

2026 年 1 月 15 日

報道関係者各位

先端巨大症および下垂体性巨人症患者を対象とした「Paltusotine (SK-5307)」の 国内第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験における治療Ⅰ期のトップライン結果について

本プレスリリースに含まれている医薬品（開発中のものを含む）情報は、企業情報の開示を目的とするものであり、医薬品の宣伝、広告等や医学的アドバイスを目的とするものではありません。また、これらの記述は、当社が現時点で入手可能な情報から得られた判断に基づいており、リスクや不確実性を含んでいます。実際の結果等は、様々な要素によりこれらの記述と異なる可能性があることを予めご了承ください。

株式会社三和化学研究所（本社／愛知県名古屋市、代表取締役社長／磯野修作、スズケングループ、以下「当社」）は、米国の Crinetics Pharmaceuticals, Inc.（本社：米国カリフォルニア州サンディエゴ、以下、「Crinetics 社」）との間で 2022 年 2 月 28 日に Paltusotine（開発コード：SK-5307）について、先端巨大症および神経内分泌腫瘍（カルチノイド症候群合併型を含む）を対象とした日本国内における独占的な開発・商業化権に関するライセンス契約を締結し、開発を進めています。この度、日本国内で実施中の先端巨大症および下垂体性巨人症患者を対象とした第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験（PA9001 試験）治療Ⅰ期（12 週間）の速報としてトップライン結果を得ましたので、お知らせいたします。

本試験では、先端巨大症および下垂体性巨人症患者 34 名を Paltusotine 20mg、40mg 又は 60mg を投与する群へ無作為に割り付け、1 日 1 回 12 週間投与した際の有効性および安全性について検討しました。本試験での主要評価項目は、IGF-1^{※1} のベースラインからの変化量とし、また副次的評価項目には、IGF-1 が正常化した患者の割合などが含まれています。

今回得られたトップライン結果では、先端巨大症および下垂体性巨人症患者における Paltusotine の有効性を確認することができました。本試験での主要評価項目において、ベースラインからの IGF-1 の迅速かつ持続的な減少が認められたとともに、多くの患者で IGF-1 が正常化しました。本試験における Paltusotine の安全性については、特筆すべき懸念および問題はなく、忍容性は良好であることが確認されました。また、これらの結果は、海外第Ⅲ相臨床試験（CRN00808-08 試験など）^{※2}で示されたものと同程度でした。

本結果を受け、当社では、日本における早期の承認申請に向けた準備を進めており、今後、学会又は論文発表で本試験の詳細な結果を公表する予定です。当社は、Paltusotine の開発を通じて本邦初の経口投与可能なソマトスタチン受容体（SSTR）作動薬という新たな治療選択肢を患者さんに提供し、QOL（Quality of Life）の向上に貢献することを目指してまいります。

現在、Paltusotine は米国において PALSONIFY™として先駆けて承認されていますが、日本を含めた他の国々では承認されていません。Crinetics 社は欧州連合(EU)での上市に向けた承認申請を既に行っており、現在審査中です。

*1 IGF-1 は、肝臓から分泌される Insulin-like Growth Factor-1 (インスリン様成長因子-1) のことで、内分泌専門医が先端巨大症の管理において使用する主要なバイオマーカーです。一般的に、先端巨大症および下垂体性巨人症の患者は、IGF-1 値が高値になるため、それを低下させることが治療戦略として重要になります。

*2 Crinetics' Once-Daily Oral Paltusotine Achieved the Primary and All Secondary Endpoints in the Phase 3 PATHFNDR-2 Study in Acromegaly Patients – March 19, 2024

<https://crinetics.com/crinetics-once-daily-oral-paltusotine-achieved-the-primary-and-all-secondary-endpoints-in-the-phase-3-pathfndr-2-study-in-acromegaly-patients/>

【先端巨大症について】

先端巨大症は、一般に成長ホルモンの分泌を促進する良性の下垂体腺腫が下垂体に発生することに起因する重篤な疾患です。過剰に分泌された成長ホルモンは、肝臓から IGF-1 の分泌を促進します。過剰に分泌されたこれらのホルモンは、手足の異常成長や顔貌変化、関節炎、手根管症候群、関節痛、声帯の肥大に伴う声の低音化、疲労、睡眠時無呼吸、心臓、肝臓およびその他臓器の肥大化、ならびに糖代謝および脂質代謝の変化といった先端巨大症の症状や所見を生じさせます。治療については、大部分の先端巨大症患者において下垂体腺腫の外科的除去が第一選択とされています。一方、外科的治療の対象とならない患者および外科的治療で治療目標に到達できない患者に対しては、薬物治療が考慮されます。薬物治療としては、4 週間毎に 1 回投与の注射剤である長時間作用型 SSTR 作動薬が標準的な治療薬として広く使用されています。

【Paltusotine について】

Paltusotine は選択的 SSTR2 作動薬であり、外科的処置で効果が不十分な場合または外科的処置が選択肢とならない成人先端巨大症の治療において、米国で承認された世界初の 1 日 1 回経口投与可能な低分子の治療薬です。本剤は、Crinetics 社により、先端巨大症患者および神経内分泌腫瘍に伴うカルチノイド症候群患者に対して 1 日 1 回経口投与の治療選択肢を提供するために探索および設計されました。

【株式会社三和化学研究所について】

三和化学研究所は、日本有数の医薬品卸企業であるスズケンの子会社であり、愛知県名古屋市に本社があります。医薬品の研究開発から販売までを担うことができる製薬企業であり、主に糖尿病、腎臓領域で医療用医薬品や診断薬を提供しています。三和化学研究所は、「人にやさしい“くすり”を世界の人々に」を企業理念とし、患者さんの QOL (Quality of Life) の向上に貢献する医薬品を開発し、患者さんにお届けすることを使命としています。

【Crinetics Pharmaceuticals について】

Crinetics 社は、患者のニーズに根ざした科学を通じて内分泌疾患および内分泌関連腫瘍の治療を変革することを使命とする世界的に事業を展開する製薬企業です。Crinetics 社は、特異的に設計された薬理

学的特性を持つ低分子化合物による G タンパク質共役受容体 (GPCR) 標的化を中心技術とし、新規治療法の創出、開発、商業化に注力しています。

Crinetics 社の主力製品である PALSONIFY™ (Paltusotide) は、外科的処置による効果が不十分な場合、または外科的処置が選択肢とならない成人の先端巨大症患者に対する治療薬として、米国 FDA が承認した初の 1 日 1 回経口投与治療薬です。Paltusotide は神経内分泌腫瘍に伴うカルチノイド症候群の治療薬としても臨床開発中です。Crinetics 社が公開している 10 以上の豊富なパイプラインには、先天性副腎過形成症および ACTH 依存性クッシング症候群を対象とした後期開発段階の治験候補薬 Atumelant が含まれます。その他探索段階のプログラムでは、神経内分泌腫瘍、バセドウ病（バセドウ甲状腺機能亢進症およびバセドウ眼症を含む）、多発性嚢胞腎、副甲状腺機能亢進症、糖尿病、肥満症、GPCR を標的とするがん治療適応症など、多様な内分泌疾患を対象としています。

以上

＜リリースに関するお問い合わせ先＞

株式会社三和化学研究所 経営戦略部 C S R 広報グループ TEL052-951-8130