

2023 年 7 月 11 日

報道関係各位

バイオジェン・ジャパン株式会社

## Cure SMA で新データを発表: 遺伝子治療を受けた乳幼児のアンメットニーズに対するスピラザ® (ヌシネルセン)のベネフィット

- RESPOND 試験の暫定結果でゾルゲンスマ® (オナセムノゲンアベパルボベク)による治療後にスピラザ投与を受けた参加者の大部分が運動機能の改善を示した
- バイオジェンは新たな実臨床でのエビデンスと、患者さんの治療経験を改善する新規デバイス開発の進展も報告

マサチューセッツ州ケンブリッジ、2023 年 6 月 30 日 - バイオジェン(NASDAQ 略称 BIIB)は、脊髄性筋萎縮症(SMA)に関わるコミュニティの重要な臨床的疑問に答えることを目指すスピラザ® (ヌシネルセン)の新たなデータを発表しました。このデータは、フロリダ州オーランドで開催された Cure SMA の SMA 研究 & 治療学会で発表されました。

バイオジェンのチーフ・メディカル・オフィサーであるマハ・ラドハクリシュナン(Maha Radhakrishnan, M.D.)は次のように述べています。「Cure SMA の年次学術集会は、参加している医療関係者、患者さん、介護者と繋がり、学び、SMA コミュニティのアンメットニーズに応えるための研究成果を共有する貴重な機会です。私たちは、遺伝子治療後のスピラザ投与がもたらす臨床上のベネフィットと安全性を評価する RESPOND 試験の暫定結果を含む新しいデータを発表できたことを嬉しく思います」。

### RESPOND 試験の暫定的臨床アウトカム

RESPOND 試験は、ゾルゲンスマ® (オナセムノゲンアベパルボベク)による治療後に臨床上のアンメットニーズを有する SMA の乳幼児に対するスピラザ治療後の臨床アウトカムと安全性を評価するための、継続中の 2 年間の臨床第 IV 相オープンラベル試験です。スピラザの治療を受けた 29 人\*の参加者の 6 カ月後の有効性に関する暫定的な結果は以下のとおりです:

- 大部分の参加者で、ハーマスミス幼児神経学的検査セクション 2(HINE-2)スコア総計のベースラインからの平均改善値で測定した運動機能が改善
  - SMN2 遺伝子のコピー数が 2 の参加者(n=24)は、HINE-2 のスコアが平均 5 ポイント以上改善
  - SMN2 遺伝子のコピー数が 3 の参加者(n=3)全員のスコアが改善; 参加者数が少数のため、ベースラインからの変化の平均値は計算せず
- 治験責任医師がベースラインの運動機能が最適でないと報告した参加者の大部分(27 人中 25 人)が改善

本試験開始後の日数の中央値が 230.5 日の時点で、38 人中 13 人 (34%) の参加者で重篤な有害事象 (AE) が報告されました。スピラザに関連する、あるいは試験の中断に至った重篤な AE はありませんでした。ゾルゲンスマ治療後にスピラザを投与された参加者で新たに特定された安全性の懸念はありませんでした。RESPOND 試験のその他の暫定的臨床アウトカムが本学会で発表されています。

キングス・ドーターズ小児病院の小児神経科医であるクリスタル・プラウド医師 (Crystal Proud, M.D.) は次のように述べています。「遺伝子治療が全ての運動ニューロンを治療できるわけではなく、その後疾患が進行する可能性があることが分かってきました。RESPOND 試験は、ゾルゲンスマの治療を受けた後も臨床上的アウトカムが期待に満たなかった一部の SMA 患者に残るアンメットニーズの特徴を明らかにしようとしています。今回の暫定結果は、ゾルゲンスマの後のスピラザ治療を評価する初の臨床試験データを SMA コミュニティに提供し、スピラザ治療のさらなるベネフィットの可能性を示唆するものです」。

### スピラザの実臨床での効果を評価する新たな解析

乳幼児期発症の SMA に対するスピラザの実臨床における効果を評価する、体系的文献レビューとメタ解析の結果が発表され、スピラザの治療ベネフィットを包括的に理解するための実臨床でのエビデンス創出の重要性が明らかになりました。実臨床下での試験で観察された運動機能の改善と運動マイルストーンは、臨床試験の結果を上回るまたは同等のもので、スピラザ治療が長く継続するに従い患者さんは引き続き改善を示しました。

### 治療経験改善を目指す新規デバイスの進捗

バイオジェンは Alcyone Therapeutics 社と共同でアンチセンスオリゴヌクレオチド治療薬の継続的な皮下投与を可能にするための初の埋め込み型デバイスを開発しています。今週、Alcyone 社は米国食品医薬品局が ThecaFlex DRx™ システム (ThecaFlex) のピポタル試験を開始するための「治験用医療機器に対する適用免除」を承認したことを発表しました。Alcyone 社は今夏、SMA 患者さんにスピラザを投与するための ThecaFlex の安全性と性能を評価する PIERRE 試験 ([clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov)) の最初の組み入れを開始する予定です。

### スピラザ® (ヌシネルセン) について

スピラザは脊髄性筋萎縮症 (SMA) の乳幼児、小児および成人の治療薬として世界 60 カ国以上で承認されています。SMA の基盤となる治療として、全世界で 14,000 人以上がスピラザの治療を受けています<sup>1</sup>。

スピラザは体内で生成される完全長 Survival Motor Neuron (SMN) タンパクの量を継続的に増やすことで、SMA の根本原因を標的にするアンチセンス・オリゴヌクレオチド (ASO) です。<sup>2</sup> SMA の発症部位に到達できるよう、スピラザは中枢神経系に直接投与されます。<sup>2</sup>

スピラザは最長 8 年間<sup>3</sup> 治療を受けた参加者データと、他に類のないリアルワールドの経験に基づき、十分に確立された安全性プロファイルを有し、様々な年齢や異なるタイプの SMA に持続した有効性を示してきました。ヌシネルセンの臨床開発プログラムには、2 つの無作為化対照試験 (ENDEAR 試験および CHERISH 試験) を含む、幅広い患者集団にわたる 460 人以上の参加者を組み入れた 10 本以上の臨床試験があります。SHINE 試験および NURTURE 試験のオープンラベル延長試験はスピラザの長期的な影響を評価しています。臨床試験で最も多く観察された有害事象は、呼吸器感染症、発熱、便秘、頭痛、嘔吐、腰痛でした。いくつかの ASO 薬投与後に腎毒性や急性で重篤な血小板数減少を含む血液凝固異常が観察されていますが、それらは臨床検査によりモニターすることができます。

バイオジェンは、スピラザを開発・製造・製品化するためのグローバルな権利を、アイオニス・ファーマシューティカルズ社(ナスダック略号:IONS)から供与されています。米国内のスピラザに関する安全性情報や処方情報の詳細は、それぞれ [Important Safety Information](#) および [full Prescribing Information](#) をご参照いただくか、各国の製品ウェブサイトをご参照ください([日本での情報はこちらから](#))。

### バイオジェンについて

1978年に設立されたバイオジェンは、多発性硬化症の広範なポートフォリオを有し、脊髄性筋萎縮症の最初の治療薬を製品化し、アルツハイマー病の病理に作用する二つの治療薬を共同開発するなど、数多くの革新的なイノベーションを生み出したグローバル・バイオテクノロジー企業です。バイオジェンは神経、神経精神、特定の免疫、希少疾患といった領域において画期的な治療となりうるパイプラインを進展させ、サイエンスを通じて人々に貢献するという理念を厳格に追求し、人々がより健康的に、持続可能で平等に生きていける世界となるよう取り組んでいます。

バイオジェンに関する情報については、<https://www.biogen.com/> および SNS 媒体 [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Facebook](#), [YouTube](#) をご覧ください。

### References:

1. Based on commercial patients, early access patients, and clinical trial participants through December 31, 2022.
2. SPINRAZA U.S. Prescribing Information. Available at: [https://www.spinraza.com/content/dam/commercial/specialty/spinraza/caregiver/en\\_us/pdf/spinraza-prescribing-information.pdf](https://www.spinraza.com/content/dam/commercial/specialty/spinraza/caregiver/en_us/pdf/spinraza-prescribing-information.pdf). Accessed: June 2023.
3. Core Data sheet, Version 13, October 2021. SPINRAZA. Biogen Inc, Cambridge, MA.

### 報道関係者お問合せ先

バイオジェン・ジャパン株式会社

広報・CSR 本部

本部長 三井 貴子

TEL: 03-3275-1745 Email: Japan-PA@biogen.com

携帯: 070-1501-4315

Biogen-215749