



2023年5月12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」の製造販売承認申請に関するお知らせ

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のプロジェロイド・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、厚生労働省に国内製造販売承認申請を行い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：デイヴィッド・コリー；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、2023年12月期の連結業績予想への影響は軽微であります。中長期的な業績向上に資するものと考えております。今後、開示すべき事象が発生した場合には速やかに公表する予定です。

以 上

## 《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 Eiger BioPharmaceuticals Inc.（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やプロセシング不全性の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<sup>（注1）</sup>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の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60%減少し（ $p=0.0064$ ）、平均生存期間を2.5年延長しました（ $p<0.0001$ ）。多くの患者は、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。

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<sup>（注2）</sup>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。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（心筋梗塞あるいは脳卒中）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10日にアイガー社と、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）<sup>（注3）</sup>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、今回のゾキンヴィの製造販売承認申請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について確定のための遺伝子検査を実施できるよう準備を進めています。

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。

## （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

【別紙】



胞膜あるいは核膜の内膜につなが留められます。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。