



2024年1月18日

各 位

会社名 アンジェス株式会社
代表者名 代表取締役社長 山田 英
(コード：4563 東証グロース)

問合せ先 広報・IRグループ

<https://www.anges.co.jp/contact/>

早老症治療剤「ゾキンヴィ」の製造販売承認取得に関するお知らせ

当社は、乳児早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群とプロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチーの治療剤である「ゾキンヴィ」（一般名：ロナファルニブ）について、本日、厚生労働省より製造販売承認を取得いたしましたのでお知らせいたします。

「ゾキンヴィ」は、Eiger BioPharmaceuticals Inc.（本社：米国カリフォルニア州 社長：David Apelian：以下、「アイガー社」といいます）が米国において2020年11月に承認を得て販売されております。「ゾキンヴィ」は、当社が2022年5月に日本における独占販売契約をアイガー社と締結し、2023年3月に厚生労働省により希少疾病医薬品（オーファン・ドラッグ）に指定されました。

「ゾキンヴィ」に関する詳細は、別紙資料をご覧ください。

本件につきましては、2024年2月9日に公表予定の2023年12月期 決算短信における2024年12月期連結業績予想作成に反映する予定です。

以 上

早老症治療剤「ゾキンヴィ」の製造販売承認取得について

アンジェス株式会社（本社：大阪府茨木市、代表取締役社長：山田英、以下「当社」）は、乳児早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）とプロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー（PL）の治療剤である「ゾキンヴィ」（一般名：ロナファルニブ）について、本日厚生労働省より製造販売承認を取得しましたのでお知らせいたします。

「ゾキンヴィ」は、Eiger BioPharmaceuticals Inc.（本社：米国カルフォルニア州、社長：David Apelian、以下「アイガー社」）が米国において2020年11月に承認を得て販売されております。「ゾキンヴィ」は、当社が2022年5月に日本における独占販売契約をアイガー社と締結し、2023年3月に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、2023年5月に厚生労働省に国内製造販売承認申請を行いました。

当社代表取締役社長山田 英は、以下のようにコメントしています。「本日、日本におけるゾキンヴィの製造販売承認を取得出来たことを大変喜ばしく思います。日本においては有効な治療薬がないHGPS患者の方々、プロセシング不全性PL患者の方々に一日も早く本剤をお届けできるよう準備を進めてまいります。また、アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）において、HGPS並びにプロセシング不全性PLに関する遺伝子検査を実施できる体制を整えました。これにより当社は、HGPS並びにプロセシング不全性のPLに関して診断から治療までを支援してまいります。」

アイガー社のCEOのDavid Apelianは、「日本のHGPS及びプロセシング不全性PL患者に当社のファースト・イン・クラスの治療薬であるゾキンヴィを提供するというアンジェスの取り組みを称賛します。日本での販売承認を取得するためのアンジェスとの共同作業は、この画期的な治療法を世界中のHGPSあるいはプロセシング不全性のPLの子供や若年成人に利用できるようにするという私たちの使命を果たすための新たな一歩です。PMDA申請を支援して下さったプロジェリア研究財団並びに患者さんとそのご家族に感謝申し上げます。」と述べています。

ゾキンヴィとは

ゾキンヴィ（一般名：ロナファルニブ）は、米国アイガー社が販売するハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PL）の治療薬として、2020年11月に米国食品医薬品局（FDA）、2022年7月に欧州連合、2022年8月に英国で承認されました。

ゾキンヴィは、HGPS及びプロセシング不全性PLの小児及び若年成人において、核膜の構造・機能を損なうファルネシル化された変異タンパク質（核の不安定化と早期老化を惹起）の蓄積を阻害します。ゾキンヴィは、ファースト・イン・クラス^{（注1）}の疾患修飾剤であり、小児及び若年成人のHGPS及びプロセシング不全性PLにおいてその薬効が検討されました。その結果、HGPSの患者において、ゾキンヴィは死亡率を72%減少し、平均生存期間を4.3年延長しました。多くの患者が10年以上にわたってゾキンヴィによる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。当社では、日本国内においてゾキンヴィの使用が見込まれる患者数は数名程度と見込んでおります。

HGPS 及び PL とは

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）とプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PL）は、それぞれが大変希少な致死性の遺伝的早老症で、若い時点から死亡率が加速度的に上昇します。HGPS は、LMNA 遺伝子の点突然変異により、ファルネシル化^{（注2）}された変異タンパク質であるプロジェリンが生成されることにより発症します。プロセシング不全性の PL は、LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異により、プロジェリンに類似したファルネシル化タンパク質が生成され、老化が促進されます。いずれの病型ともに、深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、関節拘縮、骨格形成不全、動脈硬化の促進などの早老症状が現れ、動脈硬化性疾患（心筋梗塞あるは脳卒中）により若年期に死亡するとされ、HGPS の平均年齢は 14.5 歳と報告されています。

アンジェスの取り組み

当社は、2022 年 5 月にアイガー社と、HGPS と PL の適応症の治療薬であるゾキンヴィ（ロナファルニブ）について、日本における独占販売契約を締結しました。2023 年 3 月に、ゾキンヴィ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）^{（注3）}に指定されました。

当社は事業目的として、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おり、ゾキンヴィの製造販売承認もこの目的に沿ったものです。

また、当社は 2021 年に開設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（ACRL）で、新生児の希少遺伝性疾患のスクリーニング検査を受託しており、ACRL において HGPS 及び PL について確定診断のための遺伝学的検査を実施できる体制を整備いたしました。加えて、ファルネシル化した変異タンパク質の蓄積を阻害するというゾキンヴィの作用機序による効果が期待できる新たな疾患への適応も検討してまいります。

アイガー社について

アイガー社は、希少な代謝性疾患に対する革新的な治療法の開発に注力する商業段階のバイオ医薬品企業です。アイガー社の主要製品候補であるアベキシチドは、肥満後低血糖症（PBH）及び先天性高インスリン血症（HI）の治療薬として開発されている、よく特徴付けられたファースト・イン・クラスの GLP-1 拮抗薬です。アベキシチドは、FDA から画期的治療薬（Breakthrough Therapy）^{（注4）}の指定を受けている唯一の PBH 治療薬です。

アイガーとその臨床プログラムの詳細については、www.eigerbio.com をご覧ください。

アイガー社は米国ナスダック市場に上場しています。（NASDAQ: EIGR）

（注 1）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を言います。

（注 2）ファルネシル化：タンパク質に行われる修飾の一種です。ファルネシル化酵素により、タンパク質の末端には疎水性のプレニル基が結合します。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分細胞膜内に挿入するため、タンパク質は細胞膜あるいは核膜の内膜につなぎ留められます。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞あるいは核の上に代謝を受けず存在するようになります。

（注 3）希少疾病医薬品：日本の対象患者数が 50,000 人未満であり、重篤な疾病の治療手段として特に医療上の必要性が高いことなどを条件に、希少疾病用医薬品を指定します。希少疾病用医薬品の指定を取得すると、優先審査のほか、指定の適応症に対して承認を取得した場合には 10 年間の再審査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ます。

（注 4）Breakthrough Therapy：革新的な治療薬の開発・審査の促進を目的とした FDA の制度です。