

2021年1月19日

## ポンペ病の酵素補充療法で 新たな標準治療となる可能性のあるavalglucosidase alfa 日本での承認申請のお知らせ

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、ポンペ病(酸性 $\alpha$ -グルコシダーゼ欠損症)に対する酵素補充療法製剤として開発を進めている **avalglucosidase alfa** (国際一般名)について、本日、日本で承認申請をいたしましたので、お知らせいたします。**avalglucosidase alfa** は承認が得られた場合、ポンペ病の新たな標準治療となる可能性があります。

ポンペ病は、まれな進行性の筋疾患で、運動機能や呼吸機能の低下をもたらします。世界では、ポンペ病の患者数は5万人と推定されています。乳児期から成人後期のいずれの時期においても発症する可能性があります。

今回の承認申請は、2件の臨床試験で得られた肯定的な結果に基づいています。

- ピポタル第III相二重盲検比較試験であるCOMET試験では、遅発型ポンペ病の患者を対象として **avalglucosidase alfa** の安全性と有効性をアルグルコシダーゼアルファ(標準治療薬)との比較で検討しました。2020年6月にサノフィがバーチャル学術セッションを開催し、試験結果を発表しました。2020年10月に世界筋学会議および米国神経筋電気診断学会でも試験結果が発表されました。
- 第II相 mini-COMET試験では、アルグルコシダーゼアルファの投与経験のある乳児型ポンペ病患者を対象に **avalglucosidase alfa** の安全性を評価し、有効性の探索的評価を行いました。試験結果は、2020年2月にWORLDSymposiumで発表しました。

ポンペ病は、ライソゾーム酵素のひとつである酸性 $\alpha$ -グルコシダーゼ(GAA)の遺伝子の欠損または活性低下が原因で生じる疾患で、複合多糖(グリコーゲン)が全身の筋肉内に蓄積します。グリコーゲンの蓄積は、不可逆的な筋損傷を引き起こし、肺を支える横隔膜などの呼吸筋や、運動機能に必要な骨格筋に影響が及びます。**avalglucosidase alfa** は、筋細胞の中にあるライソゾームにGAA酵素を送り届けてグリコーゲンの分解を促すことで、ポンペ病がもたらす重大な症状である呼吸機能、筋力・身体機能(運動能力など)の低下を阻止する目的で開発された治療薬候補です。

**avalglucosidase alfa** は、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。また、米国食品医薬品局は、**avalglucosidase alfa** をブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)に指定し、ファストトラック審査の対象に指定しています。英国の医薬品・医療製品規制庁は、**avalglucosidase alfa** を有望な革新的医薬品(Promising Innovative Medicine: PIM)に指定しています。

ポンペ病で生じるグリコーゲン蓄積を低下させるには、筋細胞の中にあるライソゾームにGAA酵素を送り届ける必要があります。サノフィは、筋細胞内のライソゾームにGAAを送り届ける効率を高めるため手段として、GAAの輸送に大きな役割を果たすマンノース6リン酸(M6P)受容体を標的とする研究を行ってきました。



avalglucosidase alfa は、アルグルコシダーゼ アルファと比較して M6P レベルを約 15 倍増加させた分子として設計し、細胞内への酵素の取り込みを向上させ、標的組織において高いグリコーゲン除去効果を得る目的で開発されました<sup>i</sup>。

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。

---

<sup>i</sup> Zhou Q. Bioconjug Chem. 2011 Apr 20;22(4):741-51

#### 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。