

ゾキンヴィの承認申請について

①

ゾキンヴィ(Zokinvy)は、米国Eiger BioPharmaceuticals Incが販売するHGPS及びPLの治療薬。
HGPS及びPLの治療薬として2020年11月に初めて米国FDAより承認され、その後欧州連合、英国でも承認。
2023年3月、厚生労働省により希少疾病医薬品(オーファン・ドラッグ)に指定される。

②

ゾキンヴィの対象疾患は、乳児早老症といわれる「ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(HGPS)」
と「プロセッシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー(PL)」
早老症の中でも特に症状が重い疾患で、現時点では確立した治療法は存在しない。
使用患者数は、数名程度から開始することになると予測。

③

今回のゾキンヴィの承認申請に伴う、**アンジェスの今後の展開**

希少疾患治療剤「ゾキンヴィ」について

米国のEiger BioPharmaceuticals Inc.が販売するHGPS及びプロセシング不全性PLの治療薬

HGPSの死亡リスク低減、プロセシング不全性PLの治療薬として2020年11月に初めて米国FDAより承認され、その後欧州連合、英国でも承認される。

アンジェスは、2022年5月に、日本国内における独占的販売契約をEiger社と締結。

2023年3月には、厚生労働省により希少疾病医薬品（オーファン・ドラッグ※）に指定される。

※オーファン・ドラッグとは

患者数が少なく、治療法が確立していない難病に対する希少疾病用医薬品のこと。

1993年の薬事法の改正によって、オーファン・ドラッグに対する本格的な公的研究開発援助制度がスタート。

オーファン・ドラッグに指定を取得すると、優先審査のほか、

承認を取得した場合には、10年間の優先販売期間が認められるなどのメリットや支援措置を受けることができる。



* イメージ（米国での販売品 日本販売時のパッケージは異なる予定）

出典：<https://www.zokinvy.com/how-zokinvy-is-given>

「ゾキンヴィ」について

ファースト・イン・クラス※の疾患修飾剤であり、小児及び若年成人の早老症患者において統計学的に有意な生存期間の延長を示した。

HGPSの患者において、ゾキンヴィは死亡率を60%減少し、平均生存期間を2.5年延長しました。多くのHGPS患者は、10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、最も多く報告された副作用は消化器系（嘔吐、下痢、悪心）で、そのほとんどが軽度又は中等度（グレード1又は2）です。

※ファースト・イン・クラス：

新規性・有用性が高く、化学構造も従来の医薬品と基本骨格から異なり、従来の治療体系を大幅に変えるような独創的医薬品

希少疾患治療剤「ゾキンヴィ」の対象疾患と有効性・安全性

対象疾患

乳児早老症といわれる、「ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）」と「プロッセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PL）」
使用患者数は、数名程度から開始することになる想定。

※早老症：老化の徴候が実際の年齢よりも早く、全身にわたってみられる疾患の総称
実年齢よりも老化が進む症状が見られるため“早老症”と呼ばれる。

ゾキンヴィの有効性・安全性

◆有効性

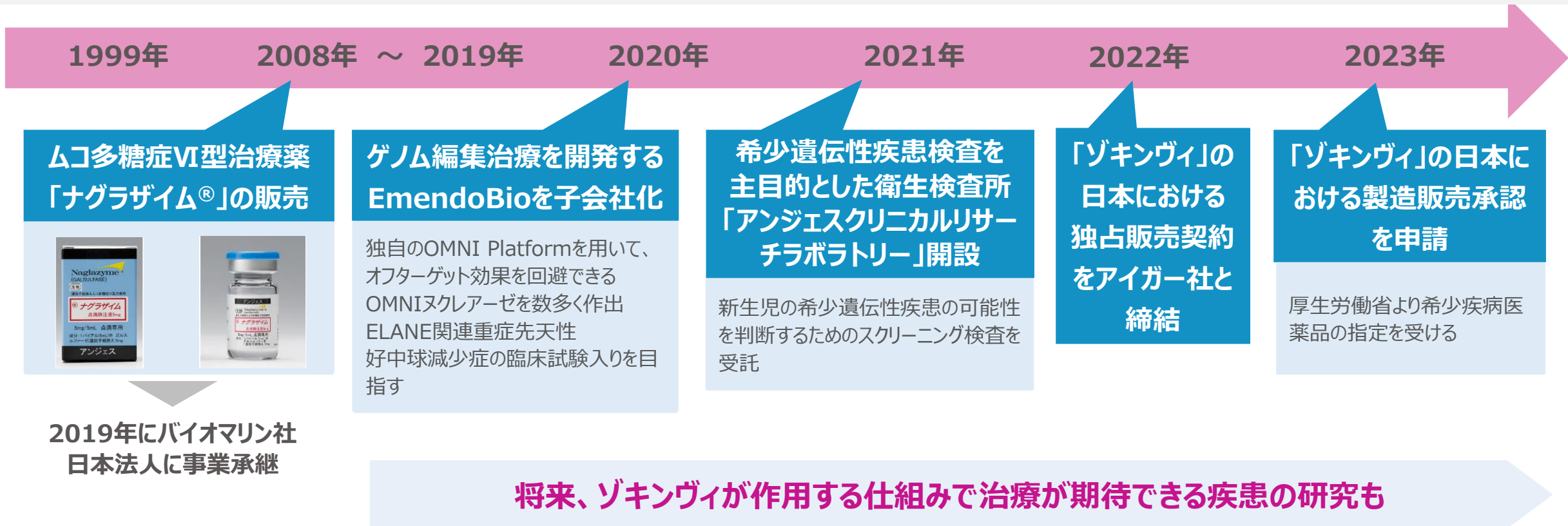
ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）の患者において、
死亡率を60%減少させ、平均生存期間を2.5年延長させるというデータがあります。

◆安全性

多くの患者が10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、
報告された副作用は嘔吐、下痢、悪心などが多く、そのほとんどが軽度または中等度のものです。

アンジェスの希少疾患への取り組みとゾキンヴィ

当社の事業目的として、
治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などを対象にした革新的な医薬品の開発を
通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、
そのためにも国際的に通用する革新的な医薬品を少しでも早く患者様にお届けすることを目指している。



ゾキンヴィの承認申請に伴う、アンジェスの今後の展開

ACRL (アンジェスの希少遺伝性疾患検査事業) との事業シナジー

「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)」では、現在、
新生児に希少遺伝性疾患の可能性があるかを検査する有償のオプションスクリーニング検査を受託している。

希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

「一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会 (CReARID)」が提供する
有償検査 (オプションスクリーニング) の検査業務を受託



©三輪晃久写真研究所

新生児を対象とした検査

マススクリーニング

- ・日本出生の全新生児に無償で実施
(フェニルケトン尿症、先天性甲状腺機能低下症等)

有償の追加検査

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患 (ポンペ病、ムコ多糖症等)

ゾキンヴィの承認申請に伴う、アンジェスの今後の展開

オーファン・ドラッグに指定されたゾキンヴィの対象疾患（HGPS及びPL）を確定するための遺伝子検査をACRLで実施する準備を進めている。

ACRLでは今後、スクリーニングで疾患の可能性があるとされた場合、疾患の有無を確定させる検査を実施する体制の構築を進めている。ゾキンヴィの承認申請に伴い、対象疾患であるHGPS及びPLを確定するための遺伝子検査の準備を進めており、検査業務とのシナジーが期待出来る。

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

「一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）」が提供する有償検査（オプションスクリーニング）の検査業務を受託

検査数は増加

年間で約1万件！

今後は検査できる疾患をさらに拡大し、取引先を広げていく予定

ゾキンヴィの対象疾患の検査をACRLで実施

現在(オプションスクリーニング検査の対象疾患)

- ・ムコ多糖症I型
- ・ムコ多糖症II型
- ・ムコ多糖症IVA型
- ・ムコ多糖症VI型
- ・ファブリー病（男児のみ）
- ・ポンペ病
- ・副腎白質ジストロフィー（男児のみ）
- ・脊髄性筋萎縮症
- ・重症複合免疫不全症

+

ゾキンヴィの対象疾患であるHGPS及びPLの遺伝子検査が出来るよう準備

希少疾患とは？

通常、糖尿病や心疾患などの、より一般的な疾患と比較して**患者数が極めて少ない疾患**と定義される。
希少疾患は重度で慢性的な症状である傾向があり、多くの場合、進行性かつ衰弱性で生命を脅かす疾患である。

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

希少疾患の患者数はどれくらいか？



世界全体で
3億5,000万人

希少疾患の原因は何か？



希少疾患の
80%は遺伝性

希少疾患の種類はどれくらいか？



希少疾患は
5,000～8,000種類

表 - 希少疾患と定義される国別の有病率（人口当たりの患者数）

