



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結しているエフ・ホフマン・ラ・ロシュ社が 11 月 11 日（バーゼル発）に発表したプレスリリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることにご留意ください。

原文は、<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2019-11-11.htm>をご覧ください。

2019 年 11 月 13 日

各 位

## リスジプラム、II 型または III 型脊髄性筋萎縮症（SMA）に対する ピボタル試験である SUNFISH 試験で主要評価項目を達成

- ・ II 型または III 型 SMA を対象とした試験の全体集団において、統計学的に有意な改善を示す
- ・ リスジプラムで実施中のいずれの臨床試験においても、試験からの脱落につながる薬剤関連の安全性の所見を現時点では認めず
- ・ ロシュ社は本成績を世界各国の規制当局に提出予定

ロシュ社は 11 月 11 日、2～25 歳の II 型または III 型脊髄性筋萎縮症（spinal muscular atrophy : SMA）患者を対象にリスジプラムを評価したピボタル試験である SUNFISH 試験のパート 2 部分においてポジティブな成績が得られたことを発表しました。本試験の主要評価項目は、投与開始 12 カ月時点における MFM-32（Motor Function Measure 32）のベースラインからの変化であり、プラセボ群と比較し、これを達成しました。また、リスジプラムで実施中のいずれの臨床試験においても、試験からの脱落につながる薬剤関連の安全性の所見は現時点で確認されませんでした。リスジプラムの安全性はこれまでに認められている安全性プロファイルと同様で、新たな安全性上の所見は示されませんでした。

### 【参考情報】

リスジプラムが脊髄性筋萎縮症に対する希少疾病用医薬品に指定（2019 年 3 月 27 日発表プレス・リリース）

[https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20190327150001\\_831.html](https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20190327150001_831.html)

### SUNFISH 試験について

SUNFISH 試験は、II 型および III 型 SMA の小児および若年成人患者さん（2～25 歳）を対象としたプラセボ対照二重盲検第 II/III 相国際共同治験です。第 II 相パート（51 名）では、第 III 相パートにおける至適用量の検討を行いました。第 III 相パート（180 名）では、投与開始 12 カ月時点の MFM-32（Motor Function Measure 32）の合計スコアによる運動機能評価を行いました。

ロシュ社は、SMA 財団および PTC セラピューティクスとの協力のもと、臨床試験を行っています。

### リスジプラムについて

リスジプラムは、中枢神経系および全身の SMN タンパクレベルを増加させるように創製された、経口投与が可能な臨床開発中の薬剤です。運動神経および筋肉機能をよりよくサポートするために、SMN2 遺伝子から機能性の SMN タンパクの産生が増加するように設計されています。2018 年 12 月には欧州医薬品庁（EMA）より、SMA の治療薬として PRIME（PRiority MEDicines）指定を受けています。欧州、米国およびスイスではオーファンドラッグ指定を受け、また米国食品医薬品局（FDA）よりファストトラック指定を受けています。日本では 2019 年 3 月に希少疾病用医薬品指定を受けています。

## 脊髄性筋萎縮症（SMA）について

SMA は、遺伝性の神経筋疾患であり、脊髄の運動神経細胞の変性によって筋萎縮や筋力低下を示します<sup>1)</sup>。乳幼児では最も頻度の高い致死的な遺伝性疾患です<sup>2)</sup>。乳児期から小児期に発症する SMA の患者数は 10 万人あたり 1～2 人です<sup>3)</sup>。SMA の原因遺伝子は SMN 遺伝子で、SMN1 遺伝子の機能不全に加え、SMN2 遺伝子のみでは十分量の機能性の SMN タンパクが産生されないため発症する疾患です<sup>4)</sup>。

- 1) Farrar MA and Kiernan MC. The genetics of spinal muscular atrophy: progress and challenges. *Neurotherapeutics*. 2015;12:290-302.
- 2) Cure SMA. About SMA. 2018. Available from: <http://www.curesma.org/sma/about-sma/>. Accessed November 2019.
- 3) 難病情報センター. Available from: <http://www.nanbyou.or.jp/entry/135>. Accessed November 2019.
- 4) Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. *Neurol Clin*. 2015;33:831-46.

以上