## **Driving** | in rare change | disease

報道関係者各位

## press release

### ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2022年3月3日 PRESS-22-06

### ノボノルディスクファーマ、希少疾患とともに生きる人々の生活改善への注力を強化

新たな希少疾患領域への参入と事業本部名変更により、希少疾患コミュニティに対するノボ ノルデ ィスクファーマのコミットメントを再確認

ノボノルディスクファーマ株式会社(代表取締役社長:オーレムルスコウベック、本社:東京都千代田区) は、本日、血友病および成長障害への取り組みを拡大し、溶血性貧血、骨/カルシウム不均衡、および原発性 高シュウ酸尿症などの希少および超希少な血液疾患、内分泌疾患、および腎疾患領域に参入することを発 表しました。当社は、希少疾患とともに生きる人々へのコミットメントを強調するため、同社バイオファーマ事業 本部の名称を希少疾患事業本部に変更しました。この名称変更は、ノボノルディスクの戦略的方向性を反映 し、成長障害や血友病における当社の40年にわたる伝統に基づいています。

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 兼 希少疾患ビジネスの責任者であるルードビック へ ルフゴットは、次のように述べています。「我々の目的は、治療選択肢が限られている希少疾患における新た なソリューションを見出すことです。そのために、我々は過去数年間にわたってイノベーションを加速させ、遺 伝子治療、RNA 干渉および経口療法など、希少疾患の新たな治療選択肢の領域を切り開く技術を探求して います。また、2seventy bio 社\*のような企業とのパートナーシップや、最近の Dicerna 社買収に見られるよ うに、これらの技術への直接投資にも力を入れています。」

希少疾患事業本部に本部名を変更した当社は、希少および超希少な血液疾患、内分泌疾患、および腎疾患 におけるアンメットメディカルニーズを科学的に解決し、診断、デバイスの使用、データのデジタル化などの相 互連携を推進することで、患者さん一人ひとりに合わせた質の高いケアと、患者さんの転帰の改善に向けた 知見を提供することを目指します。

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社 希少疾患事業本部 本部長 秋山 祐香子は、次のように述べています。 「全ての人は健康を維持する権利を有しています。それは、どれほど希少な疾患であっても、迅速に診断を受 け、ニーズに合わせた治療を受けるという権利です。事業本部名の変更と重点領域の拡大は、当社独自の専 門性を反映したものであり、診断時から希少疾患の管理に至るまでの統合的な治療ソリューションを提供する という当社の意欲と、希少疾患コミュニティと協力して、いつの日か根治を目指すという当社のコミットメントを 示しています。」

希少疾患全てを合わせると、その患者数は全世界で約3億5000万人にのぼります1。その多くは治療法が 存在しない生涯にわたる疾患で、生活の質の低下、平均余命の短縮など、健康と社会に影響を与えます 2.3。 診断の遅れと治療の連携不足、治療法の選択肢がほとんどないことが、希少疾患とともに生きる人々にとっ ての共通の課題となっています 4.5。

\* 2seventy bio 社とノボ ノルディスクは、2022 年 1 月 6 日、血友病 A の in vivo 遺伝子編集治療法の共同研究と開 発に関するオプションおよびライセンス契約を締結しました。詳細は 2seventy bio 社のプレスリリースをご確認ください (英文)。(https://ir.2seventybio.com/news-releases/news-release-details/2seventy-bio-announces-expandedcollaboration-agreement-novo)

# **Driving** | in rare **change** | disease



### 希少疾患事業本部について

希少疾患事業本部は、希少および超希少な血液疾患、内分泌疾患、および腎疾患における統合的な治療ソリューションや、既存の医薬品の新たな適応症の発見・開発を通じて、希少疾患とともに生きる人々のために科学的・技術的な革新を生み出すことに注力しています。以前はバイオファーマ事業本部と呼ばれていましたが、当社の戦略的方向性と新たな重点分野への取り組みを強調するため、この度、希少疾患事業本部に名称を変更しました。希少疾患事業本部では、世界中で3,300人以上の従業員が働いています。

#### 参照資料

- 1. Findacure. Rare diseases. Available at: https://www.findacure.org.uk/rare-diseases [Accessed January 2022]
- 2. Eurodis Rare Diseases Europe. What is a rare disease? Available at: https://www.eurordis.org/content/what-rare-disease [Accessed January 2022]
- 3. Bogart KR and Irvin VL. Health-related quality of life among adults with diverse rare disorders. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2017; 12:177. Available at: https://doi.org/10.1186/s13023-017-0730-1 [Accessed January 2022]
- 4. Editorial. Spotlight on rare diseases. The Lancet Diabetes & Endocrinology. 2019; 7(2)75. Available at: https://doi.org/10.1016/S2213-8587(19)30006-3 [Accessed January 2022]
- 5. Eurodis. EurodisCare2 Factsheet. Survey of the delay in diagnosis for 8 rare diseases in Europe ('EURODISCARE 2'). 2007. Available at:

https://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact\_Sheet\_Eurordiscare2.pdf [Accessed January 2022]

### ノボ ノルディスクについて

ノボ ノルディスクは、1923 年創立のデンマークに本社を置く世界有数のヘルスケア企業です。私たちのパーパスは、変革を推進し、糖尿病および肥満症、血液系希少疾患、内分泌系希少疾患などのその他の深刻な慢性疾患を克服することです。その目的達成に向け、科学的革新を見出し、医薬品へのアクセスを拡大するとともに、病気の予防ならびに最終的には根治を目指して取り組んでいます。ノボノルディスクは現在80カ国に約4万7,800人の社員を擁し、製品は約170カ国で販売されています。日本法人のノボノルディスクファーマ株式会社は1980年に設立されました。詳細はウェブサイトをご覧ください。(www.novonordisk.co.jp)