

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2021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4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。

2021年6月4日

サノフィ、venglustat の臨床プログラムの最新情報を発表

パリ – 2021年6月1日 – サノフィでは、常染色体優性多発性嚢胞腎(ADPKD)を対象にした venglustat のピボタル第 II/III 相試験(STAGED-PKD 試験)について、事前に計画された無益性解析の結果、サノフィは ADPKD における臨床プログラムを中止しました。venglustat の安全性プロファイルは、最長 4 年間にわたる全ての臨床プログラムで投与を受けてきた 500 名を越える患者で報告されてきた結果と一致していました。本試験で得られたバイオマーカーのデータより、一部の細胞に蓄積する脂質である GL-1 の減少が示されており、venglustat がスフィンゴ糖脂質(GSL)の合成経路を効果的に阻害することが改めて確認されました。

STAGED-PKD 試験は、総腎容積の年間変化率について venglustat 群とプラセボ群を比較した第三者による解析の結果、無益性が指摘されたため中止に至りました。この解析で認められた傾向より、venglustat は STAGED-PKD 試験のステージ 1 の主要評価項目である総腎容積の増加率に対して意義のある抑制をもたらさないことが示されました。今回の中間解析結果は、GSL の減少が腎嚢胞の進行抑制に対して重要な役割を持たない可能性を示唆するものであり、GSL の合成経路は ADPKD の進行に関わる主要な経路ではない可能性を示しています。ADPKD における venglustat の研究は、既にライソゾーム病において明らかにされている GSL の役割とは異なる、GSL の新しい生物学的役割を探索する目的で行われていました。

サノフィのグローバル研究開発担当ヘッドのジョン・リード(John Reed, M.D., Ph.D.)は、次のように述べています。「ライソゾーム病の患者さんのアンメットニーズを満たす革新的治療薬となる可能性を確信し、venglustat の開発プログラムは開始されました。これと並行して、腎移植の主な原因の 1 つである常染色体優性多発性嚢胞腎における venglustat の評価も進めました。今回の結果は私たち、特に患者さん達が望んだものとはなりません。しかしながら、私たちの研究は、この疾患をもつ成人患者さんにおいて、GSL 合成経路を調整するだけでは腎機能を回復させることが難しいことを示すものであり、これにより ADPKD の科学的な理解を深めることができました」

サノフィはゴーシェ病 III 型、ファブリー病と GM2 ガングリオシドーシスを対象とした venglustat の臨床試験を実施中で、一部の試験については完了しています。これらの疾患はいずれも、遺伝性の遺伝子異常に起因するライソゾーム病の一種です。一部のライソゾーム病では GSL の異常蓄積が主な原因であり、蓄積した GSL の除去を促す治療が適切であることは、ファブリー病やゴーシェ病を対象とした臨床研究で検証されています。

これらの研究では venglustat は基質合成抑制療法(Substrate Reduction Therapy, SRT)として作用しており、このことは一部のライソゾーム病で実証されています。

venglustat について

GSL は細胞を形成する成分の一種で、この成分の異常蓄積が原因で細胞機能の異常や疾患の進行が生じる希少疾患が複数存在します。venglustat は、GSL の異常蓄積を抑制することで疾患の進



行を遅らせる可能性のある薬剤として現在開発中の経口薬です。venglustatは現在、臨床開発段階にあり、その安全性と有効性に関する評価は、いずれの規制当局においても実施されていません。

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、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」、「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、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、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得る可能性および/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、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。