

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2026年2月2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、2月10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

2026年2月10日

## サノフィの venglustat、ゴーシェ病3型を対象とした第III相試験で 全ての主要評価項目を達成

- まれなライソゾーム病の一種であるゴーシェ病3型の患者を対象とした LEAP2MONO第III相試験において、venglustatの1日1回経口投与が臨床上意味のある有効性を示しました。
- ゴーシェ病3型の神経症状に対して、venglustatは酵素補充療法に対する優越性を示しました(現時点ではゴーシェ病の神経症状に対して有効な治療法はありません)。
- サノフィは、本剤のゴーシェ病3型に対する承認申請を世界各国で進める予定です。
- ファブリー病を対象としたPERIDOT第III相試験では、主要評価項目である患者報告アウトカムにおいて優越性が認められませんでした。CARAT第III相試験は現在実施中です。

**パリ、2026年2月2日** – まれなライソゾーム病の一種であるゴーシェ病で神経症状を有するゴーシェ病3型と診断された成人および12歳以上の小児を対象としたLEAP2MONO第III相試験(試験ID:[NCT05222906](#))で肯定的な結果が得られ、venglustatは全ての主要評価項目と主な副次評価項目の4項目のうち3項目を達成しました。

Venglustatは、細胞や臓器における糖脂質の異常蓄積を抑制する作用をもつ開発中のグルコシルセラミド合成酵素阻害薬(GCsi)で、血液脳関門を通過する特性があり、現時点で有効な治療薬がないゴーシェ病3型の神経症状の改善を目指しています。サノフィは、希少疾患に対する治療改善に40年以上取り組んでおり、その一環としてゴーシェ病コミュニティを長年支援してきました。

試験結果は第22回WORLD Symposium™において速報(late-breaking research)として発表する予定です。

サノフィのエグゼクティブ・バイスプレジデント 研究開発部門ヘッドのホーマン・アシュラフィアン(Houman Ashrafiyan)は次のように述べています。「今回得られた知見は、希少疾患に対するサノフィの取り組みと、患者さんに成果をお届けするという約束を果たすための活動の結果といえます。私たちは今回、大きなアンメットメディカルニーズに応える可能性が見いだせたことをたいへん嬉しく思います。試験結果は、1日1回の服用で、神経症状に悩めるゴーシェ病の患者さんに大きな変化をもたらす可能性を示しています。試験に参加いただいた患者さんご家族の勇氣に、心より感謝申し上げます。」

LEAP2MONO試験では、ゴーシェ病3型の神経症状をSARA(Scale for Assessment and Rating of Ataxia : 運動失調評価法)修正総スコアとRBANS(Repeatable Battery for the Assessment of Neuropsychological Status:アーバンス神経心理テスト)スコアで評価し、52週時点の評価でvenglustat群は酵素補充療法群と比

較して統計学的に有意な改善を示しました( $p=0.007$ )。主な副次評価項目として検討した脾容積、肝容積、ヘモグロビン値を含む神経症状以外の評価項目では、venglustat群は酵素補充療法群と同様の結果が得られました。

Venglustatは、まれなライソゾーム病の一種であるファブリー病を対象とした臨床試験も実施中です。PERIDOT第III相試験(試験ID:[NCT05206773](#))では、venglustat群およびプラセボ群ともに神経因性疼痛と腹痛の軽減がみられ、主要評価項目は達成しませんでした。データの詳細な解析を継続しており、詳細な結果は今後、学会発表を行う予定です。CARAT第III相試験(試験ID:[NCT05280548](#))は、ファブリー病の男性および女性患者の左室心筋重量係数に対するvenglustatの効果を評価する試験であり、現在実施中です。

Venglustatの忍容性はおおむね良好で、過去の試験との比較で予測されない新たな安全性シグナルは認められませんでした。LEAP2MONO試験で治療中に高頻度で報告された有害事象の発現率(venglustat群[21名] vs. 酵素補充療法群[22名])は、頭痛(14.3% vs. 18.2%)、悪心(14.3% vs. 4.5%)、脾腫大(14.3% vs. 0%)および下痢(14.3% vs. 0%)でした。

サノフィは、venglustatのゴーシェ病3型の治療薬としての承認申請を世界各国で進める予定です。Venglustatは現在、臨床開発段階にあり、その安全性と有効性は、いずれの規制当局でも評価が完了していません。

サノフィは現在、ファブラザイム(ファブリー病に対する酵素補充療法剤)、セレザイム<sup>\*</sup>(ゴーシェ病に対する酵素補充療法剤)およびサデルガ(ゴーシェ病に対する経口剤)を世界各国で販売しています。2026年1月には、米国においてセレザイムが従来のゴーシェ病1型に加え、ゴーシェ病3型の非中枢神経系症状の治療薬としての適応を取得しました。米国での適応追加は、リアルワールドエビデンスのみに基づくもので、International Collaborative Gaucher Group (ICGG)のゴーシェ病レジストリのデータが活用されました。米国での適応追加に伴い、セレザイムは現在、ゴーシェ病1型またはゴーシェ病3型の患者さんの治療薬として世界各国で処方できるようになりました。

<sup>\*</sup>本邦におけるセレザイムの電子添文の記載

効能又は効果:ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善

効能又は効果に関連する注意(抜粋):本剤のゴーシェ病の神経症状に対する有効性は確立していない

## ゴーシェ病について

ゴーシェ病は、まれな遺伝性疾患であるライソゾーム病の一種で、グルコセレブロシダーゼ(別名βグルコシダーゼ)という酵素が欠乏するために、脾臓、肝臓、骨髄や肺のマクロファージにスフィンゴ糖脂質(GSLs)が蓄積する疾患です。ゴーシェ病は臨床症状に基づき、神経症状を伴わない(または遅発性の神経症状を伴う)1型、急性の神経症状を伴う2型、慢性の神経症状を伴う3型の3種類に分類されます。ゴーシェ病3型では、スフィンゴ糖脂質が中枢神経系に蓄積するため、運動失調や認知障害などの神経症状が現れる可能性があるほか、肝腫大や脾腫大、貧血、血小板減少症や骨障害などのゴーシェ病1型にみられる全身症状も現れます。ゴーシェ病3型の全身症状は酵素補充療法で治療可能ですが、現時点では神経症状に対する治療薬は承認されていません。

## ファブリー病について

ファブリー病は、まれな遺伝性疾患であるライソゾーム病の一種で、α-ガラクトシダーゼAの機能が低いためにスフィンゴ糖脂質が細胞に徐々に蓄積し、腎臓、心血管系や脳神経系に症状が現れる疾患です。主な初発症状は神経因性疼痛、腹痛や消化器症状などで、日常生活に大きな影響が生じます。ファブリー病は臨床症状に基づき、小児期から症状が現れる重症な古典型と、成人期に症状が現れる遅発型の2種類に分類されます。遅発型ファブリー病では、α-ガラクトシダーゼAの活性は残っていますが、スフィンゴ糖脂質の蓄積が徐々に進みます。

## Venglustatについて

Venglustatは、血液脳関門を通過して中枢神経に到達するよう設計された現在開発中の新規の経口グルコシルセラミド合成酵素阻害薬で、スフィンゴ糖脂質の異常蓄積を阻止して病状の進行を遅らせる可能性があります。スフィンゴ糖脂質は細胞を構成する成分の一種で、その異常蓄積により細胞機能の異常や疾病の進行が生じる希少疾患が複数存在します。Venglustatは、EU、米国、日本においてゴーシェ病およびファブリー病の治療薬として希少疾病用医薬品の指定を取得しています。また、本剤は、ゴーシェ病3型とファブリー病の治療薬として、米国食品医薬品局（FDA）よりファストトラック指定を取得しています。

## LEAP2MONO 試験について

LEAP2MONO第III相試験は、二重盲検ダブルダミー実薬対照2群間比較試験で、ゴーシェ病3型の成人患者と12歳以上の小児患者を対象に、酵素補充療法剤の隔週静脈内投与との比較によるvenglustatの1日1回経口投与の有効性を評価し、安全性を検討しました。43名の患者さんをランダム化し、1:1の割合でvenglustatを服用しプラセボの隔週静脈内投与を受ける群と、酵素補充療法を受けプラセボ錠を服用する群に割り付けました。酵素補充療法を3年以上受け、全身症状の治療目標を達成している患者が試験に参加しました。主要評価項目は、ベースラインから52週までのSARA修正総スコアの変化と、RBANS総スコアの変化で、venglustat群と酵素補充療法群とで比較評価しました。全身症状に関する主な副次評価項目は、脾容積の変化率、肝容積の変化率、血小板数の変化率、ヘモグロビン値の変化量です。バイオマーカーに関する主な副次評価項目は、GL1およびlyso-GL1の脳脊髄液濃度と血漿中濃度の変化率です。LEAP2MONO試験は現在も実施中で、非盲検期間の結果が得られ次第、結果を発表する予定です。

## PERIDOT 試験について

PERIDOT第III相試験は、二重盲検ランダム化プラセボ対照試験で、16歳以上のファブリー病患者を対象として神経因性疼痛および腹痛に対するvenglustatの有効性を評価し、安全性を検討しました。122名の患者さんをランダム化し1:1の割合でvenglustat群とプラセボ群に割り付けました。試験には、未治療または6カ月以上治療を受けていないファブリー病の患者さんが参加しました。主要評価項目は、ファブリー病患者報告アウトカム（FD-PRO）の3項目（上肢の神経因性疼痛、下肢の神経因性疼痛または腹痛）のうち、患者が最も煩わしいとした症状の6か月および12か月時点におけるベースラインからの変化率とし、venglustat群とプラセボ群の比較で評価しました。副次評価項目は、グロボトリアオシルスフィンゴシン（lyso-GL-3）の血漿中濃度の変化、疼痛に対するレスキュー治療の頻度、下痢がみられた日の割合の変化、FD-PROの疲労感に関するスコアの変化、患者が最も煩わしいとした症状に関するレスポンスの割合などです。

---

## サノフィについて

サノフィは、研究開発型の AI を活用したバイオ医薬品企業であり、人々の暮らしをより良くし、力強い成長をもたらすことに尽力しています。免疫科学領域の深い知見を活かし、世界中の何百万人もの人々の治療と予防を行う医薬品やワクチンを提供し、さらなる貢献のために革新的なパイプラインの構築にも注力しています。「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」という使命のもと、医療・環境・社会が抱える課題に真摯に向き合い、社員と国や地域社会にとって前向きな変化を生み出すことを目指しています。

サノフィは、ユーロネクスト（EURONEXT: SAN）とナスダック（NASDAQ: SNY）に上場しています。

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

## サノフィ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革法（改正を含む）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

減インシアチブとその後の変更の影響、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があり、またそのようなリスクと不確実性には、サノフィの 2025 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。

本プレスリリースで言及した商標は、いずれもサノフィグループの商標です。