※本資料は、ブリストル マイヤーズ スクイブが 2026 年 11 月 6 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のではありません。

ブリストル マイヤーズ スクイブ、肥大型心筋症医学会学術集会で症候性閉塞性肥大型心筋症の小児患者におけるカムザイオス®の第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験 56 週間データを発表

- **第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験で 56 週間を通じて一貫した有効性と安全性が確認され、米国における 体重 30kg 以上の小児患者に対する初の承認薬としてのカムザイオスの位置づけがさらに強まりました**
- **56 週間を通じて、カムザイオスを投与された患者で左室駆出率（LVEF）が 50%未満に低下した患者はおらず、新たな安全性シグナルも報告されませんでした**
- **2026 年米国心臓協会（AHA）学術集会では、多様な患者集団を対象とした臨床試験およびリアルワールドにおけるカムザイオスの幅広いエビデンスをさらに示す追加の発表が行われる予定です**

（ニュージャージー州プリンストン、2026 年 11 月 6 日）－ブリストル マイヤーズ スクイブ（NYSE：BMY/本社：米国）は本日、米国イリノイ州シカゴで開催された肥大型心筋症医学会学術集会の late-breaking 発表において、第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験の 56 週間の結果を発表しました。SCOUT-HCM 試験は、症候性閉塞性肥大型心筋症（HOCM）の 12 歳以上 18 歳未満の小児患者を対象にカムザイオス（一般名：マバカムテン）の有効性および安全性を評価した試験です。今回の追加データは、心筋ミオシン阻害剤（CMI）の中で最も広い適応を有し、米国において症候性 HOCM の小児患者に対して承認された初めての CMI であるカムザイオスへの信頼をさらに高めるものです。56 週間のデータから得られた結果は、本試験で先に報告された 28 週時点の結果と一貫していました。ブリストル マイヤーズ スクイブは、2026 年 11 月 6 日～9 日に米国イリノイ州シカゴで開催される 2026 年米国心臓協会（AHA）学術集会でも、追加の発表を行う予定です。これらの発表は、さまざまな患者集団でのカムザイオスの使用を裏付ける臨床データおよびリアルワールドデータをさらに充実させるものであり、症候性 HOCM の治療薬としてのカムザイオスの一貫した有効性および安全性プロファイルを改めて示すものです。

「この結果は、28 週間のプラセボ対照期間を含む 56 週間の試験を通じて、症候性 HOCM の小児患者におけるカムザイオスの意義ある効果への理解をさらに深めるものであり、重要な意味を持ちます。CMI がこの患者集団を対象にこれほど長期間にわたり、かつ二重盲検試験で評価されたのは初めてです。これらの結果は、症候性 HOCM の小児患者に対して米国で初めて承認された治療選択肢であるカムザイオスについて、医療従事者と患者さんが治療計画や今後の可能性を話し合う際の重要な情報となります」とミュンヘン工科大学（TUM）病院ドイツ心臓センター准教授の Cordula Wolf（M.D.）は述べています。

SCOUT-HCM 試験は、症候性 HOCM の 12 歳以上 18 歳未満の小児患者を対象にカムザイオスをプラセボと比較評価した無作為化二重盲検プラセボ対照第Ⅲ相試験です。無作為化された 44 例のうち 43 例（マバカムテン群 23 例、プラセボ群 20 例）が二重盲検プラセボ対照期間を完了し、実薬投与期間に移行しました。28 週時点に二重盲検プラセボ対照期間を完了した 43 例全例に対し、56 週時点までカムザイオスが投与されました。両投与群の患者で、バルサルバ負荷後の左室流出路（LVOT）圧較差の有意な減少が認められました。マバカムテン群では、56 週間の投与後、ベースラインからの平均変化量は−48.1mmHg でした。プラセボ群でも、マバカムテンへの切り替え後、同程度の圧較差の低下が認められました。両投与群で複数の副次評価項目において意義のある改善が認められ、新たな安全性シグナルは報告されませんでした。

カムザイオスの安全性プロファイルは、SCOUT-HCM 試験で先に報告された結果および成人集団を対象にカムザイオスを評価した既報の第Ⅲ相試験の結果と一貫していました。試験治療下で発現した有害事象（TEAE）および重篤な TEAE の発現は少なく、マバカムテン群では 56 週間の投与期間中にそれぞれ 5 件および 2 件、プラセボ群では 28 週間のマバカムテン投与期間中にそれぞれ 1 件および 0 件でした。56 週間を通じて、LVEF が 50%未満に低下した患者はいませんでした。

「症候性 HOCM は深刻な疾患であり、有効かつ安全な治療法があることが極めて重要です。SCOUT-HCM 試験の今回の追加結果は、HOCM の小児患者さんの治療選択肢を検討される医療従事者の皆様にとって、カムザイオスへの信頼をさらに高めるものです。当社は、心血管疾患に対する新たな治療法の研究開発に取り組んでいます。これらの学術集会で発表されたデータは、症候性 HOCM への理解を深めるとともに、患者さんとそのご家族により意義のある成果をもたらす上で、カムザイオスが果たす役割を明らかにするものです」と、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.）は述べています。

AHA での追加の発表では、症候性 HOCM の成人患者に対する治療選択肢としてのカムザイオスについて、有効性および安全性を支持するエビデンスがさらに示されます。このうち 2 件の発表は、カムザイオスの長期使用における有効性および安全性に関するエビデンスをさらに補強するものです。カムザイオスのリスク評価・緩和戦略（REMS）プログラムのデータでは、4 年間の追跡調査後の安全性の結果が臨床試験で認められた結果と一貫していました。MAVA-LTE 試験の EXPLORER コホートを対象とした心臓 MRI（CMR）解析では、最長 5 年間の追跡期間中、心臓の構造および機能の指標に良好な変化が認められました。カムザイオス投与がプロテオミクスに基づく心血管（CV）リスクスコアに及ぼす影響を評価した EXPLORER-HCM 試験の解析では、HOCM の成人患者において、カムザイオスが心血管アウトカムの予測について検証済みのスコアである CV Risk SomaSignal® Test（SST）スコアを低下させることが示されました。MARVEL-HCM 試験の解析では、サルコメア遺伝子変異の有無で層別化し、カムザイオスの使用がもたらす影響についてリアルワールドでの知見が得られました。有効性および安全性の結果は、変異陽性のサブグループと変異陰性のサブグループで一貫していました。

カムザイオスは、2026 年 9 月に米国食品医薬品局（FDA）により、身体活動能力および症状の改善を目的に体重 30kg（66 ポンド）以上の症候性 HOCM の小児患者に対する治療薬として承認されました。この FDA の承認は、第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験の 28 週時点の肯定的な結果に基づくものです。カムザイオスは、2022 年にニューヨーク心臓協会（NYHA）心機能分類 II 度または III 度の症候性 HOCM の成人患者に対する治療薬として、米国で初めて承認されました。カムザイオスは、CMI の薬剤クラスにおいて、世界最大規模のエビデンスに裏付けられています。

EXPLORER-LTE 試験について

EXPLORER-LTE 試験は、MAVA-LTE 試験（NCT03723655）のコホートであり、第Ⅲ相 EXPLORER-HCM 試験からの継続投与試験として単群・オープンラベル・用量盲検で実施され、カムザイオスの長期安全性および有効性を評価しています。米国、欧州およびイスラエルにおいて EXPLORER-HCM 試験を完了した 231 例の患者が本継続投与試験に登録しました。

第Ⅲ相 SCOUT-HCM 試験について

SCOUT-HCM 試験（NCT06253221）は、症候性 HOCM の小児患者（12 歳以上 18 歳未満）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 週間は実薬投与期間（プラセボ群に無作為割り付けされた患者はカムザイオス群へクロスオーバー）、さらに最長 144 週間の非盲検長期継続投与期間となっています。

ベースライン時に、カムザイオス群およびプラセボ群のそれぞれ 83%および 86%の患者がβ遮断薬を、13%および 10%がカルシウム拮抗薬を、17%および 24%がジソピラミドを使用していました。平均 LVEF はカムザイオス群で 69.0%、プラセボ群で 67.4%、バルサルバ負荷後の LVOT 圧較差の平均値はカムザイオス群で 78mmHg、プラセボ群で 81mmHg でした。患者は 1：1 の比率で無作為に割り付けられ、カムザイオス（開始用量は、体重 35kg 以上 45kg 未満の場合は 2.5mg、体重 45kg 以上の場合は 5mg）またはプラセボを、28 週間にわたり 1 日 1 回投与されました。用量調節は、心エコー検査の臨床パラメータに基づいて行われました。

主要評価項目は、28 週時点のバルサルバ負荷後の LVOT 圧較差（mmHg）のベースラインからの変化量です。副次評価項目（記述的評価のみ）には、有効性評価項目として 28 週時点の安静時および運動負荷後の LVOT 圧較差、最高酸素摂取量（pVO2 がベースラインから増加した患者の割合）、症状（NYHA 心機能分類が 1 段階以上改善した患者の割合）、および肥大型心筋症症状質問票息切れドメイン（HCMSQ SoB）のベースラインからの変化量に加え、安全性および薬物動態の評価項目が含まれています。

カムザイオスについて

カムザイオス（一般名：マバカムテン）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。カムザイオスは、CMI の薬剤クラスにおいて世界最大規模のエビデンスに裏付けられており、その承認は、複数の第Ⅲ相臨床試験（EXPLORER-HCM 試験、VALOR-HCM 試験、SCOUT-HCM 試験、ならびに日本における HORIZON-HCM 試験および中国における EXPLORER-CN 試験）、および複数の主要試験の長期継続投与試験（EXPLORER-LTE 試験、VALOR-HCM LTE 試験）における最大 5 年間の追跡調査に基づいています。これらの試験により、カムザイオスの症状改善効果および心臓の構造と機能への効果が一貫して持続することを示すデータがさらに得られています。

米国では、カムザイオスは、体重 30kg（66 ポンド）以上の成人および小児の症候性 HOCM 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。欧州連合（EU）では、症候性（NYHA 心機能分類 II 度または 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 の原因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が低下することで、HOCM 患者の LVOT 狭窄が軽減し、エネルギー消費が改善し、心臓充満圧が低下します。これらの作用は、症候性 HOCM の成人患者を対象とした臨床試験において、症状の改善および日常生活における活動能力の向上として示されています。米国ではこれまでに 5,000 人を超える医療従事者により、25,000 人以上の成人患者さん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なバイオファーマ製薬企業です。ブリストル マイヤーズ スクイブに関する詳細については、BMS.com をご覧くださるか、LinkedIn、Twitter、YouTube、Facebook および Instagram をご覧ください。

参考文献

1. CAMZYOS [package insert]. Princeton, NJ: Bristol-Myers Squibb Company; 2026.
2. Rossano JW, Canter C, Wolf CM, et al. Mavacamten in Adolescents with Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med. Published online March 29, 2026. doi:10.1056/NEJMoa2601103
3. Rossano J, Canter C, Wolf C, et al. Mavacamten in symptomatic adolescent patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy: design of the phase 3 SCOUT-HCM trial. *Am Heart J*. 2026;292:107283. doi:10.1016/j.ahj.2025.107283

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