

2022年6月3日

酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症 世界初・唯一の治療薬*1
「ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg」
日本で新発売

サノフィ初、先駆け審査指定制度による承認

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、ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg(一般名:オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)、以下「ゼンフォザイム®」)について本日発売しましたのでお知らせいたします。ゼンフォザイム®はサノフィ初の先駆け審査指定制度*2に基づき承認された薬剤で、酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症(ASMD)で唯一の治療薬となり、世界に先駆け日本において臨床での実用が可能になりました。



ASMD は、ライソゾームという細胞内器官でスフィンゴミエリンと呼ばれる脂質を分解する酵素である酸性スフィンゴミエリナーゼ(ASM)の欠損または活性の低下により現れる疾患で、スフィンゴミエリンが代謝されずに細胞内に蓄積することにより、やがて細胞は死滅し、内臓等の機能に異常が現れます。ライソゾーム酵素である ASM の活性の低下はスフィンゴミエリンホスホジエステラーゼ 1 の遺伝子(SMPD1)の変異により現れます。ASMD は、ニーマン・ピック病(NPD)A 型 と B 型と呼ばれることもあり、症状はライソゾーム病の 1 つであるゴーシェ病に近いと言われていています(ASMD の詳細については下段の解説もご参照ください)。

サノフィは、2 件の臨床試験で得られた肯定的な結果に基づき、日本で先駆け審査指定制度のもと承認申請を行い、2022 年 3 月に製造販売承認を取得しました。

- 第 II/III 相試験である ASCEND 試験では、ASMD の成人患者 36 名を対象に、52 週間にわたり、ゼンフォザイム®の肺機能、脾容積と肝容積等に対する有効性をプラセボとの比較で検討しました。
- 第 I/II 相非盲検単群試験である ASCEND-Peds 試験では、ASMD の小児患者(18 歳未満)20 名を対象とし、64 週間にわたりゼンフォザイム®の安全性と忍容性を評価しました。
- 両試験結果は、2020 年 10 月に開催された第 70 回米国人類遺伝学会(ASHG 2020)で発表されました。

サノフィは、1998年にゴーシェ病治療薬セラザイムの発売にはじまり、これまでに5疾患のライソゾーム病疾患治療薬を発売し、希少疾患の患者さんとそのご家族と30年以上共に歩んでまいりました。この度のゼンフォザイム発売により、ライソゾーム病6疾患を支援できる企業となります。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の皆さんへのさらなる貢献に専念してまいります。

*1 2022年3月時点 *2 現在の名称は「先駆的医薬品等指定制度」

【効能又は効果、用法及び用量について】

販売名	ゼンフォザイム®点滴静注用 20mg
一般名	オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)
効能又は効果	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症
用法及び用量(抜粋)	通常、オリプダーゼ アルファ(遺伝子組換え)として、用量漸増法に従い、本剤の開始用量及びその後の用量を隔週点滴静脈内投与する。維持用量は、通常、1回体重1kgあたり3mgとする。
国内製造販売承認取得日	2022年3月28日
薬価収載日	2022年5月25日
発売日	2022年6月3日

ASMD について

ASMD は、スフィンゴミエリンホスホジエステラーゼ 1 の遺伝子(SMPD1)の変異により生じる様々な疾患の総称で、そのスペクトラムの両端にある疾患は、かつてはニーマン・ピック病(NPD)A型とB型と呼ばれていたライソゾーム病の一種です。NPD C型と呼ばれる疾患もありますが、これは本剤の対象であるASMDとは全く異なる疾患です。ASMDは疾患の特性のみならず、歴史的背景からASMDがNPD A型、B型であることの認知・理解も重要です。

NPD A型は、神経症状が急速に進行し、中枢神経系の合併症により小児期の早い段階で死に至る疾患です。NPD B型は、軽症から重症まで重篤度は幅広く、主に肺、肝臓、脾臓と心臓に症状が現れます。NPD A/B型は、A型とB型の中間にある疾患で、神経症状は患者によって様々です。ASMDの症状はゴーシェ病と近似していることからゴーシェ病とASMDの検査は並行して行うことが望ましいとされています*3*4。

*3 McGovern MM, et al.: Orphanet J Rare Dis. 2017; 12(1):41. *4 McGovern MM, et al.: Genet Med. 2017; 19(9):967-974.

ゼンフォザイム® について

ゼンフォザイム® は、活性が低下しているASMを補充し、スフィンゴミエリンの分解を促す目的で用いる、酵素補充療法の製剤です。ゼンフォザイム® は、ASMDの非中枢神経系病変に対する治療薬として開発されました。NPD A型の患者を対象とした本剤の試験は行っていません。

日本では、ゼンフォザイム®は、先駆け審査指定制度*の対象品目として指定されています。先駆け審査指定制度は、対象疾患の重篤性などの指定基準を満たす画期的新薬の日本での研究開発を支援する制度です。

*現在の名称は「先駆的医薬品等指定制度」

米国食品医薬品局(FDA)は、本剤をBreakthrough Therapy(画期的治療薬)に指定しました。この指定は、重篤または生命が脅かされる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。指定の基準には、臨床上的意義のある評価項目の検討で、既存薬を大きく上回る改善をもたらす可能性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。

欧州医薬品庁(EMA)も、ゼンフォザイム®に対してPRIME(PRIority MEdicinesの略称)の対象に指定しています。PRIME指定は、既存の治療薬を超える治療上の利点があるか、治療選択肢のない患者に有用と考えられる新薬の開発と審査を促進する目的で行われます。

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。