

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2020年6月19日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約し、6月30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。

2020年6月30日

サノフィ、インヒビターの有無を問わない血友病AおよびBの患者を対象としたfitusiranの第II相オープン延長試験の中間解析で、良好な長期有効性・安全性データを発表

- fitusiran は、インヒビターの有無を問わない血友病 A および B の患者に月 1 回皮下投与する現在開発中の新規 RNAi 治療薬で、血友病治療に変革をもたらす可能性があります。
- 今回の探索的データから、fitusiran による予防的な治療により、インヒビターの有無を問わず中等症から重症の血友病 A および血友病 B の患者で低い年間出血率が長期にわたり維持されることが示されました。

パリ – 2020年6月19日 - インヒビターの有無を問わない血友病 A および B の患者に対して月 1 回皮下投与して用いる RNAi (RNA interference, RNA 干渉) 治療薬として開発中の fitusiran の有効性と安全性に関する新たなデータが本日、世界血友病連盟 (World Federation of Hemophilia) のバーチャルサミットにおいて、レイト・ブレイキングとして発表されました。

第 II 相オープン延長試験で得られた長期中間結果は、fitusiran が止血系のバランスを回復し、年間出血率 (ABRs) の低下を最長で 57 カ月間にわたり維持する可能性があることを裏づける内容でした。

サノフィのグローバルディベロップメントヘッドのディートマー・バーガー (Dietmar Berger) は、次のように述べています。「今回新たに得られた中間データは、fitusiran が血友病治療に変革をもたらすようなインパクトをもつ可能性を裏づける内容です。本剤は、月 1 回皮下注射するだけで持続的な出血予防効果を得ることを目的とする薬剤です。私たちは今後も、ファクター製剤とノンファクター製剤のポートフォリオを充実させ、血友病の患者さんに個々のニーズを満たせる治療選択肢を幅広くお届けしてまいります。私たちは、第 III 相 ATLAS プログラムにおいて fitusiran の臨床プロファイルの評価を続けており、結果は 2021 年上半期に得られる見込みです。世界中の患者さんにこの新薬をお届けできる日を楽しみにしています」

第 II 相オープン延長試験

第 II 相オープン延長試験は、fitusiran の臨床試験に参加した経験のある中等症または重症の血友病 A および B の患者 (インヒビターの有無を問わない) を対象に、本剤の長期的な有効性と安全性を評価する試験です。試験に参加し、fitusiran を 1 カ月に 1 回、50mg または 80mg の固定用量での投与を最長で 4.7 年間、中央値で 2.6 年間受けた試験参加者 34 名のデータを評価しました。データカットオフ時点 (2020 年 3 月 10 日) で得られた中間結果は、次の通りです。

サノフィ株式会社

〒163-1488 東京都新宿区西新宿 3-20-2 東京オペラシティタワー
www.sanofi.co.jp



- 血友病 A および B の患者（インヒビターの有無を問わない）に対し fitusiran の皮下注射を月 1 回行ったところ、アンチトロンビン値が持続的に低下し（ベースラインから約 75% 低下）、トロンビンピーク値の中央値は健康被験者でみられる範囲の下限に相当する値となりました。
- 年間出血率の中央値は、0.84 でした。年間出血率の中央値は、インヒビター非保有患者サブグループでは 1.01 でした。試験開始前の年間出血率の中央値は、定期補充療法を受けていた患者では 2.0、オンデマンド療法を受けていた患者では 12.0 でした。インヒビター保有患者のサブグループにおける年間出血率の中央値は 0.44、試験開始前は 42.0 でした。
- 年間自然出血率は、低値でした（被験者全体における中央値：0.38）。サブグループ別の年間出血率の中央値は、インヒビター非保有患者では 0.33、インヒビター保有患者では 0.39 でした。
- 抗薬物抗体の産生は認められませんでした。

2020年3月10日のデータカットオフ時点では、fitusiranの忍容性はおおむね良好でした。fitusiranの投与に伴う重篤な有害事象として、心房血栓症が1例、肝臓トランスアミナーゼ上昇が1例で報告されました。試験中の2017年に1名の患者が死亡しました。死因は脳静脈洞血栓症で、当初はくも膜下出血と診断されました。その後、2017年12月に止血管理ガイドラインが改訂されています。報告数が多かった（5例以上）有害事象は、アラニンアミノトランスフェラーゼ増加（29%）、頭痛（27%）、注射部位紅斑（21%）、鼻咽頭炎（21%）、上気道感染（18%）、下痢（18%）、関節痛（18%）、背部痛（18%）、トランスアミナーゼ増加（15%）でした。

この血友病 A および B の治療に対する新規アプローチは、それぞれ第 VIII 因子および第 IX 因子の欠乏によりトロンビン産生が低下することで止血バランスに障害をきたしている状態に着目しています。血友病の治療は全て、止血バランスを回復させ、トロンビン産生を改善することを目的としています。

fitusiran は、インヒビターの有無を問わない血友病 A および B の患者に月 1 回皮下投与する治療薬として現在開発中の新規 RNAi 治療薬です。本剤は、アンチトロンビンと呼ばれる血液凝固を阻害するタンパク質を標的とし、十分量のトロンビン産生を促すことで、自然な形で止血系のバランスを調整し出血を予防する目的で設計されました。本剤は、Alynxam 社の ESC-GalNAc コンジュゲート技術を用いて、効力と持続性に優れた皮下投与製剤として開発されました。fitusiran は現在開発中の治療薬であり、世界の規制当局による評価はまだ完了していません。

サノフィについて

サノフィは、健康上の課題に立ち向かう人々を支えます。私たちは、人々の健康にフォーカスしたグローバルなバイオ医薬品企業として、ワクチンで人々を守り、革新的な医薬品で痛みや苦しみを和らげます。希少疾患をもつ少数の人々から、慢性疾患をもつ何百万もの人々まで、寄り添い支え続けます。

サノフィでは、100 カ国において 10 万人以上の社員が、革新的な医科学研究に基づいたヘルスケア・ソリューションの創出に、世界中で取り組んでいます。

サノフィは、「Empowering Life」のスローガンの下、ヘルスジャーニー・パートナーとして人々を支えます。

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、本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、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）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、これらのいずれかに COVID-19 が影響を及ぼした場合には、当社にも悪影響が生じる可能性があります。状況は急速に変化しており、現時点では把握していない影響が生じるおそれや、既に確認されているリスクがさらに悪化するおそれがあります。またそのようなリスクと不確実性には、サノフィの 2019 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。