

BCG 治療後に再発した高リスクの膀胱がんの日本人成人患者さんを対象とした治療薬ナドファラゲン フィラデノベクの臨床試験

ご参加ありがとうございました

この臨床試験（試験番号：000381 試験）に参加してくださった患者さんの皆さまと、この臨床試験を実施してくださった医療機関の皆さま、ご協力ありがとうございました。皆さまのご参加によりナドファラゲン フィラデノベク（コード名：FE 999326）について調べることができました。

この文書は臨床試験の結果をまとめたものです。臨床試験に参加してくださった方や一般の方に向けて作成しています。この要約には今回の臨床試験の結果のみが含まれています。その他の臨床試験では異なる結果が得られることもあります。通常、薬の効果や副作用を明らかにするために 1 つ以上の臨床試験が行われます。

要約



目的

この臨床試験は、カルメット・ゲラン桿菌（BCG）による十分な治療を実施した後に高リスクの筋層非浸潤性膀胱がんが再発した日本人成人患者さんを対象に、ナドファラゲン フィラデノベクの効果と安全性を調べるため実施されました。



参加者

日本で 25 人の成人患者さんが参加しました。



使用された薬

参加者全員がナドファラゲン フィラデノベクの投与を受けました。比較のために用いられる薬やプラセボ（薬のような見た目では有効成分を含まないもの）は使用されませんでした。



主な結果

上皮内がん（CIS）と呼ばれる平らなタイプのがんを有する膀胱がん患者さん 20 名のうち、15 名がナドファラゲン フィラデノベクの投与開始後 3 か月目で膀胱がんを認めませんでした。



副作用

この要約では、副作用とは、試験担当医師がナドファラゲン フィラデノベクにより発生した可能性があると考えた健康上の問題のことです。

副作用は参加者の 80% に認められました。いずれも短期間で重篤なものはありませんでした。

よく認められた副作用の上位 3 つは発熱、投与部位からの薬の漏れ、尿意切迫感でした。



この臨床試験の概要

この臨床試験が必要な理由

膀胱がんは、尿を作ったり運んだりする器官にできるがんの中で、よくみられるがんの一つです。多くの患者さん（約 75%）では、がんは早期の段階で見つかります。この段階では、がんは膀胱の内側の層にとどまっており、筋肉の層までは広がっていません。この状態は「筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）」と呼ばれます。NMIBC の中には、再発したり病状が悪化したりする可能性が高いため、「高リスク」と考えられるものがあります。

高リスクの NMIBC の患者さんの多くは、BCG（カルメット・ゲラン桿菌）と呼ばれる薬による治療を受けます。BCG は、がんと闘うために膀胱内へ直接投与されます。しかし、一部の患者さんでは、BCG による治療に十分な効果が得られなかったり、治療後にがんが再発したりすることがあります。このような状態は「BCG 不応」と呼ばれます。このような患者さんには、膀胱を摘出する手術が推奨されることがあります。しかし、この手術は大きな手術であり、その後の日常生活に大きな影響を及ぼす可能性があります。そのため、別の治療選択肢が求められています。

この臨床試験の目的

これまでに、ナドファラゲン フィラデノベクについてのいくつかの臨床試験が米国で実施されてきました。次に、ナドファラゲン フィラデノベクが、日本人成人の BCG 不応性高リスク NMIBC の治療に役立つかどうかを検討することとしました。そのため、上皮内がん（CIS）と呼ばれる平らながんを有する参加者のうち、ナドファラゲン フィラデノベクによって完全奏効が得られた参加者の割合を評価しました。完全奏効とは、薬の初回投与から 3 か月後に行われた最初の主な検査で、がんが認められなかった状態を意味します。また、どのような副作用がみられたかについても調べました。

実施時期と実施場所

この臨床試験は 2023 年 2 月 17 日に開始しました。この要約には、2025 年 10 月 23 日時点までの結果を含みます。その時点で、すべての参加者の試験参加期間が 12 か月以上経過し、臨床試験の主な結果が得られました。

この臨床試験は現在も継続しており、2029 年に完了する予定です。

この臨床試験は日本の医療機関 18 施設で行われました。



この臨床試験の参加者について

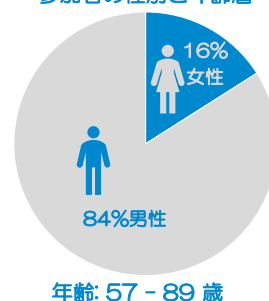
合計 25 名の成人患者さんが参加しました。

そのうち、21 名（84%）が男性、4 名（16%）が女性でした。

全ての参加者が日本人でした。

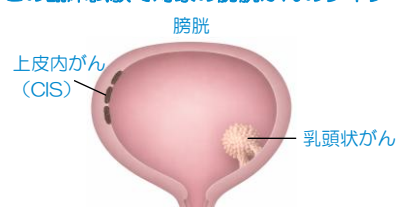
平均年齢は 75 歳で、57 歳から 89 歳までの方が参加しました。

参加者の性別と年齢層



- 20 名が上皮内がん（CIS）と呼ばれる平らなタイプのがんを有し、乳頭状がんと呼ばれる膀胱の内側に突出する別のタイプの高リスクがんを併発している人と併発していない人の両方が含まれました。
- 5 名は CIS を伴わない高リスクの乳頭状がんでした。

この臨床試験で対象の膀胱がんのタイプ



臨床試験に参加可能であった方：

- 20 歳以上
- BCG の十分な治療に反応しなかった高リスクの筋層非浸潤性膀胱がんと診断された
- 試験担当医師の診察で参加が適切と判断された



以下に該当した場合は参加できませんでした：

- 膀胱がんが膀胱の筋肉の層まであるいは体の他の部位へ広がっていた
- この臨床試験以外に膀胱がんの治療を実施中だった
- 試験担当医師が参加に適さないと判断する他の疾患を持っていた



この臨床試験に使用された薬について

この臨床試験では、すべての参加者がナドファラゲン フィラデノベクの投与を受け、参加者も試験担当医師もナドファラゲン フィラデノベクが使用されることをわかっていました。

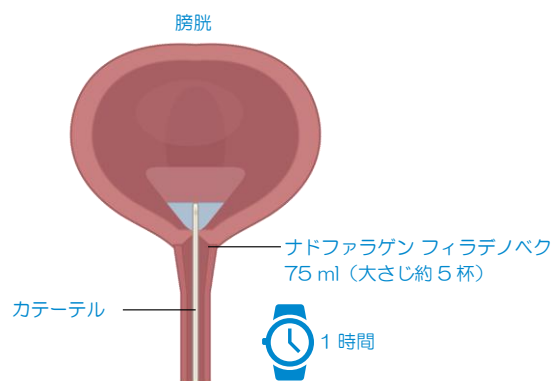
ナドファラゲン フィラデノベクとは

ナドファラゲン フィラデノベクは膀胱がんの新しい治療薬です。遺伝子治療薬と呼ばれるタイプの薬で膀胱に直接注入します。この治療には、人に病気を起こさないように改変されたウイルスを使用します。このウイルスはウイルス自身で増殖することができず、ヒトのDNAに組み込まれることもありません。ウイルスは膀胱の内側の層の細胞に遺伝子（体の細胞にどのように働くかを指示する設計図のような情報）を運びます。今回の遺伝子は細胞にインターフェロン α -2bと呼ばれるタンパク質を作らせるように働きます。インターフェロン α -2bは少量ですが普段から体の中で作られているもので、免疫システムががん細胞を認識したり、がん細胞と戦うことを助ける働きがあります。

投与方法について

細いチューブ（カテーテル）を用いて膀胱内に投与しました。約75 ml（大さじ約5杯）を投与し、1時間膀胱内に保持しました。

この薬は3か月に1回投与しました。最初の12か月間で、高リスクのがんが再発しない限り、最大4回まで投与することができました。



この臨床試験の実施方法

全ての参加者は臨床試験の最初にナドファラゲン フィラデノベクの投与を受けました。

臨床試験の間、小型カメラ（膀胱鏡）や尿検査で膀胱の状態を確認し、必要な場合は組織の一部を採取しました（生検）。最初の診察は3か月目に行われ、その後も3か月ごとに実施されました。

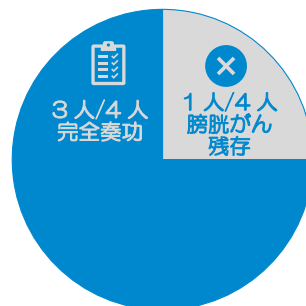


この臨床試験の主な結果

ここでは、この臨床試験の主な結果のまとめを示します。詳細な情報は「[詳細情報について](#)」に記載されたウェブサイトで確認できます。参加者一人一人の結果は異なる可能性があります。この要約には含まれません。

- 主な結果は 20 名の CIS の患者さんで評価しました。
- 投与開始後 3 か月目に実施した最初の主な検査では、20 名のうち 15 名にがんがみられませんでした。
- これは CIS グループの 4 人に 3 人が完全奏効（投与開始後 3 か月目の検査でがんが見つからないこと）を達成したことを意味します。

CIS を有する参加者における
臨床試験開始後 3 か月目の結果



その他の結果：

以下はその他に得られた結果です。これらの結果だけでははっきりとした結論を導くことはできませんが、臨床試験全体の結果をより詳しくお伝えするために掲載しています。

- 完全奏効が確認された 15 名において、効果が持続した期間の中央値は約 8 カ月でした。これは、半数では効果が 8 か月未満でしたが、残りの半数では効果が 8 か月を超えて続いたことを意味します。なお、このうち 4 名では、12 か月時点でもがんは認められませんでした。

この要約で紹介しているのは、1 つの臨床試験で得られた結果です。これだけでこの薬についてのすべてが分かるわけではありません。ほかの臨床試験では異なる結果が得られることもあります。通常、薬の効果や安全性を確認するために、複数の臨床試験が行われます。



副作用について

この要約では、「副作用」とは、試験担当医師がナドファラゲン フィラデノベクによって発生した可能性があると考えた健康上の問題のことです。また、副作用によって命に関わる状態になった場合、長く続く健康上の問題が生じた場合、または入院が必要になった場合は、「重篤な副作用」とされます。

この要約で紹介している副作用は、この臨床試験で確認されたものです。ほかの臨床試験では異なる副作用や異なる結果がみられることがあります。薬が副作用の原因であるかどうかを確認するためには、複数の臨床試験から得られた結果を集めて評価する必要があります。

この臨床試験で確認された副作用

臨床試験期間中に、23 名（参加者の 92%）で何らかの健康上の問題が報告されました。このうち 20 名では、薬が原因である可能性がある副作用と考えられました。これらの副作用はすべて軽度または中等度で、長く続くものではありませんでした。下の表は、すべての参加者を少なくとも 12 か月間追跡した時点までに報告された副作用を示しています。ただし、12 か月を超えて観察を続けると、副作用の現れ方が変わる可能性があります。

	ナドファラゲン フィラデノベク (25 名中)
副作用が発現した人数	20 (80%)
重篤な副作用が発現した人数	0 (0%)
副作用が原因で投与を中止した人数	0 (0%)

重篤な副作用について

この臨床試験では重篤な副作用は認められませんでした。

臨床試験期間中に、3 名の参加者で入院が必要となる重篤な健康上の問題がみられましたが、試験担当医師は薬との関連はないと判断しました。また、1 名の参加者で血尿がみられました。試験担当医師は、これは臨床試験で行われた処置に関連している可能性があると考えましたが、薬によるものではないと判断しました。

臨床試験中に亡くなった参加者はいませんでした。

この臨床試験でよく認められた主な副作用

主な副作用の上位 3 つは、発熱、投与部位からの薬の漏れ、および尿意切迫感でした。

下の表には、主な副作用と、それぞれの副作用が認められた参加者数を示しています。このほかにも副作用は報告されましたが、認められた人は少数でした。

主な副作用	ナドファラゲン フィラデノベク (25 名中)
発熱	11 (44%)
投与部位からの漏れ	8 (32%)
尿意切迫感（急に我慢できないほど尿意を感じる）	8 (32%)
排尿時の灼熱感（焼けるようなヒリヒリ感）や痛み	5 (20%)
倦怠感（だるさ）や体調不良	4 (16%)
頭痛	4 (16%)



この臨床試験で明らかになったこと

この臨床試験により、BCG 治療後に再発した高リスクの膀胱がんの日本人成人患者さんに対するナドファラゲン フィラデノベクの効果や安全性について、さらに理解を深めることができました。上皮内がん（CIS）があった参加者のうち、4 人に 3 人の割合で、投与開始後最初の検査の時点でがんは認められませんでした。また、この臨床試験では重篤な副作用は報告されませんでした。

今後のさらなる臨床試験の予定について

- この臨床試験は現在も継続中です。参加者は、薬による効果がどのくらいの期間続くか、また薬の安全性を継続して確認するため、最長 4 年間追跡調査を受ける予定です。臨床試験の完了は 2029 年を予定しており、今後さらに結果が得られる可能性があります。
- 他の種類の膀胱がんや尿路上皮がんを対象とするナドファラゲン フィラデノベクの臨床試験が世界的に行われています。



詳細情報について

以下のウェブサイトでこの臨床試験の詳細情報を確認することができます：

- <https://jrct.mhlw.go.jp/>
ウェブサイトアクセスし、日本臨床試験番号：jRCT2053220142 で検索してください。

UTN 番号: U1111-1267-2911

試験課題名: 日本人の BCG 不応性高グレード筋層非浸潤性膀胱癌（NMIBC）患者に対する FE 999326 の膀胱内注入療法における安全性及び有効性を評価する 第Ⅲ相オープン試験

臨床試験のフェーズ: 第Ⅲ相

Ferring Pharmaceuticals A/S とフェリング・ファーマ株式会社（日本）がこの臨床試験を実施しました。

フェリング社の連絡先: メール: disclosure@ferring.com

この要約に示された結果だけをもとに、現在受けている治療を変更しないでください。
治療に関する判断は、必ず担当医にご相談ください。