

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2020年6月8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15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15日

## サノフィ、遅発型ポンペ病における **avalglucosidase alfa** の 第III相試験の結果を発表

- 2020年6月16日午前8:00~9:00(東部標準時) / 午後2:00~3:00(中央ヨーロッパ標準時)のバーチャル学会で発表
- **avalglucosidase alfa** は米国食品医薬品局(FDA)より画期的新薬(Breakthrough Therapy)の指定をこのたび受けました。

**2020年6月8日、パリ** – サノフィは、バーチャル学会セッションを開催し、遅発型ポンペ病の治療薬として現在開発中の酵素補充療法剤である **avalglucosidase alfa** の第III相臨床試験(COMET試験)の結果を発表します。

同セッションは、医療従事者とメディア関係者を対象に開催し、英国ニューキャッスル大学 John Walton 筋ジストロフィー研究センターの神経筋障害・トランスレーショナル医学・遺伝学の教授(Professor of Neuromuscular Disorders, Translational Medicine and Genetics at the John Walton Muscular Dystrophy Research Center, Newcastle University, UK)でスペイン・バルセロナのサンタ・クレウ病院の神経筋疾患・トランスレーショナル医学・遺伝学の教授(Professor of Neuromuscular Diseases, Translational Medicine and Genetics in the Neuromuscular Diseases Unit, Neurology Department of Hospital de la Santa Creu, Barcelona, Spain)であるジョルディ・ディアスマネラ博士(Jordi Diaz-Manera, M.D., Ph.D.)がデータを発表します。

発表後、サノフィ希少疾患部門のメディカルアフェアーズ・グローバルヘッドのアラ・ハメッド(Alaa Hamed, M.D., MPH, MBA)の司会による質疑応答を行います。

本学会セッションは、COMET試験の著者グループによる承認を得たもので、2020年7月に予定されていた国際神経筋疾患学会(ICNMD)が新型コロナウイルスのパンデミックのため延期となったことを受けて開催することとなりました。第III相COMET試験のデータは、2020年7月のICNMDで発表予定であった内容です。

米国食品医薬品局(FDA)は、ポンペ病と確定診断された患者さんに対する治療薬候補として **avalglucosidase alfa** を画期的新薬に指定しました。画期的治療薬の指定は、重篤または生命を脅かす疾患を対象に開発中の新薬の開発と審査を促進する目的で行われます。画期的治療薬の指定の基準には、臨床的に重要な評価項目で既存薬もしくは既存薬がない場合はプラセボを大きく上回る改善を示す予備的な臨床エビデンスが得られていることなどの項目があります。

## ポンペ病について

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) の遺伝子欠損または活性低下が原因で生じる疾患で、グリコーゲンが近位筋肉や横隔膜をはじめとする筋肉内に蓄積し、進行性の不可逆的な筋疾患が生じます。ポンペ病は希少疾患の一種で、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も発症する可能性があります。

ポンペ病は主に、遅発型ポンペ病と乳児型ポンペ病に分類されます。遅発型ポンペ病は、1 歳以降から成人後期までのいずれかの時期に発症します。遅発型ポンペ病の特徴的な症状は、呼吸機能の低下と骨格筋の筋力低下で、多くの場合、運動機能の低下に至ります。患者さんは、歩行が困難となり車椅子での生活を余儀なくされることが多く、呼吸困難が現れ人工呼吸器が必要となることもあります<sup>i</sup>。ポンペ病患者さんの主な死因は呼吸不全です<sup>ii</sup>。生後 1 年以内に発症するポンペ病は、乳児型ポンペ病に分類されます。骨格筋の筋力低下に加え、心機能障害がみられます。

## Avalglucosidase alfa について

ポンペ病の酵素補充療法の目標は、筋細胞の中にあるライソゾームに酵素を送り届け、欠損しているか機能低下がみられる酸性  $\alpha$ -グルコシダーゼに代わって筋肉内のグリコーゲン蓄積を防ぐことにあります。avalglucosidase alfa は、ポンペ病の治療薬として現在開発中の酵素補充療法剤で、筋肉内、特に骨格筋の細胞に酵素を送り届ける機能を高めるよう設計されました。avalglucosidase alfa は、酸性  $\alpha$ -グルコシダーゼ 1 モルにつき約 15 モルのマンノース 6 リン酸を付加した物質で、酵素の細胞内へ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>iii</sup>。

FDA は、avalglucosidase alfa をポンペ病治療薬としてファストトラック審査の対象に指定していません。FDA をはじめとする各国の審査当局は、上記用途での本剤の使用を承認していません。

- 
- i. Hagemans ML, et al. Brain 2015;128:671-677.
  - ii. Winkel LP et al. J Neurol. 2005;252(8):875-84.
  - iii. Zhou Q. Bioconj 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。

#### 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と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、コスト削減イニシアチブとその後の変更の影響、期中平均発行済み株式数、ならびにサノフィの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。