

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おられません

Media Release

BCG 不応性筋層非浸潤性膀胱がん患者を対象としたナドファラ ゲン フィラデノベクの第3相試験 12か月データ

第113回日本泌尿器科学会総会において発表

- BCG 不応性筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）を対象とした日本初のナドファラゲン フィラデノベク 第3相試験について、全患者の追跡期間が少なくとも12か月に達したことを受け、新たな12か月時点の結果が第113回日本泌尿器科学会総会にて発表され、主要評価項目が達成されたことが示された
- 本試験では、有効性に関して3か月時点での完全奏効（CR）率は75%であることが確認されており、また、安全性プロファイルもこれまでの試験と一貫しており、薬剤関連のGrade 3/4/5の有害事象は認められず、治療中止例もなかった
- 12か月時点で、68%の患者は膀胱全摘術を受けておらず、25例中8例（32.0% [95%信頼区間：14.9–53.5]）が再発後に膀胱全摘術を受けた。これらの8例はいずれも、上皮内がん（CIS）（高グレードTa又はT1乳頭状病変併発の有無を問わない）コホートであった
- これらの患者に関するデータは、長期生存および膀胱全摘除術までの期間を評価するため、最長4年間にわたり収集される予定である
- ナドファラゲン フィラデノベクが日本で承認された場合には、本剤が膀胱温存治療の選択肢となる可能性が示唆された。また、中リスクNMIBCを対象としたナドファラゲン フィラデノベクの第3相試験（ABLE-32）が現在日本で進行中である

2026年4月27日 東京- 高リスクBCG不応性筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）で上皮内がん（CIS）を有する日本人患者を対象に実施中の、国内第3相試験におけるナドファラゲン フィラデノベク（非増殖型アデノウイルス遺伝子治療）の最新12か月フォローアップデータが、第113回日本泌尿器科学会総会（JUA 2026年4月23日～26日、京都）において発表されました。

本試験は、国内25施設で実施されており、高リスクBCG不応性NMIBC患者のうち、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）患者、および乳頭状病変（Ta又はT1）のみ患者の2群を対象としたナドファラゲン フィラデノベクの有効性・安全性を評価しています。本試験は3ヶ月ごとに行われる効果判定で反応なしとされた場

合の再投与は行われず、今回報告された結果は、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）患者（20 例）のデータです。一方、安全性および、膀胱温存率に関しては、両群（25 例）のデータです。

本試験は主要評価項目を達成しました。高リスク BCG 不応性 NMIBC 患者のうち、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）患者の 3 ヶ月時点における完全奏効（CR）率は 75% でした。また、安全性に関しては、薬剤関連の Grade 3/4/5 の有害事象は認められず、治療中止例もありませんでした。12 か月時点においては、68% の患者は膀胱全摘術を受けておらず、25 例中 8 例（32.0% [95%信頼区間：14.9-53.5]）が再発後に膀胱全摘術を受けており、いずれも上皮内がん（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）の患者でした。

患者データは、最長 4 年間にわたり、長期生存および膀胱全摘までの期間を評価する目的で収集される予定です。これらの結果は、米国における長期エビデンスを補完するものです。米国の主要試験では、5 年追跡データにおいて全生存率 80%、膀胱全摘回避生存率 49% が確認されています [V.M.Narayan, 2024]。ⁱ

高知大学医学部 泌尿器科学講座の井上啓史教授は、

「今回公表された日本人患者における 12 か月の追加追跡データは、日本における BCG 不応性 NMIBC に対する新たな治療選択として貢献する可能性があります。BCG 不応性 NMIBC の患者さんにとって最も重要なのは、奏効の持続性と膀胱温存です。本試験はこれら両点における有用性をデータとして科学的に示しています。今回の知見は、日本人患者における ナドファラゲン フィラデノベク の理解を進め、さらなる評価のサポートとなります。」とコメントしています。

また、米国エモリー大学泌尿器科のヴィクラム・ナラヤン教授は、日米で得られた知見の意義について次のように説明しました。

「米国の主要試験で観察された結果と一致する奏効が日本人患者さんでも確認されたことは、非常に心強く思います。異なる患者集団および医療システムにおいて治療効果を評価することは、その臨床上の有用性理解を深めるからです。ナドファラゲン フィラデノベク は、治療を受ける場所がどこであろうと、再現性のあるベネフィットをもたらす治療となる可能性があります。」

薬剤関連の有害事象はすべて Grade 2 以下であり、治療中止や死亡に至った症例はありませんでした。主な有害事象は、発熱（44%）、投与部位からの液漏れ（32%）、尿意切迫感（32%）、排尿時痛（20%）で、持続期間の中央値は 2 日未満でした。

メイヨー・クリニックにおけるリアルワールドデータでは、NMIBC 患者の 79% が 3 か月時点で完全奏効（CR）達成しました。高リスク BCG 不応性 NMIBC 患者のうち、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）奏効者においては 68% は追跡期間中央値 9.3 か月時点でも完全奏効（CR）を維持しており、全体での膀胱全摘回避率は 93% と報告されています。これらの結果は、日常診療における試験結果と一貫した傾向が示されました [J.A.Moyer, 2025]。

さらに、日本泌尿器科学会総会では2つのリアルワールドエビデンス（RWE）研究も発表されました。一つは全国規模のレセプトデータベース解析により、日本人患者におけるBCG治療パターンとBCG不応の実態を明らかにした研究です。もう一つは多施設後ろ向き研究で、なぜ忍容性に優れ、奏効が持続するBCG後治療選択肢が必要とされているのかを臨床的に示すもので、日本におけるBCG不応性NMIBCのエビデンス基盤に追加的な知見を提供する結果となりました。これらの知見は、メイヨー・クリニックのリアルワールドデータとも整合しています。

日本において膀胱がんは深刻な課題であり、2023年には約23,970人の新規患者が診断され、2024年には9,725人が死亡しています。ⁱⁱ高リスクNMIBCで、確立された第一選択の標準治療であるBCG治療に反応しない患者さんにおいては、治療選択肢が極めて限られています。BCG不応性NMIBC患者に対して、現行の日本泌尿器科学会（JUA）ガイドラインでは、膀胱全摘除術または臨床試験への参加が推奨されています [JUAガイドライン2019]。ⁱⁱⁱ

フェリング・ファーマ株式会社 代表取締役社長 CEO ジョン・プルバーは次のように述べています。

「BCG不応性NMIBCにおける日本のエビデンス構築は、当社が重要視している取り組みであり、今回の12か月データは意義深い前進です。良好な安全性プロファイルを維持し、Grade 3以上の有害事象が認められない中で、12か月時点での奏効が確認されたことは、膀胱温存を必要とする患者さんの治療選択肢としてのナドファラゲンフィラデノベクの臨床プロファイルについて、私たちおよび日本の医療コミュニティにさらなる示唆を与えてくれます。」

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、非複製型アデノウイルス遺伝子治療であり、3か月に1回、膀胱内に直接投与することで、インターフェロンアルファ-2b（IFN α 2b）を局所的かつ持続的に発現させます。BCG治療が奏功しなかった患者さんの第一選択治療のひとつとして、膀胱壁の細胞を「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）」へと変換し、3ヶ月に1回の膀胱内投与で有効性・安全性・簡便性を併せ持つこととなります。本剤は従前の化学療法ではなく、遺伝子治療を通じて生体本来のがん免疫機構を強化する非化学療法的アプローチです。

本剤は、BCGに対する反応が不十分だった高リスクBCG不応性NMIBCの米国患者157名を対象に包括的な臨床評価により検証されてきました（試験の詳細な適格基準は clinicaltrials.gov : NCT02773849 に掲載されています）。BCGに反応しない高リスクNMIBC患者（上皮内がん〈CIS〉を有し、乳頭状腫瘍〈 \pm Ta/T1〉の有無を問わない）における12か月時点の完全奏効（CR）持続率は45.5%（25/55例）（95%信頼区間：32.0–59.4）であり、IBCGベンチマークと一致する、臨床的に意義のある奏効持続性が示されました [S.A.Boorjian, 2021]。5年間の追跡データでは、全生存率80%、膀胱全摘除回避生存率49%が確認されており、高リスクBCG不応性NMIBC患者のうち、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）患者、および乳頭状病変（高グレードTa又はT1）のみ患者の両群において有効性が認められました [V.M.Narayan, 2024]。

長期安全性プロファイルも維持されており、治療関連有害事象の大半は一過性のグレード1または2（全患者の66%）で、グレード3の有害事象は4%でした [V.M.Narayan, 2024]。

実臨床下においては、2023年11月から2024年10月までの間に、米国メイヨー・クリニックの3拠点で、BCG 不応性 NMIBC 患者 46 名がナドファラゲンフィラデノベクによる治療を受けました。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）評価可能な患者 24 例のうち、3 か月時点で 79%が完全奏功（CR）を達成しました。奏効した患者の 68%（13/19 例）は、中央値 9.3 か月の追跡期間においても完全奏功（CR）を維持していました。さらに、中央値 13.9 か月の追跡期間において、膀胱全摘除回避生存率は 93%、全生存率は 95%でした。最も多く報告された有害事象は、グレード 1~2 の膀胱けいれん（61%）および薬剤漏れ（33%）であり、グレード 4 または 5 の有害事象は認められませんでした [J.A.Moyer, 2025]。

筋層非浸潤性膀胱がん（NMIBC）について

NMIBC は膀胱の表層に存在し、膀胱の深部に浸潤したり、体の他の部位に転移したりしていない膀胱がんの一種です。膀胱がんは、日本では 13 番目に多く診断されるがんで、世界では 9 番目に多く診断され、75%が NMIBC です。高リスクの NMIBC の場合、膀胱内 BCG 療法が依然として第一選択の標準治療です。しかし、BCG による初期治療を受けた患者さんの 50%以上が、1 年以内にがんの再発や病状進行を経験し、そのうちの多くが膀胱全摘除術を必要とする BCG 不応性となります。BCG 不応性の膀胱がん患者さんに対する治療選択肢は限られており、ナドファラゲンフィラデノベクは、非複製型アデノウイルス遺伝子治療として、BCG 不応後即時の膀胱全摘除術に代わる膀胱温存治療の選択肢を提供します。

▽フェリング・グローバル（以下「フェリング」）について

フェリング・ファーマシューティカルズは、研究開発主導型の非上場スペシャリティ・バイオファーマ企業として、人々のより良い人生と家族づくりを支援することに取り組んでいます。生殖医療領域のリーディングカンパニーであると同時に、消化器・泌尿器領域においても強い実績を有し、泌尿器がん遺伝子治療分野におけるイノベーションの最前線を走っています。1950 年に設立され、本社はスイス・サン＝プレに所在。現在、世界 100 か国以上で医薬品を提供し、7,500 名を超える従業員を擁しています。

詳細は www.ferring.com をご覧いただくか、X（旧 Twitter）、Facebook、Instagram、LinkedIn、YouTube をご覧ください。

▽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・ファーマ株式会社 ホームページ <https://www.ferring.co.jp/>

フェリング・ファーマ株式会社は以下の患者様向け疾患啓発サイトを運営しています。

【膀胱がん.jp】 <https://boukougan.jp/>



###

<本件に関するお問い合わせ>

▽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 キーアカウントマネジメント部 柳場 義豊 03-5544-9237, yoshimitsu.yanagiba@ferring.com

A.M.Kamat. (2016). J Clin Oncol.
al.etMoyer. (2025). Urologic Oncology.
J.A.Moyer. (2025). Urologic Oncology.
S.A.Boorjian. (2021). The LANCET Oncology.
V.M.Narayan. (2024). The Journal of Urology.
日本泌尿器科学会. (2019). 膀胱癌診療ガイドライン 2019 年版.