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

SGA 性低身長症
ヌーナン症候群における低身長

2.2 緒言

ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2.2.1　緒言

ソマプシタンは、週 1 回皮下投与を目的とした長時間作用型遺伝子組換えヒト成長ホルモン（hGH）であり、単一置換（101 位のロイシンからシステインへの置換）されたアミノ酸骨格とアルブミン結合部位からなる。アルブミン結合部位（側鎖）は、親水性のスペーサー及び 16 鎖の脂肪酸部位から構成され、化学結合により hGH のアミノ酸骨格の 101 位に結合している。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（$t_{1/2}$）及び作用持続時間が延長する。

ソマプシタン（遺伝子組換え）を有効成分とする「ソグルーヤ皮下注 5mg」及び「ソグルーヤ皮下注 10mg」は、本邦では 2021 年 1 月 22 日に「成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）」の効能又は効果として承認された。さらに、2023 年 6 月 26 日に「ソグルーヤ皮下注 15mg」の剤型追加及び「成長ホルモン分泌不全性低身長症」の効能追加が承認された。

ソグルーヤ皮下注 5mg、10mg 及び 15mg について SGA（small-for gestational age）性低身長症及びヌーナン症候群における低身長の効能又は効果の追加を目的とした開発を行った。開発の経緯、薬理学的根拠及び目標とする適応症、疾患の背景、メディカルニーズ、臨床試験プログラム並びに有効性及び安全性に関する概要は、Module 2.5 に示す。

週 1 回皮下投与の本製剤は、SGA 性低身長症及びヌーナン症候群における低身長を対象疾患とした第 3 相臨床試験において 1 日 1 回投与のヒト成長ホルモン（hGH）製剤と有効性及び安全性プロファイルが同様であることが示された。本製剤は、注射回数を 1 日 1 回投与の hGH 製剤の年間 365 回から 52 回へと減らすことが可能となる。この治療負担の軽減によって、アドヒアランスと臨床的転帰の改善が期待できる。

今回、ソグルーヤ皮下注 5mg、10mg 及び 15mg について、以下の通り新効能及び新用量を申請することとした。

効能・効果	<ソグルーヤ皮下注 5mg、同皮下注 10mg 及び同皮下注 15mg> ○骨端線閉鎖を伴わない SGA（small-for-gestational age）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
用法・用量	<SGA 性低身長症> <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。