

報道関係者各位

ゾジェニックス社 日本でフェンフルラミンの希少疾病医薬品の指定を取得

- ゾジェニックス社は、フェンフルラミンのドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療としての日本での新薬承認申請を年末までに行う予定です。
- ドラベ症候群は、生涯にわたり継続する重度の希少てんかんの一種であり、頻発する重度の発作、重大な発達障害、頻回の入院や救急医療の必要性、および若年死のリスクを伴う疾患です。
- ドラベ症候群に伴う発作は既存の抗てんかん薬に対して治療抵抗性の抵抗性を示すことから、新しい治療方法の必要性が強く要望されています。

カリフォルニア州エメリービル- 2021年8月26日：希少疾患治療薬を開発するグローバルバイオフーマであるZogenix (NASDAQ: ZGNX)は、日本で開発中のフェンフルラミン経口服液剤(ZX008)が、ドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療として厚生労働省より希少疾病医薬品の指定を取得いたしましたので報告いたします。

ドラベ症候群は、乳幼児期および小児期に発症する希少てんかんであり、頻回かつ重度の治療抵抗性の発作や、頻回の入院や救急医療の必要性、重大な発達障害、運動障害、ならびにてんかんによる予期せぬ突然死のリスク上昇という特徴がある疾患です。

7月28日に開催された薬事・食品衛生審議会第一部会において、ドラベ症候群に対するフェンフルラミンの希少疾病用医薬品指定について協議がなされ、本剤の指定が合意されました。薬事・食品衛生審議会は、厚生労働省内の複数の専門委員会構成されており、医薬品の承認や希少疾病用医薬品の指定等に係る意思決定機関です。日本の希少疾病用医薬品指定制度では、患者数が5万人未満の疾患又は難病であって、医療上の必要性が高くかつ開発の可能性が高い薬剤に対して指定の決定がなされることが規定されています。

ゾジェニックス社は、ZX008のドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療に対する日本での製造販売承認申請を2021年後半に行う計画を進めています。本剤の承認がなされた場合、医薬品開発・販売を担う国内大手製薬会社である日本新薬株式会社との独占販売契約を通じて、ZX008の国内市場への製品化を行う予定です。

Zogenix社長兼最高経営責任者であるStephen J. Farr氏は、次のように述べています。「日本における、フェンフルラミンの希少疾病用医薬品指定は、世界中の重度の希少てんかん患者のアンメットニーズを



満たすという私たちの使命の重要なマイルストーンです。この度、日本の患者、医師、規制当局との協力をもってこのマイルストーンが達成できたことを誇りに思います。また、日本でドラベ症候群を患う患者さまとそのご家族の方々に要望されている新たな治療薬をお届けできるよう、決意を新たに引き続き取り組んで参ります。」

日本におけるドラベ症候群の発生率は20,000～40,000人に1人と推定されており、厚生労働省患者調査から、ドラベ症候群の国内患者数は約3,000人と推定されています。

ドラベ症候群について

ドラベ症候群は、生涯にわたり継続する重度の稀少てんかんの一種であり、一般的に、乳幼児期に発症し、頻発する治療抵抗性の発作、頻回の入院や救急医療の必要性、重大な発達障害、運動障害、行動障害、てんかんにおける予期せぬ突然死(SUDEP)のリスク上昇という特徴があります。米国での罹患率は、出生数15,700人に約1人、ヨーロッパでは出生数20,000人～40,000人に約1人とされており、多くの患者は乳幼児期の発症後、成人期に至るまで、持続する認知障害、運動障害、行動障害を伴う発達遅滞が悪化していくという経過をたどります。ドラベ症候群は、疾患に起因する身体的、心理的な負担、また、介護や経済的な負担のために、患者さまとそのご家族の方々、また介護者の方々のQOLに著しい負担と影響を及ぼします。

FINTEPLA® (ZX008、フェンフルラミン)について

FINTEPLA® (フェンフルラミン)は、2歳以上の患者のドラベ症候群に関連する発作を治療するために使用される医療用医薬品です。フェンフルラミン(海外商品名:FINTEPLA®)は、5-HT (セロトニン)1D,2A及び5-HT2C受容体に対する作動薬としてセロトニンを放出する作用、並びにシグマ1受容体に対する作用によって発作を抑制すると考えられています。フェンフルラミンは、ドラベ症候群に伴う発作の治療として米国及び欧州で承認されており、日本では開発中です。

フェンフルラミンは、複数の臨床試験において、ドラベ症候群に伴う痙攣発作の有意かつ持続的な減少が認められました。第III相臨床試験の主要な2試験では、28日あたりの痙攣発作頻度の減少がフェンフルラミンのすべての用量群でプラセボ群と比較して統計学的に有意に認められました。

米国でのFINTEPLA® (フェンフルラミン)の添付文書ならびに安全性情報については www.fintepla.com を参照ください。

Zogenix社について

希少疾患を患う患者さまとそのご家族の方々の生活に変革をもたらす可能性のある治療法の開発という課題に取り組むグローバルバイオフーマです。当社初の希少疾患治療薬であるFINTEPLA® (フェンフルラミン)経口液剤は、米国FDAおよび欧州医薬品庁の承認を取得し、日本では生涯にわり継続する重度の稀少てんかんであるドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療の開発を行っています。弊社では、レノックス・ガストー症候群と呼ばれる稀少てんかんとTK2欠損症と呼ばれるミトコンドリア疾患の2つの後期開発プログラムも行っております。また、CDKL5欠損症(CDD)と呼ばれる遺伝性てんかん患者を



対象としたFINTEPLA®の開発も予定されており、ドラベ症候群をはじめとする遺伝性てんかんに対する次世代遺伝子治療の可能性を特定し、テバード・バイオサイエンス社と共同で、開発を行っています。

将来の見通し

なお、本プレスリリースには、歴史的事実以外にも、将来の見通しに関する記述が含まれています。「信じる」、「予測する」、「計画する」、「期待する」、「示唆する」、「意図する」、「意図する」、「可能性」、「示唆する」、「仮定する」、「設計する」などの用語やその他類似の表現は、将来の見通しに関する記述を意味します。これらの声明には、フェンフルラミンの日本における承認申請を計画していることが含まれています。これらの記述は、Zogenix社の現在の信念と期待に基づいています。将来の見通しに関する記述を含めることは、Zogenix社の計画が必ず達成されるということを示すものではありません。将来の見通しに関する記述にはリスクおよび不確実性が含まれているため、実際の結果は本リリースに記載されているものと異なる可能性があります。これには、COVID-19パンデミックの影響によりZogenix社の事業活動や承認申請の中断リスク、日本での承認または米国またはヨーロッパでの販売を制限する可能性のある、またはリコールもしくは製造物責任請求をもたらす可能性のある、フェンフルラミンの予期しない副作用または不十分な治療効果のリスク、ならびにZogenix社の過去のプレスリリースおよび米国証券取引委員会への定期的報告に記載されているその他のリスクが含まれますが、これらに限定されません。これらの将来見通しに関する記述は現時点での見通しであり、過度の信頼を置かないようご注意ください。Zogenix社は、今後の出来事または状況を反映するために、本プレスリリースを改訂または更新する義務を負うものではありません。これらの見通しに関する注意事項は本プレスリリースのすべての表現に適用されます。この注意事項は、1995年米国民事証券訴訟改革法 (Private Securities Litigation Reform Act of 1995) 第21E条のセーフ・ハーバー条項に基づいて行われています。

連絡先:

Zogenix

|corpcomms@zogenix.com

投資家

ブリアン・リッチー

ライフサイエンスアドバイザーズ常務取締役

+1 (212) 915-2578 britchie@lifesciadvisors.com

日本

フライシュマン・ヒラード・ジャパン株式会社

佐々木知美

携帯電話 080-1010-7812

電子メール: tomomi.sasaki@fleishman.com