

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)

アンジェス株式会社は「難病の日」である5月23日に  
超希少疾患であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群並びに  
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薬「ゾキンヴィ」の発売日を決定

アンジェス株式会社は、「難病の日」である5月23日に、早老症のうちハッチンソン・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）の治療薬である「ゾキンヴィ」（希少疾病医薬品）を2024年5月27日に発売することを決定いたしましたのでお知らせいたします。

「ゾキンヴィ」は、米国において2020年11月に承認を得て販売され、その後、欧州連合、英国でも承認されました。当社は、2022年5月に日本における独占販売権を取得し、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）の指定を受け、2024年1月18日に製造販売承認を取得し、2024年4月17日に薬価基準に掲載されました。



#### 《ゾキンヴィとは》

ゾキンヴィ（一般名：ロナファルニブ）は、HGPS及びプロセシング不全性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及びプロセシング不全性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。

(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ファルネシルが結合します。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分を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。

アンジェス株式会社お問い合わせ先

一般のお問い合わせ <https://www.anges.co.jp/contact/>

報道関係のお問い合わせ <https://www.anges.co.jp/press/>