

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2月18日
PRESS-25-06

本資料は、ノボ ノルディスク (デンマーク本社) が、2月7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) をご参照ください。本製剤は日本を含めて現在開発中であり、未承認です。

週1回投与の Mim8、インヒビターを保有するまたは保有しない血友病 A の小児患者において、良好な忍容性と有効性を示す

EAHAD 2025 において発表された、第3相試験である FRONTIER 3 試験の中間解析データから、週1回の Mim8 定期投与を受けた小児患者の 74.3%で治療を要する出血が生じなかったことが示された

デンマーク・バウスヴェア、2025年2月7日 — ノボ ノルディスクは本日、インヒビターを保有するまたは保有しない先天性血友病Aの小児 (1~11歳) 患者70人を対象とした第3相試験FRONTIER 3試験の中間解析結果を発表しました。同試験では、まず治験薬Mim8の週1回投与による出血予防治療 (長期間の自然出血を抑制する定期投与) について評価した上で、26週間後に月1回投与に変更するオプションを患者に提示しました。本データは、イタリア・ミラノで開催された第18回欧州血友病学会 (EAHAD 2025) において発表されました。

今回の中間解析データから、インヒビターを保有するまたは保有しない先天性血友病Aの小児患者において、Mim8の良好な忍容性と有効性が示されました。FRONTIER 3試験のパート1では、先天性血友病A患者に対し、26週間にわたり、Mim8の週1回皮下投与を実施しました。パート2では、続く26週間にわたり、週1回投与を継続する、または月1回投与に変更するオプションを患者に提示しました。中間解析では、同試験のパート1終了時点の結果に加え、今回の解析後に継続して実施されたパート2からの予備的データの一部も報告されています。

同試験のパート1で週1回の定期投与を受けた小児患者において、治療を要する出血の年換算出血率 (ABR) の平均 (推定値) は0.53でした。ABRの中央値 (データセットの中央の値) は0であり、被験者の74.3%で治療を要する出血は生じませんでした。インヒビターを保有する先天性血友病Aの小児 (n=14) では、治療を要する出血が報告された患者はいませんでした。同試験の前半26週間 (パート1) の終了後には、患者の45%が Mim8の月1回投与に移行し、55%の患者は週1回投与を継続しました。

ウィットウォーターズランド大学 (南アフリカ・ヨハネスブルグ) シャーロット マクセケ ヨハネスブルグ病院血友病総合ケアセンター長であり、FRONTIER 3試験の主任研究者でもあるジョニー マーラング教授は次のように述べています。「血友病Aの小児患者さんに対する血友病の管理は、継続的なケアを提供しつつ、学校を休む時間を最小限に抑えらるとともに、心と体、社会的な健康を最適な状態に維持するという複雑なバランスを要する作業になることがあります。FRONTIER 3試験の中間解析データは、小児患者さんのご家族を勇気づけるものであり、Mim8が小児患者さんにとって有効かつ利便性が高く、柔軟な投与オプションを提供する治療

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

薬となる可能性を示しています。Mim8により、患者さんとそのご家族の治療の負担を軽減し、これまで以上に普通の生活を送るための一助となるでしょう。」

またMim8の週1回投与を実施したFRONTIER 3試験のパート1より、患者さんと親 / 介護者が報告したアウトカムに関するデータも発表されています。Mim8により、インヒビターを保有するまたは保有しない血友病Aの小児患者における治療の負担が軽減し、身体機能と生活の質 (QoL) が改善されることが示唆されました。26週目には、98%の親 / 介護者が以前の治療よりもMim8による治療を選好すると報告しています。またそのうち73%は、以前の治療よりもMim8による治療を「非常に強く」選好すると報告しています。さらに26週目には、平均身体機能スコア (ランニングなどの身体活動を毎日実施する小児の能力の評価基準) と平均総QoLスコアがベースラインと比較して改善する傾向が見られました。

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 ヘルフゴットは、次のように述べています。「私たちは、血友病Aの小児患者さんとそのご家族 / 介護者が日々課題に直面する様子を目にしてきました。FRONTIER 3試験のデータは、治療管理と生活の質を犠牲にすることなく、安全性と有効性の双方を等しく重視した治療オプションを提供するという当社の野心的な目標に向けてまた一歩前進したことを示しています。Mim8は、それぞれのライフスタイルに応じた柔軟な治療を可能にすることを目的として開発されています。したがって、患者さんや親 / 介護者がそれぞれ、Mim8による治療が過去の治療よりも好ましいと回答されたことは励みとなります。ノボ ノルディスクでは、希少出血疾患コミュニティに対する公約を果たすべく、血友病とともに生きる子どもたちとそのご家族の生活における制約を軽減するために全力で取り組んでいます。」

ノボ ノルディスクでは、2025年以内に欧米の規制当局にMim8の製造販売承認申請を行う予定です (日本における承認申請は未定です)。継続中のFRONTIER第3相臨床開発プログラムから得られたデータは、2025年と2026年に予定されている学会や論文で公開される予定です。

血友病について

血友病は止血に必要なプロセスである血液凝固能に異常が生じる希少疾患です。世界中で血友病患者数は約 112 万 5,000 人と推定されています¹。X 連鎖性潜性遺伝 (劣性遺伝) に関連した希少疾患という性質のため、女性よりも男性に多くみられ、世界中で血友病と診断される方のうち、およそ 88%は男性です^{2,3}。血友病には異なるタイプがあり、機能が低下している、あるいは欠乏している凝固因子の種類によって特徴づけられます。血友病 A は血液凝固第 VIII 因子 (FVIII) が欠乏あるいは機能が低下していることで引き起こされます。

Mim8について

Mim8は、インヒビターを保有するまたは保有しない血友病A患者さんに対し、週1回、2週に1回、または月1回の定期投与による持続的な出血抑制を目的として開発された、第VIIIa因子 (FVIIIa) 機能を代替するバイスペシフィック抗体治療薬です。皮下投与すると、Mim8は第IXa / X因子を架橋します。この作用は第VIII因子の機能を代替します。これにより、体内のトロンビン産生能が回復して、血液凝固が促進されます。血友病Aの患者さんのMim8の使用は試験段階にあり、全世界で規制当局による承認を取得した地域や販売されている地域はありません。

FRONTIER 3試験について

FRONTIER 3試験は、血友病Aの小児患者70人 (年齢1~11歳) におけるMim8定期投与の有効性と安全性プロファイルを評価した第3相臨床試験です。被験者には、インヒビターを保有する患者さん (n=14) とインヒビターを保有しない患者さん (n=56) が含まれています⁴。同試験は2つのパートで構成されています。

- パート1: すべての被験者に対し、26週間にわたり、皮下へのMim8の定期投与を週1回実施^{4,5}。
- パート2: その後の26週間について、Mim8の月1回の定期投与への変更、またはMim8の週1回の定期投与の継続を被験者が選択^{4,5}。

FRONTIER 3試験では過去の試験と同様に、Mim8に関して、安全性に関する重要な懸念（死亡、血栓塞栓性事象、または治療に起因する重篤な有害事象）や、中和活性を有する抗薬物抗体（ADA）の臨床的なエビデンスは観察されていません。注射部位反応 が報告された割合は、全注射の1%未満に留まっています。

FRONTIER第3相臨床開発プログラムでは、インヒビターを保有するまたは保有しない血友病A患者さんを対象として、Mim8定期投与による出血傾向の抑制効果を検討する治験を実施しています。第3相プログラムには、FRONTIER 2試験⁶、FRONTIER 3試験⁴、FRONTIER 4試験⁷、FRONTIER 5試験⁸があります。

参照資料:

1. Iorio A, Stonebraker JS, Chambost H, et al. Data and Demographics Committee of the World Federation of Hemophilia. Establishing the Prevalence and Prevalence at Birth of Hemophilia in Males: A Meta-analytic Approach Using National Registries. *Annals of Internal Medicine* 2019;171(8):540-546.
2. Centers for Disease Control and Prevention. What is Hemophilia? Available at: https://www.cdc.gov/hemophilia/about/?CDC_AAref_Val=https://www.cdc.gov/ncbddd/hemophilia/facts.html. Last accessed: January 2025.
3. Statista. Distribution of people with bleeding disorders worldwide in 2020, by gender. Available at: <https://www.statista.com/statistics/495675/percentager-of-people-with-bleeding-disorders-in-worldwide-bygender>. Last accessed: January 2025.
4. ClinicalTrials.gov. A Research Study Looking at Mim8 in Children With Haemophilia A With or Without Inhibitors. Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05306418> Last accessed: January 2025.
5. Matytsina I, Clausen WHO, Nissen SM, et al. Overview of the Mim8 FRONTIER clinical development program. Poster presented at the WFH 2022 World Congress. Available at: https://www.postersessiononline.eu/173580348_eu/congresos/WFH2022/aula/-PO_17_WFH2022.pdf Last accessed: January 2025.
6. ClinicalTrials.gov. A Research Study Investigating Mim8 in Adults and Adolescents With Haemophilia A With or Without Inhibitors. Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05053139> Last accessed: January 2025.
7. ClinicalTrials.gov. A Research Study Looking at Long-term Treatment With Mim8 in People With Haemophilia A (FRONTIER4). Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05685238> Last accessed: January 2025.
8. ClinicalTrials.gov. A Research Study Looking at How Safe it is to Switch From Emicizumab to Mim8 in People With Haemophilia A (FRONTIER5). Available at: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05878938> Last accessed: January 2025.

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76,300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)