

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2022年6月1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22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。

2022年6月22日

## 米国食品医薬品局(FDA) efanesoctocog alfa を 血友病 A 治療薬としてブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)に指定

- efanesoctocog alfaは、米国食品医薬品局(FDA)よりブレイクスルーセラピーの指定を受けた初の第VIII因子製剤です。
- 今回のブレイクスルーセラピー指定は、本剤の臨床的に意義のある出血の予防と、前治療の既存製剤による定期補充療法と比べて、出血エピソードの予防における優越性が示された、ピボタル第III相XTEND-1試験のデータに基づくものです。
- 開発中の新規第VIII因子製剤であるefanesoctocog alfaは、週1回の定期補充療法で正常値に近い第VIII因子活性レベルを1週間の大半にわたり維持できるよう設計された製剤です。

**パリおよびストックホルム – 2022年6月1日** – 米国食品医薬品局(FDA)は、ピボタル第III相XTEND-1試験のデータに基づき、efanesoctocog alfa(BIVV001)を生命が脅かされることもある希少な出血性疾患である血友病Aの治療薬としてブレイクスルーセラピーに指定しました。サノフィとSobi®は、efanesoctocog alfaの開発と事業化を連携して進めています。

FDAのブレイクスルーセラピー指定は、米国において重篤または生命が脅かされる疾患を対象に、医薬品の開発と審査を促進させる目的で行われます。ブレイクスルーセラピー指定にあたっては、臨床的意義のある評価項目において、既存薬と比べて大きな改善をもたらす可能性を示す臨床エビデンスが必要となります。

### ジョン・リード (John Reed, MD, PhD)

サノフィ グローバル研究開発ヘッド

「今回のブレイクスルーセラピー指定は、efanesoctocog alfaが血友病Aの治療において、より高い出血予防効果をより長期間持続させることにより、治療を大きく変える画期的な治療薬となりうる可能性を持つことを改めて示すものです。この新しいクラスの第VIII因子補充療法となる本剤の可能性は、血友病コミュニティのアンメットニーズに取り組むため、私たちが進めてきた研究の道のりを示すものでもあります。私たちは今後、各規制当局と連携してこの革新的な治療薬の承認申請を行い、審査を受けたいと考えております」

### アンデシュ・ウルマン (Anders Ullman, MD, PhD)

Sobi 研究開発ヘッドおよび最高医学責任者

「今回の指定は、efanesoctocog alfaの革新性を裏づけるもので、血友病Aの患者さんのアンメットメディカルニーズを本剤が満たす可能性が評価されたことを示しています。私たちは、希少疾患と共に生きる人々の生活に変革をもたらすことを目標に活動しており、今回の指定は科学が果たしうる医学の革新の証といえます」

ピボタル第III相XTEND-1試験の速報データより、efanesoctocog alfaは主要評価項目を達成し、重症血友病A患者において52週間にわたり臨床的に意義ある出血抑制効果が得られることが明らかにされています。また、重要な副次評価項目も達成し、efanesoctocog alfaは前治療の既存の第VIII因子製剤による定期補充療法との患者内比較で出血抑制効果において優越性を示しました。efanesoctocog alfaの忍容性は良好で、第VIII因子に対するインヒビターの発現は認められませんでした。試験治療下で発現した有害事象のうち、比較的高頻度(被験者全体の5%超)で発現した有害事象は、頭痛、関節痛、転倒及び腰痛でした。

ピボタル第III相XTEND-1試験のデータは、今後学会で発表し、2022年半ばに予定されている承認申請の根拠としてFDAに提出される予定です。efanesoctocog alfaは、米国FDAより2017年8月にオーファンドラッグ指定を受け、2021年2月にはファストトラック審査の対象に指定されました。また本剤は、2019年6月に欧州委員会(EC)よりオーファンドラッグ指定を受けました。EUにおける承認申請は、現在実施中の小児を対象とするXTEND-Kids試験のデータが得られた後に行う予定で、承認申請は2023年の見込みです。

血友病Aの発生頻度は、男子出生5,000人に約1人で、女子での発生頻度は男子より低率で非常にまれです。患者さんは血液凝固因子が欠乏しているため、血液が凝固する機能が損なわれており、この状態は生涯続きます。血友病の患者さんに出血エピソードが発生すると、痛み、不可逆的な関節損傷、生命が脅かされるような出血に至るおそれがあります。アンメットメディカルニーズは未だ存在し、血友病の患者さんは、より強力な予防効果が得られ、治療の負担を軽減し、生活の質(QOL)を上げられる治療法を必要としています。

### efanesoctocog alfa(BIVV001)について

efanesoctocog alfaは、血友病A患者に対して週1回の定期補充療法により、従来より長期間持続する出血抑制効果を得ることを目的として現在開発を進めている、新たな遺伝子組換え型第VIII因子製剤です。本剤は、革新的なFc融合技術に加えてフォン・ウィレブランド因子(VWF)の一部とXTEN®ポリペプチドを組み込むことで、より長時間にわたり循環血中に存在できるよう設計されています。現行の第VIII因子製剤の半減期は、VWFの半減期に依存しますが、本剤はこの制限を受けないことを明らかにした初の第VIII因子製剤です。efanesoctocog alfaは現在、臨床試験の段階にあり、その安全性と有効性は、いかなる規制当局の十分な評価を受けてはいません。

### サノフィとSobiの提携について

Sobiとサノフィは、オルプロリクス®およびイロクテイト®の開発と事業化を連携して進めています。両社は、血友病Aの患者さんに週1回投与することで凝固因子の活性レベルを高く維持する作用をもつ現在開発中の第VIII因子療法製剤であるefanesoctocog alfaの開発と事業化においても連携しています。Sobiは、同社の担当地域(基本的には欧州、北アフリカ、ロシア、中東市場の大部分)における開発と事業化に関する最終的な権利を有します。サノフィは、北米と、Sobiの担当地域以外の全世界において開発と事業化に関する最終的な権利を有します。

### Sobi®について

Sobiは、希少疾患の人々の生活を変えることを目的とする国際的バイオ医薬品企業です。Sobiは、血液疾患、免疫疾患およびスペシャリティ領域における革新的治療について、持続的なアクセスを提供しています。現在、Sobiは欧州、北米、中東とアジアで約1,600名の従業員が活動しています。2021年のSobiの収益は、155億スウェーデンクローナでした。Sobiは、ナスダックストックホルムに上場しています(STO:SOBI)。Sobiに関する詳細は、sobi.com、LinkedInおよびYouTubeをご覧ください。

---

### サノフィについて

サノフィは、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、というゆるぎない使命を原動力に進み続ける革新的でグローバルなヘルスケア企業です。約100カ国の社員は、医療を変革し、不可能を可能に変えるため、日々研鑽に努めています。私たちは、社会的責任と持続可能性を企業の本質とし、画期的な医薬品や生命を守るワクチンを開発し、世界何百万もの人々に届けていきます。

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、将来の実績に関する記述が含まれます。一般的に、今後の見通しに関する記述は、「予想」、「期待」、「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依るFDAや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依る不確実性、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、代替治療薬の将来的な承認および商業的成功、サノフィが外部成長の機会から利益を可能性およびまたは規制当局の承認を得る能力、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

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、COVID-19 が当社、顧客、サプライヤー、  
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、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、既に確認し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 2021 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」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。