

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2026年3月18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、3月31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3月31日

サノフィの venglustat、ゴーシェ病 3 型の治療薬として 米国でブレイクスルーセラピー指定を取得

パリ、2026年3月18日 – 米国食品医薬品局(FDA)は、サノフィが開発中の新規の経口グルコシルセラミド合成酵素阻害剤 venglustat を、まれなライソゾーム病の一種であるゴーシェ病 3 型の神経症状に対する治療薬としてブレイクスルーセラピーに指定しました。

この指定は、LEAP2MONO第III相試験(試験ID:[NCT05222906](#))に基づいています。同試験で本剤の投与を受けた患者は、イミグルセラゼを用いた酵素補充療法(ERT)を受けた患者に比べ、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)スコアからなる神経症状を評価する包括検定において統計学的に**有意な改善を示しました**($p=0.007$)。同試験におけるvenglustatの忍容性はおおむね良好で、過去の試験から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。試験中に高頻度で報告された有害事象の発現率(venglustat群21例 vs. 酵素補充療法群22例)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。

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、骨髄や肺にスフィンゴ糖脂質(GSL)と呼ばれる糖と脂質が結合した分子が蓄積する疾患です。ゴーシェ病は、神経症状を伴わない1型、神経機能が急速に低下し重度の神経認知症状が現れる2型と、症状が徐々に悪化し症状の進行速度と重症度の個人差が大きい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神経症状が現れるほか、脾腫大や脾腫大、貧血、血小板減少症や骨障害などゴーシェ病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できますが、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。Venglustatは、スフィンゴ糖脂質の異常蓄積を抑制する薬剤です。本剤は、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ており、ゴーシェ病3型の神経症状を引き起こす病変を標的とします。

サノフィの希少疾患領域グローバル開発ヘッドの**カレン・ノーブ**(Karin Knobe)は、次のように述べています。「今回の薬事マイルストーンの達成は、とりわけ進行性の神経症状を抱えるゴーシェ病3型の患者さんに依然として大きなアンメットメディカルニーズが存在することを改めて示すものです。LEAP2MONO 試験で肯定的な結果が得られたことにより、研究開発はさらに一歩前進しました。私たちは今後も FDA と連携し、新たな治療選択肢としてお届けできるような活動を続けてまいります」

Venglustatは、ゴーシェ病3型の治療薬として、米国においてファストトラック指定を取得したほか、米国、欧州と日本において希少疾病用医薬品の指定を取得しています。サノフィは、2026年中に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。

FDAのブレイクスルーセラピー指定は、重篤または生命が脅かされる疾患を対象とした開発中の新薬について、開発と審査を円滑かつ迅速に進めるための制度です。この指定を受けるためには、臨床上意義のある評価項目において、既存の治療薬を大きく上回る改善効果が見込まれることを示す予備的な臨床エビデンスが得られている必要があります。

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の脳脊髄液中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。

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抑制してゴーシェ病3型の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。

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革法(改正を含む)およびその他の適用される証券法でいう「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、将来の出来事および実績に関する記述が含まれます。期待する、「予想する」、「信じる」、「意図する」、「推定する」、「計画する」、「可能である」、「検討する」、「できるかもしれない」、「〜と設計されている」、「ことがある」、「かもしれない」、「可能性がある」、「目的」、「試みる」、「目標とする」、「企画する」、「戦略」、「努力する」、「望む」、「予測する」、「見通し」、「目標」、「指針」、「追求する」、「すべきである」、「するだろう」や「ゴール」などの言葉またはこれらの否定形や類似表現は、今後の見通しに関する記述を特定する目的で用いられています。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米国食品医薬品局(FDA)や欧州医薬品庁(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; 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; 製品候補の承認の可否や時期に関する当局の決定; メディケイドプログラムに「最恵国待遇薬価」で製品を提供するよう求めるなどの米国政府による圧力; 代替治療薬の将来的な承認および商業的成功; サノフィが外部の成長機会を活用し、関連する取引を完了および/または規制当局の承認を取得する能力(当該製品の市販後調査を含む)将来の臨床データおよび現在ある臨床データの解析、安全性、品質または製造に関する予測されない問題、競合全般を含む); 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 2025 年 12 月 31 日終了事業年度フォーム 20-F 年次報告書またはフォーム 6-K による定期報告書の「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 およびフランス金融市場庁(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。これらのリスク、不確実性および前提条件を踏まえ、本資料に示す将来に関する記述に過度に依拠すべきではありません。

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。