

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

2026 年 6 月 19 日

「ソグルーヤ®」、SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長に対し、初の長時間作用型成長ホルモン製剤として承認取得

週 1 回投与により、患者さんとご家族の治療負担軽減に貢献

- 「ソグルーヤ®」が、SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長の承認を取得し、長時間作用型成長ホルモン製剤としてさらに幅広い適応症を有する製剤に
- 「ソグルーヤ®」は週 1 回投与製剤であり、毎日の注射に伴う負担の軽減と、無理のない治療継続が期待
- 既存の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤と同等の有効性および安全性が確認され、SGA 性低身長症においては低用量群 (0.035mg/kg/日) との比較で優越性が確認

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社 (代表取締役社長:小谷 啓輔、本社:東京都千代田区) は 6 月 19 日、長時間作用型ヒト成長ホルモンアナログ製剤「ソグルーヤ®」(一般名:ソマプシタン(遺伝子組換え))について、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」の適応を取得したことをお知らせします。

これまでソグルーヤ®は、成長ホルモン分泌不全性低身長症 (GHD) などの治療に用いられてきましたが、今回新たに小児に対する 2 つの効能が加わることで、より多くの患者さんに対し、週 1 回投与という新たな治療選択肢を提供できる可能性が広がります。なお、臨床試験では既存の 1 日 1 回投与製剤と同等の有効性および安全性が示されるとともに、SGA 性低身長症においては低用量群との比較で優越性が示されています。

SGA 性低身長症は、出生時の体格が在胎週数に対して小さく、その後も成長が追いつかない疾患です。また、ヌーナン症候群は遺伝的要因により発症し、低身長に加え、心疾患など様々な合併症を伴うことが知られています。

低身長の治療においては、成長ホルモン治療の継続が重要とされる一方で、毎日の注射は患者さんやご家族にとって負担が大きく、治療の継続 (アドヒアランス) の低下につながるものが課題となっていました。ソグルーヤ®は週 1 回投与という特徴を有しており、注射回数を大幅に減らすことで、治療の継続および生活の質の改善が期待されます。

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社 取締役 開発本部長のマルチン ジヒマは次のように述べています。
「この度、ソグルーヤ®に SGA 性低身長症およびヌーナン症候群における低身長という新たな適応が加わったことを嬉しく思います。今回の承認は、希少疾患に変革をもたらすという私たちの使命の実現に向けた重要な一歩です。週 1 回投与という選択肢が加わることで、患者さんの毎日の注射による負担を軽減し、治療継続につながることを期待されます。私たちは今後も、成長障害を抱える子どもたちとご家族の QOL 向上に貢献してまいります。」

本適応拡大は、SGA 性低身長症患者 216 例およびヌーナン症候群患者 90 例を含む臨床試験プログラム (REAL) に基づいています。REAL プログラム全体を通じて、ソグルーヤ®は主要評価項目である成長速度において、既存の 1 日 1 回投与の成長ホルモン製剤であるノルデイトロピン® (ノボ ノルディスクの hGH 製剤) と同等の結果を示し、安全性についても新たな懸念は認められませんでした。さらに SGA 性低身長症では低用量群との比較で優越性が示されました。

■ SGA 性低身長症について

SGA は出生時の大きさで評価され、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、出生時の身長または体重が在胎週数相当の-2 標準偏差 (SD) 未満であることと定義されます。約 85～90%は 2 歳までに正常範囲に追いつきますが、約 10～15%は小児期以降も低身長が持続します。

■ 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あり、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。特徴的な顔貌や先天性心疾患 (特に肺動脈弁狭窄、肥大型心筋症など) を伴うことがあり、50～70%で低身長が認められ、小児期を通して成長速度の低下が高頻度で見られます。

製品概要

販売名	ソグルーヤ®皮下注5mg、ソグルーヤ®皮下注10mg、ソグルーヤ®皮下注15mg
一般名	ソマプシタン (遺伝子組換え)
効能又は効果 用法及び用量 (<u>下線部追加</u>)	<ul style="list-style-type: none"> 成人成長ホルモン分泌不全症 通常、ソマプシタン (遺伝子組換え) として1.5mgを開始用量とし、週1回、皮下注射する。なお、開始用量は患者の状態に応じて適宜増減する。その後は、患者の臨床症状及び血清インスリン様成長因子-I (IGF-I) 濃度等の検査所見に応じて適宜増減するが、最高用量は8.0mgとする。

	<ul style="list-style-type: none"> 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 通常、ソマプシタン (遺伝子組換え) として0.16mg/kgを、週1回、皮下注射する。 骨端線閉鎖を伴わないSGA性低身長症 骨端線閉鎖を伴わないヌーナン症候群における低身長 通常、ソマプシタン (遺伝子組換え) として0.24mg/kg を、週1回、皮下注射する。
承認年月日	2021年1月22日 (ソグルーヤ®皮下注5mg、ソグルーヤ®皮下注10mg) 2023年6月26日 (ソグルーヤ®皮下注15mg)
効能又は効果承認日 (<u>下線部追加</u>)	2021年1月22日 成人成長ホルモン分泌不全症 (重症に限る) 2023年6月26日 骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長 2026年6月19日 骨端線閉鎖を伴わないSGA性低身長症 骨端線閉鎖を伴わないヌーナン症候群における低身長
製造販売元	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

効能又は効果、用法及び用量についての詳細は添付文書をご参照ください。

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児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児を対象とした REAL は、第 2 相臨床試験と第 3 相臨床試験の 3 つの国際共同治験で構成されています。これまでに REAL に参加した患児は、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 性低身長症患児 142 人およびヌーナン症候群における低身長患児 77 人を対象に、52 週間投与におけるソグルーヤ®の効果および安全性についてノルデイトロピン®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 性低身長症ではソグルーヤ®群およびノルデイトロピン®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グルーヤ®群およびノルデイトロピン®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グルーヤ®のノルデイトロピン®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、ノルデイトロピン®低用量群での平均の推定値は 9.4 cm/年であり、ソグルーヤ®のノルデイトロピン®低用量に対する優越性が示されています。

ソグルーヤ®の安全性プロファイルはノルデイトロピン®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。

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 67,900 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。 <https://www.novonordisk.co.jp>