

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2020年10月2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、10月12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10月12日

欧州医薬品庁(EMA)、ポンペ病の酵素補充療法で 新たな標準治療となる可能性のあるavalglucosidase alfa の医薬品販売承認申請を受理

- ポンペ病に対する酵素補充療法製剤として開発中の **avalglucosidase alfa** は、薬事承認関連で最初のマイルストーンを達成しました。
- 世界におけるポンペ病の患者数は5万人と推定されています。
- 申請は、乳児型ポンペ病と遅発型ポンペ病を対象とした2件の臨床試験で得られた肯定的なデータに基づきます。
- 欧州での承認は2021年下半期の見込みです。
- 今回のマイルストーン達成は、ポンペ病コミュニティへの20年以上にわたるコミットメントがもたらした成果です。
- **avalglucosidase alfa** は、米国でブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)の指定を受けており、英国でもこのほど有望な革新的医薬品(Promising Innovation Medicine: PIM)の指定を受けました。

パリ – 2020年10月2日 – 欧州医薬品庁(EMA)がポンペ病(酸性 α グルコシダーゼ欠損症)の患者に対する長期酵素補充療法製剤としての **avalglucosidase alfa** の医薬品販売承認申請(MAA)を受理しました。**avalglucosidase alfa** は現在開発中の酵素補充療法製剤で、承認が得られれば、ポンペ病の新たな標準治療となる可能性があります。

ポンペ病は、まれな進行性の筋疾患で、運動機能や呼吸機能の低下をもたらします。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おいても発症する可能性があります。

今回の欧州での承認申請は、2件の臨床試験で得られた肯定的な結果に基づいています。

- ピボタル第III相二重盲検比較試験であるCOMET試験では、遅発型ポンペ病の患者を対象として **avalglucosidase alfa** の安全性と有効性をアルグルコシダーゼ アルファ(標準治療薬)との比較で検討しました。2020年6月にサノフィがバーチャル学術セッションを開催し、試験結果を発表しました。

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



- 第 II 相 mini-COMET 試験では、アルグルコシダーゼ アルファの投与経験のある乳児型ポンペ病患者を対象に **avalglucosidase alfa** の安全性を評価し、有効性の探索的評価を行いました。試験結果は、2020 年 2 月に **WORLDSymposium** で発表しました。

ポンペ病は、ライソゾーム酵素のひとつである酸性 α -グルコシダーゼ (**GAA**) の遺伝子の欠損または活性低下が原因で生じる疾患で、複合多糖 (グリコーゲン) が全身の筋肉内に蓄積します。グリコーゲンの蓄積は、不可逆的な筋損傷を引き起こし、肺を支える横隔膜などの呼吸筋や、運動機能に必要な骨格筋に影響が及びます。**avalglucosidase alfa** は、筋細胞の中にあるライソゾームに **GAA** 酵素を送り届けてグリコーゲンの分解を促すことで、ポンペ病がもたらす重大な症状である呼吸機能、筋力・身体機能 (運動能力など) の低下を阻止する目的で開発された治療薬候補です。

英国の医薬品・医療製品規制庁は、**avalglucosidase alfa** を有望な革新的医薬品 (**Promising Innovation Medicine: PIM**) に指定しています。このことは、医薬品早期アクセス制度 (**Early Access to Medicines Scheme: EAMS**) の対象となる可能性が高いことを示していますⁱ。

米国食品医薬品局は、**avalglucosidase alfa** をブレイクスルーセラピー (画期的治療薬) に指定し、ファストトラック審査の対象に指定しています。

GAA を送り届けグリコーゲンを除去する

ポンペ病で生じるグリコーゲン蓄積を低下させるには、筋細胞の中にあるライソゾームに **GAA** 酵素を送り届ける必要があります。サノフィは、筋細胞内のライソゾームに **GAA** を送り届ける効率を高めるため手段として、**GAA** の輸送に大きな役割を果たすマンノース 6 リン酸 (**M6P**) 受容体を標的とする研究を行ってきました。

avalglucosidase alfa は、アルグルコシダーゼ アルファと比較して **M6P** レベルを約 15 倍増加させた分子として設計し、細胞内への酵素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ⁱⁱ。この **M6P** レベルの違いの臨床的な関連については、まだ確認されていません。

avalglucosidase alfa は現在、臨床試験の段階にあり、その安全性と有効性については、いかなる規制当局からも評価を受けてはいません。



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、歴史的な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などがあります。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。

ⁱ Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency. Promising Innovative Medicine (PIM) Designation - Step I of Early Access to Medicines Scheme (EAMS). Gov.UK. https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/375327/PIM_designation_guidance.pdf. Published April 2014. Accessed September 24, 2020.

ⁱⁱ Zhou Q. Bioconjug Chem. 2011 Apr 20;22(4):741-51