められた副作用は、ウイルス感染、上咽頭炎と細菌感染でした。

Qfitliaについては、FDAより血友病Aおよび血友病Bの治療薬としてオーファンドラッグ指定、血液凝固第Ⅷ因子または第Ⅸ因子に対するインヒビター保有および非保有の血友病Aおよび血友病Bの治療薬としてファストトラック指定、第Ⅸ因子に対するインヒビター保有の血友病Bの治療薬としてブレイクスルーセラピー指定を得ています。

血友病について

血友病AおよびBは、まれな先天性の生涯続く血液障害で、血液が凝固する機能が損なわれ、多量の出血や突発性の関節内出血が生じて関節の損傷や慢性の痛みが現れ、生活の質 (QOL) が損なわれる可能性があります。血友病Aでは第Ⅷ因子の欠乏、血友病Bは第Ⅸ因子の欠乏により現れ、トロンビンが十分に産生されず、血液が凝固する機能が損なわれます。凝固因子製剤による治療によってインヒビターが発現した患者さんでは、治療がさらに困難となります。

ATLAS臨床開発プログラムについて

ATLAS臨床開発プログラムでは、Qfitliaの有効性と安全性を検討中です。本プログラムで既に完了した第Ⅲ相試験には、ATLAS-INH (NCT03417102)、ATLAS-A/B (NCT03417245) と ATLAS-PPX (NCT03549871) があります。現在実施中の試験は、ATLAS-NEO (NCT05662319)、ATLAS-PEDS (NCT03974113) と ATLAS OLE (NCT03754790) の3件です。

現在実施中の ATLAS-OLE試験は第Ⅲ相単群非盲検試験で、第Ⅲ相ATLAS臨床試験を完了した患者さんが参加し、アンチトロンビンを15～35%に維持するようQfitliaを投与するATベースの投与法の修正版 (AT-DR) で投与する場合の安全性と有効性を検討しています。この試験では、Qfitliaを先行の試験よりも低用量で投与間隔をあけて投与する治療法を含めて検討しています。QfitliaのAT-DR投与法の有効性は、ATLAS-OLE試験のAT-DR投与例のデータと ATLAS-INH試験とATLAS-A/B試験の対照データの比較で評価します。解析は、intent-to-treatの原則に従って行います。

Qfitliaについて

Qfitlia (fitusiran) は、インヒビター保有および非保有の血友病Aまたは血友病Bの成人と小児 (12歳以上) に定期的に投与するファースト・イン・クラスのアンチトロンビン低下薬で、米国FDAより承認を取得しています。本剤は、50 mg投与用のプレフィルドペンを用いて皮下注射します。Qfitliaは、血液凝固を阻害するタンパク質で

あるアンチトロンビンを低下させて出血を抑制し、止血バランスを調整し、トロンビンの産生を促します。Qfitlia は、Alnylam Pharmaceutical 社の ESC-GalNAcコンジュゲート技術を用いた siRNA (small interference RNA) 医薬品です。

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、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、競合全般、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、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 2024 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 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。

本プレスリリースで言及した商標は、INNOVANCE 以外はいずれもサノフィグループの商標です。