

報道関係者各位

2026 年 7 月 9 日
リズムファーマ株式会社

本資料は、米国 Rhythm Pharmaceuticals Inc. が 2026 年 7 月 8 日（現地時間）に発表したプレスリリースを
邦訳して発表するものです。内容の子細については、オリジナルの英文が優先します。

Rhythm Pharmaceuticals、後天性視床下部性肥満を対象とした第 III 相 TRANSCEND 試験の結果が The New England Journal of Medicine 誌に掲載と発表

ボストン、2026 年 7 月 8 日 – 希少神経内分泌疾患に苦しむ患者さんの生活を変革に注力するグローバルバイオ医薬品企業である Rhythm Pharmaceuticals（Nasdaq: RYTM、以下 Rhythm 社）は本日、後天性視床下部性肥満を対象としたメラノコルチン 4 受容体（MC4R）アゴニストである setmelanotide（一般名）を評価した第 III 相 TRANSCEND 試験の主要な結果が The New England Journal of Medicine（NEJM）誌に掲載されたことを発表しました。

TRANSCEND 試験は、後天性視床下部性肥満を対象としてこれまでに実施された中で最大規模かつ最長のプラセボ対照臨床試験です。本論文では、成人および 4 歳以上の小児患者さんにおいて、本剤による治療により体重、空腹感に著しい改善が認められたことが示されました。

名古屋市立大学大学院医学研究科 消化器・代謝内科学の田中 智洋医師は、次のように述べています。「後天性視床下部性肥満は、急速で持続する体重増加と過食をきたすことで、著しく健康が損なわれるだけでなく、ご本人やご家族の生活にも大きな負担をもたらす、治療困難な疾患です。これまで確立した治療法もなく、新しい治療法が待ち望まれてきました。今回、この疾患で障害される MC4R 経路に着目した setmelanotide の有効性と安全性が論文で報告され、治療薬の登場が大いに期待されます。」

この 52 週間の無作為化二重盲検プラセボ対照第 III 相試験において、治療レジメンを 52 週間継続した最初の 120 人の患者さんが、主要解析コホートとして評価されました。setmelanotide 群の患者さんでは、以下の結果が得られました：

- 体格指数（BMI）の減少率において、プラセボ群に比べて 19.8%の差（n=120）
- setmelanotide 群の全患者さん（n=81）におけるベースラインからの平均 BMI 減少率は -16.5%であったのに対し、プラセボ群（n=39）では 52 週時点で +3.3%の BMI 変化を示し、主要評価項目を達成しました（ $p < 0.0001$ ）。
- setmelanotide 群の 80%の患者さんが、52 週時点で BMI を 5%以上減少させました。
- 空腹感において、臨床的に有意な改善が認められました。

setmelanotide は概ね良好な忍容性を示しました。新たな安全性に関わるシグナルは認められず、治療中止に至った有害事象は setmelanotide 群とプラセボ群で同等でした。

2026 年 3 月 19 日、米国食品医薬品局（FDA）は、setmelanotide（製品名：IMCIVREE®）を成人および 4 歳以上の小児における後天性視床下部性肥満に対する初めてかつ唯一の治療薬として承認しました。また、2026 年 5 月 1 日には、欧州委員会（European Commission）においても同適応の追加承認が取得されています。

なお、日本においては現在、医薬品医療機器総合機構（PMDA）により承認審査中です。

Rhythm 社の David Meeker 会長兼最高経営責任者（CEO）兼社長は次のように述べています。

「The New England Journal of Medicine（NEJM）誌における TRANSCEND 試験データの発表は、臨床的エビデンスの強さと、後天性視床下部性肥満に悩む患者さんに対する setmelanotide の有益な影響を裏付けるものです。この画期的な試験を実現いただいた研究著者、治験責任医師、患者さん、そしてご家族の皆様の献身に深く感謝いたします。FDA および EU での承認がすでに得られており、日本でも規制当局への申請が審査中であることから、当社は、標的治療を緊急に必要としている世界中の患者さんに、このファースト・イン・クラスの治療法を提供することを目指しています。」

第 III 相 TRANSCEND 試験について

世界規模の無作為化二重盲検プラセボ対照第 III 相 TRANSCEND 試験は、後天性視床下部性肥満を有する 4 歳以上の患者さんを対象に、setmelanotide の有効性と安全性を評価した試験です。計 120 人の被験者が 2 : 1 の割合で無作為に割り付けられ、52 週間にわたり setmelanotide の 1 日 1 回皮下投与またはプラセボ投与を受けました。主要評価項目は、52 週間の治療後の BMI の平均変化率でした。すべての主要な結果は、2025 年 4 月に発表されています。

後天性視床下部性肥満について

後天性視床下部性肥満は、視床下部の物理的損傷または構造異常により急激かつ持続する体重増加を特徴とする希少疾患です。視床下部の損傷は α -メラノサイト刺激ホルモン（ α -MSH）産生の低下および MC4R 経路のシグナル伝達障害を引き起こす可能性があります。MC4R 経路は空腹感、満腹感、エネルギーのバランスを調節する主要なシグナル伝達経路であり、その結果として体重に影響を与えます。本疾患は頭蓋咽頭腫、下垂体腫瘍、頭蓋内胚細胞腫瘍の増大または治療後に多く発症します。その他の損傷原因としては、外傷性脳損傷、脳卒中、炎症などが挙げられます。後天性視床下部性肥満は、視床下部損傷後わずか 6 ヶ月で発症することがあります。

Rhythm Pharmaceuticals について

Rhythm 社は、希少神経内分泌疾患に苦しむ患者さんとその家族の生活を変革することを使命とするバイオ医薬品企業です。主力製品である IMCIVREE®（setmelanotide）は、過食症および重度肥満の治療を目的とした MC4R アゴニストであり、米国食品医薬品局（FDA）により、成人および 4 歳以上の小児への後天性視床下部性肥満、またバルデー・ビードル症候群（BBS）または遺伝的に確認されたプロオピオメラノコルチン（POMC）、プロプロテインコンバーターゼサブチリシン/ケキシンタイプ 1（PCSK1）欠損症、レプチン受容体（LEPR）

欠損症を含む症候性または単一遺伝子性肥満を有する成人および小児患者さんにおける過剰体重の減少および長期的な体重減少の維持を目的として承認を取得しています。欧州委員会（EC）は、成人および4歳以上の小児への後天性視床下部性肥満における肥満および空腹感の制御を目的として本剤の使用を承認しており、欧州委員会（EC）および英国医薬品医療製品規制庁（MHRA）は、遺伝的に確認された BBS、あるいは遺伝的に確認された POMC（PCSK1を含む）の機能喪失型両対立遺伝子欠損、あるいは両対立遺伝子 LEPR 欠損に伴う肥満および空腹感の制御を目的として、成人および2歳以上の小児における本剤の使用を承認しています。さらに Rhythm 社は、他の希少疾患における本剤の広範な臨床開発プログラム、ならびに研究段階の MC4R アゴニストである bivamelagon および RM-718、ならびに先天性高インスリン血症治療のための前臨床段階の低分子化合物群の開発を推進しています。Rhythm 社の本社はマサチューセッツ州ボストンにあります。

企業ホームページ：

本社英語版 <https://rhythmtx.com/>

日本語版 <https://international.rhythmtx.com/ja>

将来に関する記述

本プレスリリースには、1995 年私的証券訴訟改革法の意味における将来予測に関する記述が含まれています。本プレスリリースに含まれる、過去の事実に関する事項以外のすべての記述は、将来予測に関する記述とみなされるべきであり、これには当社の製品または製品候補について、いかなる用量または適応症においても、その安全性、有効性、潜在的な有益性、臨床試験の設計または進捗状況、規制当局への申請の可能性、承認およびその時期に関する記述が含まれますが、これらに限定されません。PWS 患者さんを対象とした setmelanotide の進行中の第 2 相試験を含む、当社の臨床試験データおよび結果の発表、後天性視床下部性肥満患者さんにおける setmelanotide および当社のその他の製品候補の使用に関する臨床データおよび実世界での有効性・安全性データ、ならびに今後のイベントへの参加、発表、出版物（後天性視床下部性肥満患者さんを対象とした setmelanotide を評価する当社の第 3 相主要試験「TRANSCEND」の結果が「ニューイングランド・ジャーナル・オブ・メディシン」に掲載されることを含む）および前述のいずれかの内容、日付、時間などが含まれます。「期待する」、「予想する」、「確信する」、「かもしれない」、「するだろう」などの用語を使用した記述も、将来に関する記述です。このような記述は、臨床試験への患者さん組み入れ能力、臨床試験の設計と結果、競合の影響、必要な規制当局の承認の取得能力、データ分析および報告に関連するリスク、不利な価格規制、第三者による償還慣行または医療改革の取り組み、当社の国際事業を規律する法令および規制に関連するリスク、ならびに関連するコンプライアンス・プログラムの費用、semelanotide の商業化を成功させる当社の能力、当社の流動性および経費、主要な従業員やコンサルタントを維持する能力、ならびに有能な人材を惹きつけ、維持し、動機付けする能力、および一般的な経済状況、ならびに 2026 年 3 月 31 日終了の四半期に係る四半期報告書（Form 10-Q）の「リスク要因」の項および当社が証券取引委員会（SEC）に提出したその他の書類に記載されている事項を含む、数多くのリスク、不確実性、その他の重要な要因の影響を受けます。法律で義務付けられている場合を除き、当社は、本リリースに含まれる将来に関する記述を修正する義務、あるいは新たな情報、将来の展開その他の結果として、本リリースの日付以降に発生する事象や状況を反映するためにそれらを更新する義務を負わないものとします。

企業連絡先：

David Connolly

Head of Investor Relations and Corporate Communications

Rhythm Pharmaceuticals, Inc.

857-264-4280

dconnolly@rhythmtx.com

メディアお問い合わせ先：

Kate Walsh

Director, Corporate Communications

Rhythm Pharmaceuticals, Inc.

(857) 264-4280

kwalsh@rhythmtx.com

メディアお問い合わせ先（日本語、株式会社コスモ・ピーアール内）：

Rhythm Pharma 広報事務局

rhythm_pr@cosmopr.co.jp