

本資料は、ブリストルマイヤーズスクイブが2026年3月29日に発表しましたプレスリリースの和文抄訳であり、内容につきましては英語原文が優先されます。本プレスリリースに記載されている医薬品情報（本邦未承認情報を含む）は、ブリストルマイヤーズスクイブに関連する最新情報をステークホルダーの皆様にお知らせするものであり、医薬品のプロモーションや宣伝・広告を目的とするも

ブリストルマイヤーズスクイブ、症候性閉塞性肥大型心筋症（HOCM）の青年期患者におけるカムザイオスの有効性及び安全性を示す第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験の肯定的な結果を発表

- 本試験において、28週時のバルサルバ負荷後の左室流出路（バルサルバLVOT）圧較差が、統計学的に有意かつ臨床的に意義のある減少を示し、主要評価項目を達成しました。
- 本試験の結果は、カムザイオスが青年期HOCMにおいて病態生理を標的とする治療法となる可能性を示唆しています。
- 青年期患者におけるカムザイオスの安全性プロファイルは、成人患者において確立されたプロファイルと同等であり、新たな安全性シグナルは認められず、左室駆出率（LVEF）が50%未満に低下した患者はいませんでした。

（ニュージャージー州プリンストン、2026年3月29日）—ブリストルマイヤーズスクイブ（NYSE: BMY/本社：米国ニューヨーク/CEO：クリス・バーナー）は本日、症候性閉塞性肥大型心筋症（HOCM）の青年期（12歳以上18歳未満）患者を対象にカムザイオス（一般名：マバカムテン）を評価した第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験の肯定的なデータを発表しました。本試験は、青年期患者に対して心筋ミオシン阻害剤（CMI）を用いた初めての試験であり、28週時のバルサルバ負荷後の左室流出路（バルサルバLVOT）圧較差が、プラセボ群と比較して、カムザイオス群においてベースラインから統計学的に有意かつ臨床的に意義のある減少を示し、主要評価項目を達成しました。28週時の最小二乗（LS）平均差（95%信頼区間 [CI]）は、 -48.0mmHg （ -67.7 、 -28.3 ； $P < 0.0001$ ）でした。

また、28週時点で、複数の副次評価項目においても、カムザイオスはプラセボと比較して意義のある改善を示し、安全性は両群間で同等でした。本データは、2026年米国心臓病学会（ACC）学術集会での late-breaking clinical trial セッションにおいて口頭発表されるとともに、The New England Journal of Medicine 誌に掲載されます。

本試験の治験責任医師であり、フィラデルフィア小児病院心臓外科部長を務める Joseph Rossano (M.D.) は、次のように述べています。「小児期HOCMは、重度で、時に生命を脅かす症状をも生じうる心臓の希少疾患です。HOCMの小児患者さんには承認された治療法がなく、現在推奨されている薬物療法は、主に成人を対象とした試験で得られたエビデンスに基づいたものです。本試験の肯定的な結果は、小児循環器領域における重要な進歩を示すものであり、FDAの承認が得られた場合、青年期患者さんに対して意義のある新たな治療選択肢となり得る可能性を示しています」。

SCOUT-HCM 試験では、ニューヨーク心臓協会（NYHA）心機能分類Ⅱ度又はⅢ度の症候性HOCMの12歳以上18歳未満の患者44例を対象に、28週間にわたりカムザイオスをプラセボと比較評価しました。カムザイオスは主要評価項目であるバルサルバLVOT圧較差の減少を達成し、28週時点で、LV狭窄、拡張機能、最大左室壁厚、NYHA心機能分類および僧帽弁機能障害において、プラセボと比較して意義のある改善を示しました。

ブリストルマイヤーズスクイブのエグゼクティブバイスプレジデント／チーフメディカルオフィサー兼デベロップメントヘッドである Cristian Massacesi (M.D.) は、次のように述べています。

「SCOUT-HCM 試験の結果は、カムザイオスが青年期患者さんに対する初めてのCMIとなる可能性を示すものであり、CMIにおける当社のリーダーシップを改めて強化するとともに、本疾患の科学的理解、診断、評価および治療の変革における当社の役割を裏付けるものです。今回示された有効性及び安全性データに基づき、青年期患者さんとそのご家族にパラダイムシフトを実現する治療薬をお届けできる可能性に期待を寄せています」。

カムザイオスは、プラセボと比較して、安静時および運動負荷後の LVOT 圧較差で改善を示し、安静時の LVOT 圧較差の LS 平均差は -47.0mmHg (-62.7 、 -31.4 ; 名目上の $p < 0.0001$)、運動負荷後の LVOT 圧較差の LS 平均差は -41.7mmHg (-59.7 、 -23.7 ; 名目上の $p < 0.0001$) でした。主要評価項目は、28 週時の (安静時またはバルサルバ負荷後の) LVOT 最大圧較差がベースラインから 30mmHg 未満となった患者の割合によっても支持されました。

また、カムザイオスは、プラセボと比較して、心臓構造に対して肯定的な効果を有することも示され、最大左室壁厚の LS 平均差 (95% CI) は -1.8mm (-3.4 、 -0.2 ; 名目上の $p = 0.0269$)、 E/e' (拡張早期僧帽弁輪最大運動速度に対する拡張早期最大血流速度の比) 変化量の LS 平均差 (95% CI) は -3.4 (-5.1 、 -1.6 ; 名目上の $p = 0.0002$) でした。

安全性結果は両群間で同等であり、カムザイオス群で 18 例、プラセボ群で 17 例の患者が試験治療下で発現した有害事象 (TEAE) を 1 回以上経験しました。治療に関連する TEAE は、カムザイオス群で 2 例、プラセボ群で 3 例に認められました。試験治療下で発現した重篤な有害事象 (TESAE) は、カムザイオス群で 2 例、プラセボ群で 2 例に認められ、治療に関連する TESAE は、カムザイオス群で 1 例に認められ、プラセボ群では認められませんでした。28 週間の試験期間を通じて、TEAE に関連する投与の中止または死亡、心房細動または症候性心不全を発症した患者、左室駆出率 (LVEF) が 50% 未満に低下した患者はいませんでした。全体として、これらの結果は、症候性 HOCM の青年期患者におけるカムザイオスの安全性プロファイルが、成人患者において報告されたものと同等であることを示しており、新たな安全性シグナルは認められませんでした。

SCOUT-HCM 試験の 28 週間の実薬投与期間は現在も継続中です。ブリストルマイヤーズスクイブは、今後の学会での 56 週間のデータの発表に向けて、治験担当医師と連携してまいります。

第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験について

SCOUT-HCM 試験 ([NCT06253221](#)) は、症候性 HOCM の青年期 (12 歳以上 18 歳未満) 患者 44 例を対象とした無作為化二重盲検プラセボ対照国際共同第Ⅲ相臨床試験です。本試験は合計最長 200 週間にわたる 3 つの治療期間で構成されています。最初の 28 週間はプラセボ対照期間、その後 28 週間は実薬による実薬投与期間 (プラセボ群に無作為割り付けされた患者をカムザイオス群へクロスオーバー) および最長 144 週間の非盲検長期継続投与期間となっています。

主要評価項目は、28 週時のバルサルバ LVOT 圧較差のベースラインからの変化量です。副次評価項目には、安静時および運動負荷後の LVOT 圧較差、最大酸素摂取量、症状および健康状態といった有効性評価項目に加え、安全性および薬物動態の評価項目が含まれています。

青年期の閉塞性肥大型心筋症 (HOCM) について

肥大型心筋症 (HCM) は、心筋細胞のサルコメアタンパク質における既知もしくは未知の遺伝子変異に起因、または原因不明 (特発性) の原発性心疾患です。HOCM の青年期患者は、主に運動耐容能の低下に関連する重篤な症状を呈します。既存の治療による症状の緩和は可能であるものの、青年期患者の場合、(β 遮断薬の副作用、侵襲的治療に伴うリスクなど) 重大な制限が生じます。

カムザイオスについて

カムザイオスは、世界 5 大陸 60 以上の国と地域で承認され、最も広く研究されている CMI です。米国では、ニューヨーク心臓協会 (NYHA) 心機能分類 II 度又は III 度の症候性 HOCM の成人患者を対象に、身体活動能力および症状の改善を目的として承認されています。欧州では、症候性 (NYHA 心機能分類 II 度又は III 度) HOCM の成人患者に対する治療を適応としています。

カムザイオスは、心筋ミオシンに対する選択的かつ可逆的なアロステリック阻害剤であり、HOCM の根本的な病態生理である心筋の過収縮を標的とします。カムザイオスの投与により心筋の収縮力減弱させることで、HOCM 患者の LVOT 狭窄を軽減し、エネルギー消費を抑制し、心臓充満圧を改善します。これらの作用が、症候性 HOCM 患者における症状の改善、日常生活における活動能力の



向上に寄与します。カムザイオスは、未治療の患者を含め、バックグラウンド治療の有無にかかわらず臨床試験において評価されました。

カムザイオスは、複数の長期的なエビデンスおよびリアルワールド研究に基づく最大5年間の追跡調査を含む、CMIとして世界最大規模のエビデンスに基づき、症状を緩和し、心臓構造に影響を与える一貫した持続的な効果が示されています。カムザイオスは、米国だけで4,500人以上の医療従事者により、2万2,000人以上の患者に処方されています。

ブリストルマイヤーズスクイブについて

ブリストルマイヤーズスクイブは、深刻な病気を抱える患者さんを助けるための革新的な医薬品を開発し、提供することを使命とするグローバルバイオフーマ企業です。詳細は、bms.com/jp、[LinkedIn](#)、[Facebook](#)、[YouTube](#)、[Instagram](#)をご覧ください。

本件に関するお問合せ先

ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社
コーポレート・アフェアーズ
Email: ca@bms.com