

press release

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2019年10月7日(オーストリア現地時間9月21日発表)

PRESS-19-27

ノボ ノルディスクが、9月21日に発表したプレスリリースの翻訳版です。内容や解釈については、正式言語である英語が優先されます。英文オリジナル版は、[こちら](http://novonordisk.com) (novonordisk.com)をご参照ください。

小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした第2相試験において、somapacitan 週1回投与による1年後の身長伸びはソマトロピン 1日1回投与と同様

ノボ ノルディスクは本日、週1回投与製剤として開発中の新規成長ホルモン誘導体である somapacitan を、小児の成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象として1年間投与したところ、ノルディトロピン® (ソマトロピン)の1日1回投与と同程度の有効性、安全性および忍容性が示され、特に somapacitan の最高用量群ではソマトロピンと比較してより高い有効性がみられたことを発表しました。小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした第2相臨床試験 (REAL 3 試験)の結果は、本日開催された第58回欧州小児内分泌学会 (ESPE)年次学術集会にて Lars Säwendahl 教授より発表されました¹。

REAL 3 試験では、小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象に somapacitan の3用量(0.04、0.08、0.16 mg/kg の週1回投与)をソマトロピン (0.034 mg/kg の1日1回投与)と比較しました。本試験結果から、1年後のデータが以前に報告された6ヵ月時点でのデータを裏付け、投与後1年における年間成長速度 (HV: cm/年)の平均はソマトロピンの1日1回投与と比較して somapacitan 0.16mg/kg の週1回投与において、統計的に有意に高かったことが新たに示されました。年間成長速度の平均は、ソマトロピン1日1回投与では10.0 cm/年であったのに対し、somapacitan の3用量の週1回投与ではそれぞれ7.8、9.7、11.5 cm/年でした¹。

International Coalition of Organizations Supporting Endocrine Patients (ICOSEP)の代表取締役であるジェイミー ハーベイは次のように述べています。「成長ホルモン分泌不全性低身長症の病状は徐々に、かつ深刻な状態へと進行していきます。その結果、小児患者さんの身長に影響を及ぼすだけでなく、知らず知らずのうちに患者さんの日常生活や長期的な心身の健康状態に深い影響を及ぼします。週1回投与の治療オプションは1日1回投与と比べて患者さんの怠薬を防止し、合併症の発症を抑えることにも役立ちます」

ノボ ノルディスクのエグゼクティブ バイス プレジデントであるルードビック ヘルフゴットは次のように述べています。「ノボ ノルディスクとして、成長ホルモン分泌不全性低身長症患者さんの治療の負担を減らし、最終的には患者さんの生活を改善することを目的とした週1回投与の製剤である somapacitan の開発を誇りに思います。これらの試験結果は小児患者を対象とした somapacitan の第3相臨床試験につながるものです。当社は成人成長ホルモン分泌不全症患者さんを対象とした試験結果に基づき、欧州及び米国において成人成長ホルモン分泌不全症の治療を適応とした somapacitan の承認申請を行いました」

REAL 3 主要試験および延長期間について

REAL 3 試験は、成長ホルモン療法の治療歴のない二次性徴発来前の小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者59名を対象とした、3用量の somapacitan の週1回投与における投与後26週および52週の有効性についてノルディトロピン® (ソマトロピン)1日1回投与と比較検討する、国際共同、無作為割り付け、並行群間、実薬対照試験です。被験者は somapacitan の3用量 (0.04、0.08 または 0.16 mg/kg)の

お問い合わせ先
ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

100-0005
東京都千代田区丸の内2-1-1
明治安田生命ビル

報道関係者用
Tel:03-6266-1700
医療機関・薬局・患者様用
Tel:0120-180363
(フリーダイヤル)

ウェブサイト:
www.novonordisk.co.jp
www.novonordisk.com

週 1 回投与いずれか、またはソマトロピン 0.034 mg/kg の 1 日 1 回投与に無作為割り付けられました。REAL 3 試験では現在、最長 312 週間の延長期間が進行中です^{1,2}。

somapacitan について

somapacitan は、血中のアルブミンに結合する長時間作用型ヒト成長ホルモン誘導體であり、現在、成人成長ホルモン分泌不全症および成長障害に対する治療薬として開発段階にあります。somapacitan は、持続型インスリン、グルカゴン様ペプチド-1、そして成長ホルモンへと何十年も応用されてきたタンパク質工学技術を基に開発されたものです³。

成長ホルモン分泌不全性低身長症について

成長ホルモンは、脳下垂体から分泌されるタンパク質であり、成長および代謝を調節します⁴。成長ホルモン分泌不全性低身長症は、血中の成長ホルモンが正常な成長に十分でない、まれな疾患です^{4,5}。小児患者において、2~3 歳以降での成長の鈍化および代謝異常が認められ^{4,6}、身体面、および社会的・精神的側面など、小児患者の日常生活に多面的で大きな影響を及ぼすおそれがあります⁷。

成長ホルモン分泌不全性低身長症は早期に治療を開始することで、標準的な身長を獲得できる可能性があります^{7,8}。現行の成長ホルモン療法には 1 日 1 回の皮下投与製剤しかありません⁶。怠業のみられる小児の成長ホルモン分泌不全性低身長症患者において、身長の伸びが劣ることが示されています⁹。

参照資料

1. Säwendahl L, Battelino T, Horikawa R, *et al.* Once-weekly somapacitan vs daily growth hormone (Norditropin®) in childhood growth hormone deficiency: One-year results from a randomised phase 2 trial. Presented at the 58th Annual Meeting of the European Society for Paediatric Endocrinology, Vienna, Austria, 19–21 September 2019.
2. Clinicaltrials.gov. Investigating Efficacy and Safety of Once-weekly NNC0195-0092 (Somapacitan) Treatment Compared to Daily Growth Hormone Treatment (Norditropin® FlexPro®) in Growth Hormone Treatment naïve Pre-pubertal Children With Growth Hormone Deficiency. Available online at <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02616562>. Last accessed September 2019.
3. Battelino T, Rasmussen MH, De Schepper J, *et al.* Somapacitan, a once-weekly reversible albumin-binding GH derivative, in children with GH deficiency: A randomized dose-escalation trial. *Clin Endocrinol (Oxf)*. 2017; 87:350-358.
4. Growth Hormone Deficiency in Children. The Magic Foundation. Available online at <https://www.magicfoundation.org/Growth-Disorders/Growth-Hormone-Deficiency-in-Children/>. Last accessed September 2019.
5. Murray PG, Dattani MT and Clayton PE. Controversies in the diagnosis and management of growth hormone deficiency in childhood and adolescence. *Arch Dis Child*. 2016; 101:96-100.
6. Great Ormond Street Hospital For Children. Growth Hormone Deficiency. August 2014. Available online at <https://www.gosh.nhs.uk/conditions-and-treatments/conditions-we-treat/growth-hormone-deficiency>. Last accessed September 2019.
7. Brod M, Alolga SL, Beck JF, *et al.* Understanding burden of illness for child growth hormone deficiency. *Qual Life Res*. 2017; 26:1673-1686.
8. Polak M, Blair J, Kotnik P, *et al.* Early growth hormone treatment start in childhood growth hormone deficiency improves near adult height: analysis from NordiNet(R) International Outcome Study. *Eur J Endocrinol*. 2017; 177:421-429.
9. Graham S, Weinman J and Auyeung V. Identifying Potentially Modifiable Factors Associated with Treatment Non-Adherence in Paediatric Growth Hormone Deficiency: A Systematic Review. *Horm Res Paediatr*. 2018; 90:221-227.

ノボ ノルディスクについて

ノボ ノルディスクは、デンマークに本社を置き、95 年以上にわたり糖尿病治療に必要な革新的な医薬品の開発を通じ糖尿病ケアの革新をリードしてきました。糖尿病の克服を目指して培ってきた経験や能力は、肥満症、血友病、成長障害といったその他の重篤な慢性疾患の領域にも生かされています。ノボ ノルディスクは現在 80 カ国に約 4 万 1,600 人の社員を擁し、製品は 170 カ国以上で販売されています。日本法人は 1980 年に設立されました。

お問い合わせ先

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

100-0005
東京都千代田区丸の内 2-1-1
明治安田生命ビル

報道関係者用
Tel:03-6266-1700
医療機関・薬局・患者様用
Tel:0120-180363
(フリーダイヤル)

ウェブサイト:
www.novonordisk.co.jp
www.novonordisk.com