

ナドファラゲン フィラデノベクは日本において承認されていません

Media Release

フェリング・ファーマ、ナドファラゲン フィラデノベクの 国内製造販売承認を申請

- ナドファラゲン フィラデノベクは、3 か月に一度膀胱内に投与される、初めてかつ唯一の非複製型遺伝子治療薬であり、すでに米国で上市されています
- 本申請は、本邦初の化学療法によらない、新たな筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）に対する治療となります
- 日本における第Ⅲ相試験は、再発時の再投与を行わない3 ヶ月に1 回の投与で実施され、3 ヶ月目に 75%の完全奏効率が達成されています
- ナドファラゲン フィラデノベクが承認された場合に、NMIBC の標準治療となり、また BCG が奏効しない場合の第一選択肢として確立するというフェリングのコミットメントは、この申請により強固なものとなります

2025 年 9 月 5 日 東京－フェリング・ファーマ株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長 CEO：ジョン・プルバー）は、ナドファラゲン フィラデノベクの製造販売承認を 8 月 27 日に申請し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）により受理されたことを発表致しました。この非複製型遺伝子治療は、膀胱内投与されるものであり、現在までに行われた臨床試験および実臨床の場において良好な成果が示され、BCG 治療が奏効しない筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）患者さんに対して膀胱を温存するための治療選択肢となります。ナドファラゲン フィラデノベクは、3 か月に1 回の投与スケジュールで患者さんの治療負担を軽減するとともに、インターフェロン遺伝子を膀胱内導入するという、従来の化学療法とは異なる作用機序を有します。今回の承認申請の受理は、ナドファラゲン フィラデノベクを BCG 治療が奏効しない高リスク NMIBC の第一選択肢として確立するという、フェリングの意思をさらに前進させるものです。

高知大学医学部 泌尿器科学講座 教授の井上啓史先生は次のように述べています。

「この新たな遺伝子治療であるナドファラゲン フィラデノベクは、BCG 治療が奏効しなかった患者さんに対する第一選択薬として、化学療法とは異なり、患者さん自身の膀胱上皮細胞をインターフェロン産生工場へと変換する新しい治療アプローチです。利便性の高い3 か月ごとの投与スケジュールにおいて、国内第三相試験において75%の完全奏効率を示した本治療薬は、これまでに治療選択肢が限られていた患者さんに新たな希望をもたらすことが期待されます。」

この承認申請は、国内第Ⅲ相試験の結果に基づいています。2025年4月17日～19日に福岡で開催された第112回日本泌尿器科学会総会（JUA）において、上皮内がん（CIS）を伴う（高グレードTa又はT1乳頭状病変併発の有無を問わない）20名の高リスク患者さんを対象に行われた国内第Ⅲ相試験において、初回投与から3か月後に完全奏効（CR）率75%を達成したという結果が発表されました。また、安全性においては、薬剤に関連すると判断された有害事象はグレード1（84.2%）またはグレード2（15.8%）にとどまり、グレード3、4、5の有害事象は報告されておらず、本治療の良好な忍容性が確認されました。

これらの結果は、米国メイヨー・クリニックにおける実臨床データが示している79%の完全奏効率を裏付けるものであり、多様な患者集団及び臨床環境においても一貫した結果が得られています。メイヨー・クリニックの結果は、3ヵ月に1回の投与によって達成されており、さらに、再投与プロトコルを必要としないという、既存の治療法と比べて臨床面および利便性の面で優位性を示しています。なお、完全奏効を達成した患者さんは、引き続き3か月ごとの維持投与を受けています。

フェリング・グローバル（以下「フェリング」）の泌尿器がん・泌尿器分野グローバルリサーチアンドメディカル ヴァイスプレジデント ヨルン・ヤコブセン医学博士は次のように述べています。

「従来、BCG治療が効果を示さなかった場合、患者さんは膀胱全摘除術のような非常に侵襲的な治療を受けるしか選択肢がありませんでした。ナドファラゲン フィラデノベクは、新たな治療選択肢を提供することが期待されています。フェリングは、泌尿器科の先生方に効果的で個別化された、そして先駆的な知見を提供することで、膀胱がん治療におけるアンメット・メディカル・ニーズに応えることに取り組んでいます」

フェリング・ファーマの代表取締役社長 CEOであるジョン・プルバーは次のように述べています。

「BCG治療が奏功しなかった高リスク筋層非浸潤性膀胱がん患者さんには膀胱全摘除術という選択肢しかなかった状況は、数十年にわたり進展がほとんどありませんでしたが、ナドファラゲン フィラデノベクはその状況に光明をもたらします。今回のPMDAによる申請受理により、日本の患者さんにこれまでにないイノベーションを届けるという当社の戦略的なコミットメントが示されました。当社は、ナドファラゲン フィラデノベクを日本におけるNMIBCの新たな標準治療、そして中心的治療薬として確立したいと願っております。膀胱がん治療における新たな潮流を牽引できることを誇りに思います。」

ナドファラゲン フィラデノベクについて

ナドファラゲン フィラデノベクは、上皮内がん（CIS）を有し、乳頭状腫瘍の有無を問わず、BCG（カルメット・ゲラン桿菌）に反応しない高リスクの筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）の成人患者に対する、膀胱内投与型の非複製型遺伝子治療として、アメリカ食品医薬品局（FDA）に初めて承認され、ブレイクスルー指定を受けた治療法です。

BCG 治療が奏功しなかった患者さんの第一選択薬として、化学療法を用いない非複製型アデノウイルスベクターによるこの治療法は、インターフェロン・アルファ 2b 遺伝子を含み、カテーテルを用いて膀胱内に直接投与される簡便な単剤療法で、3 か月に 1 回のみの投与で済みます。このメカニズムにより、膀胱壁の細胞がインターフェロンのマイクロファクトリー（小さな製造工場）へと変化し、インターフェロン・アルファ 2b タンパク質を局所的に高濃度かつ一過性に発現させることで、遺伝子治療を通じて体の自然な抗がん力を強化します。

米国で実施された第 3 相試験の背景として、米国の BCG に対する反応が不十分だった高リスク NMIBC 患者 157 名を対象に、包括的な臨床評価が行われました（試験の詳細な適格基準は [clinicaltrials.gov: NCT02773849](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02773849) に掲載されています）¹。5 年間のフォローアップデータにより、BCG に反応しない高リスクの筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）患者（上皮内がん〈CIS〉を有し、乳頭状腫瘍〈±Ta/T1〉の有無を問わず）および CIS を伴わない高グレード Ta/T1 患者において、全生存率 80%、膀胱温存率 49%が確認されました。長期的な安全性プロファイルも維持されており、治療に伴う有害事象のほとんどは一過性のグレード 1 または 2 で、全体の患者の 66%に該当しました。グレード 3 の有害事象は 4%で、グレード 4 または 5 の有害事象、治療関連死、新たな安全性シグナルは一切報告されておらず、治療の持続的な忍容性が確認されています²。

実臨床下で 2023 年 11 月から 2024 年 10 月の間に、米国のメイヨー・クリニックの 3 拠点で、BCG 不応性の筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）患者 45 名がナドファラゲン フィラデノベクの治療を受けました。このうち 29 名が解析対象となりました。中央値 8.2 か月の追跡期間後：3 か月時点で 72%の患者が完全奏効または高悪性度再発なしの状態を維持、6 か月時点では 62%がその状態を維持、94%が膀胱摘出手術（膀胱全摘）を回避、6 か月時点で 100%が生存一部の患者では病勢進行が見られ、1 名は転移、別の 1 名は上部尿路の尿路上皮がんを発症しました。最も多かった副作用は膀胱けいれん（62%）と薬剤の漏れや早期排尿（31%）でした。副作用の多くは軽度でしたが、9%の患者に倦怠感や発熱などの中等度の症状が見られました。重度（グレード 4 または 5）の副作用は報告されていません³。

筋層非浸潤性膀胱がん (NMIBC)について

NMIBC（筋層非浸潤性膀胱がん）は、膀胱の表層に影響を及ぼすもので、深部への浸潤や転移は伴いません。膀胱がんは、日本で 13 番目に多く診断されているがんであり、世界では 9 番目に多く、2022 年にはそのうちの 75%が NMIBC として発症しています⁴。膀胱内 BCG 療法は依然として高リスク NMIBC に対する第一選択の標準治療とされていますが、患者の 50%以上が 1 年以内に再発や進行を経験し、多くが BCG に反応しない疾患へと移行し、根治的な介入が必要となります。BCG 非応答性患者に対する現在の治療選択肢は非常に限られており、日本泌尿器科学会（JUA）のガイドラインでは、根治的膀胱全摘除術または臨床試験への参加のみが推奨されています⁵。

▽フェリング・グローバル（文中「フェリング」）について

フェリングは、人々が家族を築き、より良い生活を送れるようになることを目標に掲げる、株式非公開の研究主導型スペシャリティファーマです。フェリングは生殖医療領域のリーダーであり、消化器領域および泌尿器領域において力強い存在感を示してきました。さらに泌尿器がん領域の先端技術の前線にいます。フェリングは、**1950**年設立であり、スイスのサンブレに本社を置き、世界**100**カ国以上で製品を販売し、約**7,000**名の従業員を擁しています。

▽フェリング・ファーマ株式会社について

フェリング・ファーマ株式会社はフェリング・グローバルの子会社として**2001**年**2**月に設立され、本社は東京都港区です。

フェリング・ファーマは筋層非浸潤性膀胱がんや筋層浸潤膀胱がんの内容を含む患者さん向け情報サイト（<https://boukougan.jp/>）を運営しています。

▽問い合わせ先; フェリング・ファーマ株式会社 パブリックアフェアーズ&コミュニケーションズ
キアアカウントマネジメント部 柳場 義豊 03-5544-9237, yoshimitsu.yanagiba@ferring.com

¹ADSTILADRIN (=INSTILADRIN) in Patients With High-Grade, Bacillus Calmette-Guerin (BCG) Unresponsive Non-Muscle Invasive Bladder Cancer (NMIBC) | ClinicaTrials.gov

² [Final Five-Year Analysis of Phase 3 Data With ADSTILADRIN® \(nadofaragene firadenovec-vncg\) Shows Durable Bladder Preservation and Consistent Long-Term Safety in BCG-unresponsive NMIBC - Ferring Pharmaceuticals USA](#) press release 2024

³ [Real-world outcomes of nadofaragene firadenovec in BCG-unresponsive non-muscle invasive bladder cancer. | Journal of Clinical Oncology](#)

⁴ World Bladder Cancer Patient Coalition. [GLOBOCAN 2022: Bladder cancer 9th most common worldwide - World Bladder Cancer Patient Coalition](#) .

⁵ Japanese Urological Association. Bladder Cancer Clinical Practice Guidelines 2019 Edition. Medical Book Publishing Co., Ltd., 2019.

(最終閲覧日：全て 2025 年 9 月 4 日)