

2026 年 7 月 30 日

報道関係者各位

先端巨大症及び下垂体性巨人症患者を対象とした「Paltusotine(SK-5307)」の国際内分泌学会議/ 日本内分泌学会学術総会における国内第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験(治療Ⅰ期)結果発表について

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、Paltusotine（開発コード：SK-5307）について、日本国内で実施された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）の有効性及び安全性が学会発表されたことをお知らせいたします。

当該データは、2026 年 6 月 2 日～6 日に国立京都国際会館で開催された第 22 回国際内分泌学会議（The 22nd International Congress of Endocrinology）/第 99 回日本内分泌学会学術総会（The 99th Annual Congress of The Japan Endocrine Society）において、奈良県立医科大学 糖尿病・内分泌内科学講座 教授 高橋裕先生が筆頭演者としてポスター発表を行いました。

【ポスタータイトル】

Efficacy and Safety of Paltusotine in Patients with Acromegaly/ Gigantism: A Phase II/III Trial in Japan.

試験デザイン

本試験は、先端巨大症および下垂体性巨人症患者 34 名を対象に、1 日 1 回 12 週間投与した際の有効性及び安全性を検討するため、Paltusotine 20mg、40mg 又は 60mg を投与する群へ無作為に割り付け、多施設共同二重盲検用量固定並行群間比較試験として実施しました。前治療薬がある場合、各治療におけるウォッシュアウト期間は少なくとも 2 週間が設定されました。

試験結果

Paltusotine 20mg：11 名、40mg：12 名、60mg：11 名に無作為に割り付けられました。下垂体性巨人症患者 1 名、先端巨大症患者 33 名でした。男性が 15 名、平均年齢は 58.4 ± 14.4 歳、前治療薬はソマトスタチンアナログ 15 名、ドパミンアゴニスト 7 名でした。主要評価項目である「治療Ⅰ期終了時における血清 IGF-I¹ 濃度の年齢・性別基準値上限に対する割合のベースラインからの変化量」については、全例 $-0.88 \times \text{ULN}$ （Upper Limit of Normal）[95%信頼区間： $-1.03 - -0.73$]、Paltusotine 20mg 群 $-0.88 \times \text{ULN}$ [95%信頼区間： $-1.15 - -0.62$]、40mg 群 $-0.84 \times \text{ULN}$ [95%信頼区間： $-1.09 - -0.59$]、60mg $-0.92 \times \text{ULN}$ [95%信頼区間： $-1.18 - -0.66$]であり、全例および各用量群において有意な低下が認められました。副次評価項目である「血清 IGF-I 濃度が年齢・性別基準値範囲内を達成した被験者割合」については、全例において 70.6%であり、多くの患者で IGF-I が正常化しました。

安全性評価について、有害事象は全例、Paltusotine 20mg 群、40mg 群および 60mg 群でそれぞれ、79.4%、81.8%、75.0%および 81.8%に発現し、そのうち副作用はそれぞれ、50.0%、36.4%、50.0%および 63.6%でした。発現頻度が高い有害事象は下痢を含む胃腸障害でした。

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。

継続投与試験（治療Ⅱ期、52 週間）はすでに終了しており、今後、学会又は論文発表で継続投与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、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薬として先駆けて承認されています。また、本剤は欧州連合（EU）において、成人先端巨大症の治療薬として承認されています。日本では当社が製造販売承認申請を行い、現在審査中です。また、ブラジルでは Crinetics 社が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-I 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、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。先端巨大症および下垂体性巨人症の患者さんでは IGF-I 値が高値になり、それに関連して多くの合併症が出現し生命予後が悪化するため、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を分泌するGH産生下垂体腺腫（下垂体神経内分泌腫瘍）に起因する深刻な疾患です。過剰に分泌された成長ホルモンは、肝臓からIGF-Iの分泌を促進します。過剰なこれらのホルモンによって、手足の容積の増大や特徴的な顔貌変化、関節炎、手根管症候群、関節痛、易疲労性、睡眠時無呼吸症候群、心不全、糖尿病、高血圧、脂質異常症、QOLの低下を生じ、無治療の場合には生命予後が悪化します。治療については、下垂体腫瘍の外科的摘出術が第一選択とされています。一方、手術の対象とならない患者および手術でもホルモン過剰の是正が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。

【PALSONIFY™（Paltusotine）について】

PALSONIFYは選択的SSTR2作動薬であり、成人先端巨大症患者の治療薬として承認された唯一かつ初の1日1回経口投与の治療薬です。第Ⅲ相試験において、1日1回経口投与の本剤は、月1回注射製剤から切り替えた先端巨大症患者のIGF-I値および症状コントロールを維持し（PATHFNDR-1）、また治療歴のない先端巨大症患者のIGF-I値および症状負荷を迅速に低下させました（PATHFNDR-2）。IGF-Iは、内分泌専門医が先端巨大症患者を管理するために使用する主要なバイオマーカーです。

本剤は、神経内分泌腫瘍に伴うカルチノイド症候群に対しても第Ⅲ相臨床開発段階にあります（CAREFNDR）。カルチノイド症候群における第Ⅱ相試験の結果では、カルチノイド症候群の最も一般的な症状である紅潮発作と排便頻度の迅速かつ持続的な減少が示されました。

本剤は、米国では、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患者の第一選択の治療薬として承認されています。また、EUでも成人先端巨大症患者の内科的治療薬として使用が承認されています。日本では、先端巨大症および下垂体性巨人症患者の治療薬として製造販売承認を申請しています。また、本剤は、先端巨大症および下垂体性巨人症を対象として、厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されています。

【株式会社三和化学研究所について】

当社は、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、本社は愛知県名古屋市にあります。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。

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。

＜プレス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 コーポレートコミュニケーショングループ

TEL 052-951-8130

〒460-0003 名古屋市中区錦1丁目3番7号 平和不動産桜通ビル