

## press release

### ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2022年6月20日

PRESS-22-17

本資料は、ノボ ノルディスク (デンマーク本社) が、6月12日に発表したプレスリリースを翻訳したもので、報道関係者の皆さまへ参考資料として提供するものです。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 ([novonordisk.com](http://novonordisk.com)) をご参照ください。本製剤の成長ホルモン分泌不全性低身長症の効能又は効果は、日本を含めて未承認です。

## 成長ホルモン分泌不全性低身長症における週1回治療の可能性がソグルーヤ®のデータにより示される

本日、成長ホルモン分泌不全性低身長症を対象としたソグルーヤ®皮下注 [一般名:ソマプシタン (遺伝子組換え)] の第3相臨床試験データが ENDO 2022 において示されました<sup>1</sup>

米国・ジョージア州 アトランタ、2022年6月12日 — 本日、ノボ ノルディスクは小児の成長の正常化(年間成長速度で評価)を目指す週1回投与のソグルーヤ®皮下注 [一般名:ソマプシタン (遺伝子組換え)]の結果を発表しました<sup>1</sup>。思春期前の成長ホルモン分泌不全性低身長症 患児を対象とした第3相臨床試験 (REAL 4) の結果は、本日の米国・ジョージア州アトランタで行われた米国内分泌学会年次集会 (ENDO 2022) で発表されました。

ミネソタ大学メソニック チルドレンズ ホスピタル小児内分泌科のブラッドリー ミラー医師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に対する既存の治療法は、長期にわたり毎日注射する必要があります。REAL 4の結果から、成長ホルモン分泌不全性低身長症に対する週1回注射の可能性が示されました。」

成長ホルモン分泌不全性低身長症は希少疾患であり、約3,500人~1万人に1人の小児が罹患していると推定されています<sup>2,3</sup>。幼少期から症状が見られることが多く、低身長や他の成長に関連する健康障害につながります<sup>5</sup>。

ノボ ノルディスクの開発部門 エグゼクティブ バイス プレジデントであるマーチン ランゲは次のように述べています。「私たちは第3相試験であるREAL 4の結果に胸を躍らせています。週1回投与のソグルーヤ®は、1日1回投与のノルディトロピン® [一般名:ソマトロピン (遺伝子組換え)] の効果と同様であることが示されました。ソグルーヤ®は、希少内分泌疾患コミュニティに対するノボ ノルディスクの取り組み、そしてあらゆる患者さんのニーズに対して革新的な治療ソリューションをお届けするという私たちのビジョンを示しています。」

### REAL 4試験について

REAL 4 (REversible ALbumin) 試験 (NCT03811535) は、現在進行中のREAL臨床研究プログラムに含まれており、成長障害の小児を対象に、ソグルーヤ®皮下注 [一般名:ソマプシタン (遺伝子組換え)] の有効性および安全性を評価するためにデザインされました<sup>7</sup>。

REAL 4試験は、無作為割付け、国際共同、非盲検、実薬対照、並行群間第3相試験であり、52週間の主要期間とそれに続く、3年間の延長期間で構成されています<sup>1</sup>。ヒト成長ホルモン製剤による治療歴がない思春期前の成長ホルモン分泌不全性低身長症患者200人（男児74.5%）をソグロージャ®皮下注0.16 mg/kg/週の週1回投与群（132例）と、ソマトロピン（販売名：ノルデイトロピン®）0.034 mg/kg/日（0.24mg/kg/週）の1日1回投与群（68例）に、2:1の比率で無作為に割り付けました<sup>1</sup>。本試験の主要期間の評価では、年間成長速度はソグロージャ®で11.2 cm/年、ノルデイトロピン®で11.7 cm/年であり、群間に有意差はみられませんでした。REAL 4の主要期間の結果に基づき、成長ホルモン分泌不全性低身長症患者においてソグロージャ®の週1回投与は、ノルデイトロピン®の1日1回投与と効果が同程度であることが示され、主要評価項目において非劣性が検証されました。高頻度で観察された主な有害事象（≥5%）は、頭痛、上咽頭炎、発熱、四肢痛、気管支炎および嘔吐でした<sup>1</sup>。

## 成長ホルモン分泌不全性低身長症について

成長ホルモン分泌不全性低身長症は体内の成長ホルモン分泌不全を特徴とする希少疾患です<sup>5</sup>。成長ホルモンは成長、筋力、骨力にとって必要不可欠であり、体内で血糖値や脂質値のコントロールを助けます<sup>4</sup>。成長ホルモン分泌不全性低身長症は成長の遅れ、低身長およびその他の健康上の問題を引き起こすことがあります<sup>5</sup>。

## ソグロージャ® [一般名：ソマプシタン（遺伝子組換え）]について

ソグロージャ®皮下注 [一般名：ソマプシタン（遺伝子組換え）] は、ヒト成長ホルモンアナログ製剤で、体内で作られる成長ホルモンに類似しており、成長ホルモンを十分に産生できない成人の治療に使用されています。ソグロージャ®は米国、欧州、日本、オーストラリアおよびサウジアラビアにおいて、成人成長ホルモン分泌不全症における内因性成長ホルモン補充療法として承認されています。成長ホルモン分泌不全性低身長症に対するソグロージャ®は開発試験での使用であり、当該疾患に対する効能又は効果は承認されていません<sup>8,9</sup>。

## 参照資料

<sup>1</sup> Bradley S. Miller et al Once-weekly Somapacitan is Effective and Well Tolerated in Children with GHD: a Randomized Phase 3 Trial - ENDO 2022, Poster 1, available June 11-14.

<sup>2</sup> Stanley T. Diagnosis of growth hormone deficiency in childhood. *Curr Opin Endocrinol Diabetes Obes.* 2012;19 (1) :47-52. doi:10.1097/MED.0b013e32834ec952

<sup>3</sup> Tornese G. 'Growth hormone deficiency' or rather 'short stature unresponsive to stimulation tests? Archives of Disease in Childhood Published Online First: 27 January 2022. doi: 10.1136/archdischild-2021-323426

<sup>4</sup> Reed M, Merriam G, Kargi A. Adult Growth Hormone Deficiency – Benefits, Side Effects, and Risks of Growth Hormone Replacement. *Front Endocrinol (Lausanne)* . 2013;4. doi:10.3389/fendo.2013.00064

<sup>5</sup> National Organization for Rare Disorders. Growth Hormone Deficiency. <https://rarediseases.org/rare-diseases/growth-hormone-deficiency/> Accessed April 2022.

<sup>6</sup> Greenhill, C. Once-weekly growth hormone. *Nat Rev Endocrinol* 13, 65 (2017) . <https://doi.org/10.1038/nrendo.2016.220>

<sup>7</sup> ClinicalTrials.gov. A Research Study in Children with a Low Level of Hormone to Grow. Treatment is Somapacitan Once a Week Compared to Norditropin® Once a Day (REAL4) (NCT03811535) . Available from: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03811535?term=REAL4&draw=2&rank=1>. Accessed: April 2022.

<sup>8</sup> Summary of Product Characteristics [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/sogroya-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/sogroya-epar-product-information_en.pdf) Accessed: April 2022.

<sup>9</sup> Sogroya® (somapacitan) US Prescribing Information. Available at: <https://www.novo-pi.com/sogroya.pdf>. Last accessed: June 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、希少血液疾患、希少内分泌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 9,300 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)