

2020年4月13日

抗補体(C1s)モノクローナル抗体製剤sutimlimab： 寒冷凝集素症治療薬として日本で承認申請

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、開発を進めている抗補体(C1s)モノクローナル抗体製剤 sutimlimab(一般名)について、寒冷凝集素症治療薬として日本で承認申請しましたので、お知らせします。

寒冷凝集素症(CAD)は、重篤な慢性希少血液疾患であり、補体経路とよばれる体の免疫系の一部が自己の正常な赤血球を誤って破壊する疾患です。CAD 患者さんには慢性的な貧血や消耗性疲労があり、溶血性発作や生活の質(QOL)の低下がみられます。レトロスペクティブな解析により、CAD 患者さんでは、血栓塞栓症や若年死のリスクが上昇することが明らかにされています。現在、CAD を適応症として承認されている医薬品はありません。

Sutimlimab は、CAD 患者さんで溶血機構が活性化される原因となる免疫系の一部である、補体の古典経路のC1sを選択的に抑制する新規の作用機序の薬剤です。現在、承認された治療薬のない自己免疫性溶血性貧血に対して、最初に承認を取得し、患者さんに提供することを目指しています。

この度の承認申請は、日本を含むグローバルで実施したピボタル第 III 相臨床試験である CARDINAL 試験の結果に基づいています。CARDINAL 試験において、主要評価項目と副次評価項目を達成し、速やかな溶血抑制と、治療開始後 1 週間以内に臨床的に意義のある貧血と疲労の改善がみられました。

Sutimlimab は、日本、米国、欧州にてオーファンドラッグの指定を受けている他、米国でブレイクスルーセラピー(画期的治療薬)の指定を受けています。

サノフィは、希少血液疾患領域において、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へ更なる貢献をしております。



寒冷凝集素症 (CAD) について

CAD は、重篤な慢性希少血液疾患であり、補体経路とよばれる体の免疫系の一部が自己の正常な赤血球を誤って破壊する疾患です。CAD 患者さんには慢性的な貧血や消耗性疲労があり、溶血性発作や生活の質 (QOL) の低下がみられます。レトロスペクティブな解析により、CAD 患者さんでは、血栓塞栓症や若年死のリスクが上昇することが明らかにされています。現在、CAD を適応症として承認されている医薬品はありません。

Sutimlimab について

Sutimlimab は、C1s (免疫系における補体の古典経路活性化の第 1 段階にある C1 複合体に含まれるセリンプロテアーゼ) を標的としたヒト化モノクローナル抗体です。補体の古典経路の活性化は、CAD における溶血の中核となる機構であり、これを阻害することで CAD の疾患プロセスを阻止できる可能性があります。独特の作用機序と高い標的特異性を持つ sutimlimab は、補体の古典経路の上流プロセスを選択的に阻害する一方で、補体の第二経路やレクチン経路の免疫監視機能は維持されます。

CARDINAL 試験について

CARDINAL 試験は、最近の輸血歴を有する特発性 CAD の成人患者を対象に sutimlimab の有効性と安全性を検討する目的で行われたピボタル第 III 相非盲検単群試験です。患者は、体重のカテゴリ別に設定した用量 (6.5g または 7.5g) の sutimlimab の投与を第 0 日、第 7 日に受け、その後は隔週投与を第 26 週まで継続しました。

有効性の主要評価項目はレスポンド率で、レスポンド率は第 26 週の評価時点のヘモグロビン濃度がベースラインから 2g/dL 以上増加もしくは 12g/dL 以上まで増加し、かつ第 5 週から第 26 週まで輸血が不要で、他の CAD 関連治療を受けない患者と定義しました。有効性の副次評価項目は、CAD の経過評価に用いられる主な指標とし、ヘモグロビン、総ビリルビン (CAD 患者の赤血球破壊の指標)、Functional Assessment of Chronic Illness Therapy (FACIT) 疲労スコア (貧血による疲労の影響を評価する指標)、乳酸脱水素酵素 (LDH)、および輸血の実施状況を検討しました。

試験の詳細については、www.clinicaltrials.gov でご覧ください。試験 ID は、NCT03347396 です。

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。