

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 7 月 30 日

PRESS-25-34

週 1 回投与の長時間作用型ヒト成長ホルモンアナログ製剤「ソマプシタン (遺伝子組換え)」について、骨端線閉鎖を伴わない SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長の効能追加を承認申請

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社 (代表取締役社長: キヤスパー ブッカ マイルヴァン、本社: 東京都千代田区) は、週 1 回皮下投与の長時間作用型ヒト成長ホルモンアナログ製剤である「ソマプシタン (遺伝子組換え)」(以下、ソマプシタン) について、本日、骨端線閉鎖を伴わない SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長の効能追加を厚生労働省に申請しました。

ソマプシタンは、長時間作用型遺伝子組換えヒト成長ホルモン (hGH) アナログであり、内因性アルブミンとの可逆的な非共有結合により血中からの消失が遅延することで、作用持続時間が延長します。ソマプシタンは、「ソグルーヤ®皮下注 5mg」、「ソグルーヤ®皮下注 10mg」および「ソグルーヤ®皮下注 15mg」(以下、ソグルーヤ®皮下注) の販売名で、「成人成長ホルモン分泌不全症 (重症に限る)」の効能又は効果では 2021 年 1 月に製造販売承認を取得し、同年 12 月にソグルーヤ®皮下注 5mg、同 10mg を発売、また「骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症」では 2023 年 6 月に製造販売承認を取得し、2024 年 2 月にソグルーヤ®皮下注 15mg を発売しています。

今回効能追加として申請をした SGA 性低身長症は、出生時の体重および身長がともに在胎週数相当の 10 パーセンタイル未満であり、かつ出生時の体重あるいは身長のいずれかが在胎週数相当の「標準値-2 標準偏差 (SD)」未満であることと定義され、小児期から成人まで身長が低いことが特徴です。

また、ヌーナン症候群は、主に常染色体顕性遺伝の疾患で、遺伝子に変異がみられます。また、低身長を呈することが多く、小児期を通して成長速度の低下が高頻度でみられます。

これら 2 つの低身長患児に対する治療の多くは、毎日の皮下注射を必要とする hGH 製剤です。海外では hGH 製剤の 1 日 1 回注射開始後 1 年間で、66% の小児でアドヒアランス不良が報告されています¹。ソマプシタンは週 1 回の注射であることから、1 日 1 回投与の hGH 製剤より注射回数を大幅に減らすことができます。このような背景から、この度、既承認の「成人成長ホルモン分泌不全症 (重症に限る)」、「骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症」に続き、「骨端線閉鎖を伴わない SGA 性低身長症」および「骨端線閉鎖を伴わないヌーナン症候群における低身長」の効能追加を申請しました。

今回の効能追加承認申請は、216 人の SGA 性低身長症患児および 90 人のヌーナン症候群における低身長患児、合わせて 306 人を対象に実施した臨床試験プログラム (REAL) の結果に基づいています。REAL プログラム全体を通じて、ソマプシタンの有効性、忍容性および安全性はノルディトロピン® (ノボ ノルディスクの hGH 製剤) と同様でした。

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

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社 コーポレート バイスプレジデント 開発本部 本部長のマルチン ジヒマは次のように述べています。「日本で販売されているソグルーヤ®皮下注に、新たに骨端線閉鎖を伴わない SGA 性低身長症および骨端線閉鎖を伴わないヌーナン症候群における低身長の効能追加承認申請が行われたことを大変嬉しく思います。骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症の患者さんと同様に、週 6~7 回の注射で治療されている小児の患者さんやそのご家族にとって、週 1 回の注射で低身長治療が可能になるということは、日々の注射の苦痛から生じるアドヒアランスの低下、それに伴う治療効果の低減という重要な臨床上の課題を解決することができます。私たちはソマプシタンに新しく小児の 2 つの効能を追加し、低身長の治療およびそれに伴う QOL の向上に貢献していきたいと考えております。」

ソマプシタンについて

ソマプシタンは、hGH を単一置換したアミノ酸骨格とアルブミン結合部位からなり、アルブミン結合部位 (側鎖) は、親水性のスペーサーおよび 16 鎖の脂肪酸部位から構成され、化学結合によりアミノ酸骨格の 101 位に結合しています。内因性アルブミンとの可逆的な非共有結合によりソマプシタンの消失が遅延し、その結果、in vivo での半減期および作用持続時間が延長します。

REAL: SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長患者を対象とした臨床試験について

SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長患者を対象とした REAL は、第 2 相臨床試験と第 3 相臨床試験の 3 つの国際共同試験で構成されています。これまでに REAL に参加した患者は、SGA 性低身長症で 216 人 (第 2 相試験: 日本人 17 人を含む 62 人、第 3 相試験: 日本人 16 人を含む 154 人)、ヌーナン症候群における低身長で 90 人 (日本人 9 人を含む) になります。

検証的な第 3 相臨床試験

SGA 性低身長症患者 142 人およびヌーナン症候群における低身長患者 77 人を対象に、52 週間投与におけるソマプシタンの効果および安全性についてノルディトロピン®との比較を行いました。主要評価項目である投与後 52 週の成長速度の平均の推定値は、SGA 性低身長症ではソマプシタン群およびノルディトロピン®高用量群で、それぞれ、11.0 cm/年および 11.1 cm/年であり、ヌーナン症候群における低身長ではソマプシタン群およびノルディトロピン®中用量群で、それぞれ、10.4 cm/年および 9.2 cm/年であり、成長速度についてソマプシタンのノルディトロピン®に対する非劣性が各疾患で検証されました。なお、SGA 性低身長症では、ノルディトロピン®低用量群での平均の推定値は 9.4 cm/年であり、ソマプシタンのノルディトロピン®低用量に対する優越性が示されています。その他成長に関連するパラメータ (成長速度 SD スコアおよび身長 SD スコア) の変化量について、SGA 性低身長症ではソマプシタン群とノルディトロピン®低用量群およびヌーナン症候群における低身長ではソマプシタン群とノルディトロピン®中用量群で統計的な有意差がみられました。ソマプシタンの安全性プロファイルはノルディトロピン®と同様であり、臨床的に問題となる新たな安全性上の所見または局所忍容性の問題は認められませんでした。

SGA 性低身長症について

SGA は出生時の大きさで評価され、出生時の体重および身長がともに在胎週数相当の 10 パーセンタイル未満であり、かつ出生時の身長または体重が在胎週数および性別の平均を 2SD スコア以下回る状態 (すなわち、-2 SD スコア未満) と定義されます。そのうち約 85~90%は、2 歳までに平均の -2 SD スコアを超える正常な体重および身長に追いつきますが、残りの 10~15%は目標身長よりも低いままであり、予測される身長と比較して低い最終成人身長を特徴とします。

ヌーナン症候群における低身長について

ヌーナン症候群は、主に常染色体顕性遺伝の疾患で、RAS/MAPK シグナル伝達経路の遺伝子変異 (PTPN11、SOS1、RAF1、KRAS など) が発症原因とされています。特徴的な顔貌をもち、先天性心疾患 (特に肺動脈弁狭窄、肥大型心筋症など) の心疾患を併発することがあります。また、低身長を呈することが多く (50~70%)、小児期を通して成長速度の低下が高頻度でみられ、予測される身長と比較して低い最終成人身長を特徴とします。

参照資料

1. Geisler A, Lass N, Reinsch N, Uysal Y, Singer V, Ravens-Sieberger U, et al. Quality of life in children and adolescents with growth hormone deficiency: association with growth hormone treatment. Horm Res Paediatr. 2012;78(2):94-9.

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)