

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2026年6月30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、7月15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7月15日

サノフィのネクスピアザイム®、乳児型ポンペ病患者を対象とした 第III相試験で全ての主要および副次評価項目を達成

- ・ ネクスピアザイム®は、未治療の0~6カ月齢の乳児型ポンペ病患者を対象としたBaby-COMET第III相試験において、主要評価項目(生存かつ侵襲的換気が不要な患児の割合)を達成しました。
- ・ サノフィは今回の試験データを米国の規制当局に提出し、乳児型ポンペ病の治療薬としての適応追加申請を行う予定です。

パリ、2026年6月30日 – 生後0~6カ月齢で未治療のポンペ病患者を対象にネクスピアザイム®(アバルグルコシダーゼ アルファ)を評価した第III相単群非盲検試験であるBaby-COMET試験(試験ID:[NCT04910776](#))で肯定的な結果が得られ、主要評価項目である52週時点で生存かつ侵襲的換気が不要な患児の割合を達成しました。また、試験は全ての副次評価項目を達成し、12および18カ月齢時に生存し侵襲的換気が不要な患児の割合や、投与52週時の病勢進行指標の改善などが認められました。

試験結果は、イタリア・フィレンツェで開催される第19回国際神経・筋学会(ICNMD 2026)において2026年7月8日に発表される予定です。また、本試験で得られたデータは、米国において2026年後半に予定している乳児型ポンペ病に対する適応症追加申請の根拠となる予定です。

ポンペ病は、酸性α-グルコシダーゼ(GAA)と呼ばれる酵素が欠乏し、全身の筋肉の機能が低下するまれな先天性/遺伝性の進行性神経筋疾患です。乳児型ポンペ病は、ポンペ病のなかでも最も重症の病型で、発症と症状の急速な進行が生後数ヶ月以内に現れます。乳児型ポンペ病は、未治療のまま経過すると、心機能、呼吸機能や運動機能に重症で死に至るおそれがある合併症が現れます。

ネクスピアザイム®は、人体にとって不可欠な酵素であるGAAの細胞内への取り込みが向上するよう設計された医薬品です。。本剤は、筋細胞内に蓄積され、骨格筋や心筋の損傷を招く過剰なグリコーゲンを取り除く作用を発揮すると考えられています。

Baby-COMET試験におけるネクスピアザイム®の忍容性は良好で、安全性はこれまで確立されたものと同様でした。治療に関連する重篤な有害事象や死亡、治療中止はみられず、患児の29.4%に輸注関連反応が発現しました。

米国ノースカロライナ州デューク大学医学センター小児科教授、YT and Alice Chen 小児遺伝学・ゲノム医学センターメディカルディレクター兼臨床遺伝学部門長の **Priya S. Kishnani** 医師は次のように述べています。「乳児型ポンペ病は、生後数日または数週間以内に発症し、急速に進行する深刻な疾患です。生後1年を超えて生存し、侵襲的換気を必要としない生活を送るには、早期介入が極めて重要です。Baby-COMET試験は、アバルグルコシダーゼ アルファに

より、患児が人工換気を必要とせず生存できる可能性が示されました。また、心機能や運動機能の転帰についても有望な結果が得られ、乳児型ポンペ病の治療の発展につながる可能性のある重要な知見と考えています」

サノフィのグローバル開発ヘッドである **Christopher Corsico** は次のように述べています。「今回得られた肯定的な結果は、生後数カ月間の治療選択肢が限られているお子さんやそのご家族に対し、ネクスピアザイム®による治療機会の拡大につながる可能性を示すものです。Baby-COMET の結果は、これまで臨床試験で得られた知見と同様であり、私たちがポンペ病のコミュニティにおける臨床面での進歩を目指し、長年にわたり積み重ねてきた科学研究の成果を反映しています」

ネクスピアザイム®は、ポンペ病の患者さんに対する治療薬として多数の国々で承認を得ており、適応症は国によって異なります。米国では、ネクスピアザイム®は、遅発型ポンペ病の患者に対する治療薬として2021年に承認されました。欧州では、Nexviadymeの商標で販売されており、2022年にポンペ病（乳児型ポンペ病と遅発型ポンペ病）に対する長期酵素補充療法を適応として承認されました。日本では、2021年にポンペ病の効能又は効果で承認を取得しています。

米国では乳児型ポンペ病に対するネクスピアザイム®は現在臨床開発中で、本適応症における安全性と有効性についてFDAの評価は完了していません。

ポンペ病について

ポンペ病の患者では、酸性α-グルコシダーゼ（GAA）と呼ばれる酵素の活性低下または欠損により全身の筋細胞でグリコーゲンが蓄積し、骨格筋や心筋に不可逆的な損傷が生じるおそれがあります。ポンペ病は、乳児期に症状が発現し急速に進行する最も重症度の高い乳児型ポンペ病と、乳児期以降に発症し、徐々に筋障害が進行する遅発型ポンペ病があります。無治療のまま経過すると、乳児型ポンペ病は生後1年以内に心不全が現れ死に至る可能性があり、遅発型ポンペ病では病状が進行し、人工呼吸器や車椅子が必要となることがあります。

ネクスピアザイム®について

ネクスピアザイム®（アバルグルコシダーゼ アルファ）は、酵素補充療法剤の取り込みと輸送の主たる経路であるマンノース6リン酸（M6P）受容体に対して高い結合親和力を示すよう設計された酵素療法剤です。ネクスピアザイム® は、標的組織における取り組み作用を向上させ、グリコーゲン除去作用を高めることを目標とする薬剤で、マイオザイム/Lumizyme（アルグルコシダーゼ アルファ）に比べ、M6P基を約15倍増加させた分子です。

Baby-COMET 試験について

Baby-COMET 第III相試験は、単群非盲検国際多施設共同試験で、12カ月齢未満で未治療の乳児型ポンペ病の患児を対象にネクスピアザイム®の評価を行いました。17名の患児がネクスピアザイム® 40 mg/kgの隔週投与を受けました。4週間のスクリーニング期間の終了後、参加者らは52週間の投与を受け、続いて52週間の継続投与を受け、さらに最長で104週間にわたる投与を受けたのち、4週間追跡調査されました。主要評価項目は、投与開始52週後に生存し侵襲的換気が不要の患児の割合でした。主な副次評価項目として、12および18カ月齢時に生存し侵襲的換気が不要な患児の割合、左室心筋重量Zスコア、Alberta Infant Motor Scale（AIMS：アルバータ乳児運動スケール）、および尿中グルコールテトラサッカライド濃度のベースラインから第52週までの変化などを検討しました。

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。

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、コスト削減イニシアチブとその後の変更の影響、世界的な危機が当社、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