

再生医療等製品「ゾルゲンスマ点滴静注」の承認審査に関連した論文の撤回に伴う対応について

1. 経緯

2021年3月、米国FDAの査察を受けた際に出された指摘事項への対応の一環として実施された、ノバルティス社による製造販売承認申請に用いた資料の一斉点検の過程で、ゾルゲンスマ点滴静注の承認審査において評価に用いられた学術研究機関(Nationwide Children's Hospital)で実施された薬理試験に関する論文について、データの正確性が確認できないことが発覚した。なお、これを受けて、ノバルティス社は、論文著者に対して当該論文の修正又は撤回を促した。

論文著者と学術誌(Nature Biotechnology)との間でやり取りが行われた結果、2022年10月6日、学術誌側の判断として該当の論文が撤回された。

2. 論文概要

【試験名称】：SMNΔ7マウスを用いた *in vivo* 有効性試験

【試験概要】：疾病モデルマウスを対象に、ベクター静脈内投与群と非投与群を比較したところ、①脳、脊髄及び筋中におけるタンパク質発現の亢進、②運動機能(正向反射)の改善、③生存期間の延長の効果が確認された。

【事実関係】：試験結果から確認されたとされる③の評価項目に関して、当該論文ではベクター静脈内投与群において「250日超生存したマウスは6匹」とされていたが、実際の試験では「250日超生存したマウスは1匹」だけだった。

3. 評価

ゾルゲンスマ点滴静注の有効性及び安全性については、承認審査の中で治験等のデータにより確認されており、当該論文が撤回されたことで、当該製品の承認審査時の有効性及び安全性に係る評価に変化はない。

4. 対応

当該論文については、ゾルゲンスマ点滴静注の承認審査において評価に用いられた薬理試験であり、当該製品の審査報告書に記載されているため、当該論文を引用している箇所を削除する改訂を行った。

また、当該論文は当該製品の添付文書に記載されているため、併せて当該論文を引用している箇所を削除する改訂を行った。

《参考》製品概要

販売名 / 一般名	ゾルゲンスマ点滴静注 / オナセムノゲン アベパールボベク
製造販売業者	ノバルティスファーマ株式会社
適応	脊髄性筋萎縮症
承認日(申請日)	令和2年3月19日(平成30年11月1日)

※先駆け審査指定品目