

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6月26日

ベングルスタット、ゴーシェ病の治療薬として 日本で製造販売承認申請

現時点で有効な治療薬がないゴーシェ病の神経症状を改善する新たな治療選択肢になる可能性

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:岩屋孝彦、以下「サノフィ」)は、新規の経口グルコシルセラミド合成酵素阻害剤であるベングルスタットリンゴ酸塩(一般名、以下「ベングルスタット」)について、本日、厚生労働省にゴーシェ病の適応で製造販売承認を申請しました。

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。疫学的には、日本の人口当たりのゴーシェ病患者数は海外と比較して少ない一方で、2型および3型の占める割合が高いことが確認されています*。

*「ライソゾーム病(ファブリー病を含む)に関する調査研究班」報告書(主任研究者 衛藤義勝) 井田博幸, 他: 小児科診療 76: 1325-1334, 2013

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、肝腫大や脾腫大、貧血、血小板減少症や骨症状などゴーシェ病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。ベングルスタットは、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、ゴーシェ病の神経症状を引き起こす病変を標的とします。

本申請は、酵素補充療法によって全身症状が安定している、神経症状を伴うゴーシェ病3型の成人および小児患者において、ベングルスタットの有効性および安全性を評価したLEAP2MONO第III相試験(試験ID: [NCT05222906](#))の結果に基づいています。同試験で、ベングルスタットは、2つの主要評価項目と、4つの主な副次評価項目のうち3つを達成しました。主要評価項目は、ベースラインから52週までのSARA(Scale for Assessment and Rating of Ataxia: 運動失調評価法)修正総スコアの変化と、RBANS(Repeatable Battery for the Assessment of Neuropsychological Status: アーバンス神経心理テスト)総スコアの変化で、ベングルスタット群と酵素補充療法群とで比較評価しました。同試験におけるベングルスタット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(ベングルスタット群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。

ベングルスタットは、ゴーシェ病の治療薬として、日本、米国と欧州において希少疾病用医薬品の指定を取得したほか、米国においてゴーシェ病3型の適応症でファストトラック指定を取得しています。2026年5月、米国食品医薬品局(FDA)はゴーシェ病3型に関する新薬承認申請(NDA)に対して優先審査を指定しました。米国および欧州において承認申請の審査が進められています。

サノフィは、希少疾患領域において、引き続き日本の患者さんに希望をお届けできるよう鋭意努力し、患者さんとそのご家族や医療関係者へ更なる貢献をしております。

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ベングルスタットの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の割合でベングルスタット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、ベングルスタット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。

ベングルスタットについて

ベングルスタットは、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特定の疾患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患の進行が生じる希少疾患が複数存在します。ベングルスタットは、ゴーシェ病およびライソゾーム病の一種であるファブリー病の適応症について、日本、米国と欧州において希少疾病用医薬品の指定を取得したほか、米国において、ゴーシェ病3型およびファブリー病の適応症でファストトラック指定を取得しています。

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。