

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

2025 年 5 月 19 日

PRESS-25-16

本資料は、ノボ ノルディスク (デンマーク本社) が、5 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 \(novonordisk.com\)](https://novonordisk.com) をご参照ください。

週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) は成長障害の小児において有効かつ忍容性が良好な長時間作用型ヒト成長ホルモンアナログ製剤: 第 3 相バスケット試験である REAL8 試験の結果を 2025 ESPE/ESE (欧州小児内分泌学会および欧州内分泌学会) 合同学会で発表

- REAL8 試験では、SGA 性低身長症¹、ヌーナン症候群における低身長²、または特発性低身長症³の小児において、週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) は 1 日 1 回投与のノルデイトロピン® (ソマトロピン) と同様の臨床アウトカムおよび安全性プロファイルを示しました。
- 週 1 回投与のソマプシタンは、ヌーナン症候群における低身長の小児では 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に対し優越性を示し²、SGA 性低身長症の小児では低用量の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に対し優越性を示しました¹。
- これらの状態では、しばしば重大な健康上の課題と、毎日の注射による高い治療負担を伴うため⁴、アドヒアランスが低下し、良好な治療結果が得られなくなることがあります。ノボ ノルディスクは、自社の専門知識と科学的イノベーションを投入して、成長に影響を及ぼす状態にある小児の生活を改善することに尽力しています。

デンマーク・バウスヴェア、2025 年 5 月 12 日 — ノボ ノルディスクは本日、第 3 相バスケット試験である REAL8 試験のデータを発表しました。同試験では、思春期前の SGA 性低身長症¹、ヌーナン症候群による低身長²または特発性低身長症³の小児の年間成長速度 (52 週時の身長発育速度 [HV] で測定) の改善において、週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) が 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤ノルデイトロピン® (ソマトロピン) に対し非劣性であることが示されました。さらに、ヌーナン症候群における低身長の小児では 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に対するソグルーヤ®の優越性が示され²、SGA 性低身長症の小児では低用量の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に対するソグルーヤ®の優越性が示されました¹。

REAL8 試験のデータによると、ソグルーヤ®は忍容性が良好であり、1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤と比較して安全性または忍容性における問題は特定されませんでした¹⁻³。インスリン様成長因子-I (IGF-1) の反応は、週 1 回投与のソグルーヤ®投与例と 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤投与例とで同程度でした¹⁻³。REAL8 試験のターナー症候群サブ解析の結果は、本年後半に得られる予定です。現在得られているデータについては、デンマークのコペンハーゲンで開催された欧州小児内分泌学会 (ESPE) と欧州内分泌学会 (ESE) の第 1 回合同学会で 3 件の Late-breaking 演題として要旨が発表されました¹⁻³。

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

フランスのパリ サクレ大学ピセートル病院の小児科教授で REAL8 試験の試験責任医師の一人であるアニエス リングラール教授は次のように述べています。「成長が阻害されている小児は、単に仲間より背が低いというだけでなく、多くの健康上の問題に直面しています。代謝の乱れや発達上の困難を有することが多く、それが心身の健康や生活の質に深刻な影響を及ぼし、心血管疾患や 2 型糖尿病のリスク上昇という長期的な影響をもたらすこともあります。本日発表した REAL8 試験のデータは、治療の負担を軽減し、アドヒアランスと治療結果を改善する可能性のある、有効かつ週 1 回投与の治療選択肢をこれらの小児患者さんに提供することにおいて、重要な一歩前進となるものです。」

REAL8 試験は、最初の 3 つのサブスタディで主要評価項目を達成し、以下に示す 3 つの適応症すべてで、52 週時に週 1 回投与のソグルーヤ®の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に対する非劣性が示されました。

- **SGA 性低身長症の小児:**ソグルーヤ®は、低用量 (0.035 mg/kg/日) のソマトロピンに対し推定平均 HV で優越性を示し (11.0 vs 9.4 cm/年)、高用量 (0.067 mg/kg/日) のソマトロピンに対し推定平均 HV で非劣性を示しました (11.0 vs 11.1 cm/年)¹。
- **ヌーナン症候群における低身長の小児:**ソグルーヤ®は、ソマトロピンに対し推定平均 HV で優越性を示しました (10.4 vs 9.2 cm/年)²。
- **特発性低身長症の小児:**ソグルーヤ®は、1 日 1 回投与のソマトロピンに対し推定平均 HV で非劣性を示しました (10.5 vs 10.5 cm/年)³。

成長ホルモン製剤に対するアドヒアランス不良は一般的な問題であり、良好な治療結果が得られにくくなります。毎日の注射は小児と介護者にとって負担になる可能性があり、不快感や注射部位疼痛、不便さ、日常生活の乱れのためにアドヒアランスが不良になります⁵。ある試験では、アドヒアランスが不良な患者と良好な患者を比較したところ、1 日 1 回の注射をしそびれることで 3 年間で身長に 6.1 cm の差が生じることが示されました⁴。

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。「成長が阻害されている小児での転帰を改善するためには、治療のアドヒアランスが重要な問題となります。1 日 1 回投与の治療で 1 週間にたった一日でも注射をしそびれるとすると、1 年間で 52 回注射しなかったこととなります。7 年間の治療期間について考えると、1 年分の治療をしなかったことになり、小児の健康に対し連鎖的に大きな影響を及ぼす可能性があります。ノボ ノルディスクは、成長が阻害されている小児のニーズにより適った、投与のタイミングや投与をしそびれた場合に柔軟に対応できる成長ホルモン製剤のポートフォリオを提供することに力を注いでいます。REAL8 試験で得られた有望な結果は、この取り組みの達成に向けた大きな一歩といえます。」

2025 年 4 月、REAL8 試験および REAL9 試験のデータに基づき、ソグルーヤ®の 3 つの適応症 (SGA 性低身長症、ヌーナン症候群における低身長、および特発性低身長症) について、欧州および米国の規制当局に承認申請を提出しました。

REAL8 試験について

REAL8 試験は現在進行中の REAL 臨床試験プログラムの一部であり、SGA 性低身長症、ターナー症候群における低身長、ヌーナン症候群における低身長または特発性低身長症の小児を対象として、週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) の有効性および安全性を評価する無作為化、非盲検、実薬対照、並行群間比較、第 3 相試験です。主要投与期間は 52 週間で、その後に 2 年間の安全性延長期間を設けています⁶。

REAL8 試験は革新的なバスケット試験デザインであり、1 つの治療実施計画書の下で、異なるが関連性のある 4 種類の適応症 (SGA 性低身長症、ターナー症候群における低身長、ヌーナン症候群における低身長および特発性低身長症) で週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) について検討するものです⁶。このような

試験デザインとすることで、被験者登録の迅速化と資源の集約化により臨床開発プロセスが効率化され⁷、これらの病態の患者さんにより早く治療薬を届けられる可能性があります。成長障害の領域でこの種の試験デザインを実現したのは、これが初めてです。

REAL8 試験では、思春期前のヌーナン症候群における低身長、ターナー症候群における低身長または特発性低身長症の小児をソグルーヤ® (ソマプシタン) 0.24 mg/kg/週の週 1 回投与またはソマトロピン 0.050 mg/kg/日の 1 日 1 回投与に無作為に割り付け、SGA 性低身長症の小児はソマプシタン 0.24 mg/kg/週、低用量ソマトロピン (0.035 mg/kg/日)、または高用量ソマトロピン (0.067 mg/kg/日) のいずれかに無作為に割り付けました⁶。

REAL9 試験について

REAL9 試験は現在進行中の REAL 臨床試験プログラムの一部であり、SGA 性低身長症、ターナー症候群における低身長、ヌーナン症候群における低身長または特発性低身長症の 10 歳以上の小児を対象として、週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) の有効性および安全性を評価する単群割付け第 3 相試験です。試験期間は約 3 年間となります⁸。

週 1 回投与のソグルーヤ®について

週 1 回投与のソグルーヤ® (ソマプシタン) は、ヒト成長ホルモンアナログ製剤で、現在の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤に類似しています。現時点では、成長ホルモンを十分に産生できない小児および成人に対する週 1 回投与の治療薬として承認されています^{9,10}。アルブミン結合長期化技術を利用することで、血中タンパク質であるアルブミンに結合したソグルーヤ®の体内からの消失が遅延します。この技術は十分確立されており、ノボ ノルディスクの糖尿病治療薬で既に 20 年以上にわたり利用されています。この技術により、この成長ホルモン製剤の作用を長時間持続させることができます¹¹。

参照資料:

1. Linglart A, Bottcher V, Rassmussen MH, *et al.* Weekly Somapacitan is Effective and Well-Tolerated in Children Born Small for Gestational Age: Randomised Phase 3 Trial. Oral presentation presented at the Joint Congress of ESPE and ESE 2025; 10-13 May 2025; Bella Center, Copenhagen, Denmark. JOINT4131.
2. Jorge A, Albanese A, Rassmussen MH, *et al.* Weekly Somapacitan is Effective and Well-Tolerated in Children with Noonan Syndrome: Randomised Phase 3 Trial. Poster presentation presented at the Joint Congress of ESPE and ESE 2025; 10-13 May 2025; Bella Center, Copenhagen, Denmark. JOINT4118.
3. Abuzzahab J, Dauber A, Rassmussen MH, *et al.* Weekly Somapacitan is Effective and Well-Tolerated in Children with Idiopathic Short Stature: Randomised Phase 3 Trial. Oral presentation presented at the Joint Congress of ESPE and ESE 2025; 10-13 May 2025; Bella Center, Copenhagen, Denmark. JOINT4048.
4. Loftus J, Miller BS, Parzynski CS, *et al.* Association of Daily Growth Hormone Injection Adherence and Height Among Children With Growth Hormone Deficiency. *Endocr Pract.* 2022;28:565-571.
5. Brod M, Hojbjerre L, Alolga SL, *et al.* Understanding Treatment Burden for Children Treated for Growth Hormone Deficiency. *Patient.* 2017;10:653-666.
6. ClinicalTrials.gov. NCT05330325. A Research Study to Compare Somapacitan Once a Week With Norditropin® Once a Day in Children Who Need Help to Grow (REAL 8). Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05330325>. Last accessed: May 2025.
7. Definitive Healthcare. Basket trial. Available at: <https://www.definitivehc.com/resources/glossary/basket-trial>. Last accessed: April 2025.
8. ClinicalTrials.gov. NCT05723835. A Research Study Looking at How Safe Somapacitan is and How Well it Works in Children Who Need Help to Grow - REAL 9 (REAL 9). Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05723835>. Last accessed: May 2025.

9. Sogroya® (somapacitan): SmPC. 2025 [online] Available at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/sogroya-epar-productinformation_en.pdf Last accessed: May 2025.
10. Sogroya® (somapacitan-beco injection) US PI. 2025 [online] Available at: <https://www.novopi.com/sogroya.pdf> Last accessed: May 2025.
11. Johansson E, Nielsen AD, Demuth H, *et al.* Identification of Binding Sites on Human Serum Albumin for Somapacitan, a Long-Acting Growth Hormone Derivative. *Biochemistry*. 2020;59:1410-1419.

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、糖尿病で培った知識や経験を基に、変革を推進し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77,400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)

本資料は、本町記者会へ配布させていただきます。