



2018年4月13日

## サノフィジェンザイム、 希少疾患「ポンペ病」の認知向上キャンペーンを展開

～ 4月15日は「国際ポンペ病の日」～

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:ジャック・ナトン、以下「サノフィ」)は、4月15日の「国際ポンペ病の日」に合わせ、サノフィのスペシャルティケアビジネスユニットのサノフィジェンザイムによる希少疾患「ポンペ病」の認知向上キャンペーンを展開することをお知らせします。

ポンペ病は、体内の細胞で不要になった物質の分解がうまく行かない「先天代謝異常症」の1つです。ポンペ病はグリコーゲンを分解する酵素が生まれつき全くないか少ないことが原因で、筋肉にグリコーゲンが蓄積し、筋力の低下をはじめとする、さまざまな症状があらわれます。ポンペ病には、生後数カ月以内に発症する「乳児型」と、それ以降に発症する「遅発型(小児型・成人型)」があり、「乳児型」では心臓の肥大や、全身がぐったりしているなどの症状があらわれ、生後数カ月から数年で死に至る場合があります。「遅発型」は、筋力低下が主な症状で、子どもから高齢者まで、あらゆる年代で発症し、さまざまな合併症を引き起こします。

ポンペ病は、国から難病に指定されている疾患の1つですが、現在は治療法が確立しており、疾患の進行を抑え、合併症を少なくするために早期の発見と治療の開始が重要です。ポンペ病の症状の程度には個人差があり、特に「遅発型」では全ての症状が顕著にみられるわけではないことから、医師にとっても診断が難しく、診断を受けられず、適切な治療を受けていない患者さんが日本にも多数いると推定されています。

サノフィジェンザイムでは、ポンペ病の治療薬である「マイオザイム<sup>®</sup>(一般名:アルグルコシダーゼ アルファ〔遺伝子組換え〕)」の発売10周年を迎え、神経遺伝性疾患の専門チームを立ち上げ、医療従事者を中心に、ポンペ病に関する情報提供に積極的に取り組んでいます。

今回、「国際ポンペ病の日」に合わせ、同疾患の認知向上キャンペーンを実施します。広く一般の方々にもポンペ病を知っていただくための取り組みとして、情報誌「FACE(フェイス)」を創刊し、ポンペ病に関わる医師、患者さんご本人および家族などさまざまな視点から、ポンペ病の診断や治療、生活についてご紹介していきます。

また、医療従事者向けには Website「ポンペ病ナビ」(<http://pompe-navi.jp/>)を新たに開設し、ポンペ病の認知向上、早期診断・治療の実現に貢献してまいります。



**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](http://www.sanofi.co.jp)



サノフィジェンザイム ジェネラルマネジャーのパスカル・リゴディは、「希少疾患領域における私たちの第一のミッションは、患者さんが早期診断にアクセスできるようにすることです。国際ポンペ病の日を機に、医療従事者をはじめ、広く一般の方々にもポンペ病について情報発信することを通し、この消耗性疾患の早期診断と治療開始により一層貢献していきたいと考えています。サノフィジェンザイムはサイエンスと患者さんへのフォーカスにより、今後もポンペ病の治療領域の発展に努力してまいります」と述べています。

サノフィジェンザイムでは、ポンペ病を含め、ゴーシェ病、ムコ多糖症(MPS)、ファブリー病などの「ライソゾーム病」の患者さんやご家族に向け、症状の解説や診療が可能な医療機関といった情報を提供するウェブサイト「ライソライフ」(<http://www.lysolife.jp/>)での情報発信なども通じて、希少疾患患者さんの早期診断・治療とQOL向上に貢献してまいります。

以上

### ポンペ病情報誌「FACE(フェイス)」について

国際ポンペ病の日に合わせて、4月15日前後より順次、医療機関などに広く配布します。入手ご希望の方は、サノフィジェンザイム ポンペ病事務局(e-mail: [pompe.japan@sanofi.com](mailto:pompe.japan@sanofi.com))まで、「ポンペ病情報誌 FACE 希望」と記載の上、送付先をe-mailにてご連絡ください。

### 医療従事者向けWebsite「ポンペ病ナビ」について

<p>サイト名</p>	
<p>URL</p>	<p><a href="http://pompe-navi.jp/">http://pompe-navi.jp/</a></p>
<p>内容</p>	<p>ポンペ病の最新トピックスや診断・検査・治療に関する総合疾患サイトです。ポンペ病の検査に必要なセットもお申し込みいただけます。</p>
<p>対象者</p>	<p>医療従事者 患者さん・ご家族など一般の方はアクセスできません。</p>

### 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。