

NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2018年10月3日
日本新薬株式会社
広報部
TEL : 075-321-9103

各 位

当社創薬の核酸医薬品 NS-065/NCNP-01 (Viltolarsen) 国内第一/二相臨床試験結果発表のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、社長：前川重信、以下「当社」）は本日、メンドーサ（アルゼンチン）で開催中の第23回世界筋学会（The 23rd International Annual Congress of the World Muscle Society）にて、当社が日本国内で実施した viltolarsen^{*1} の第一/二相試験（以下「本試験」）の結果が発表されましたので、お知らせします。

本試験に関する発表は、国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター（NCNP）トランスレーショナル・メディカルセンター長の小牧宏文博士が治験調整医師として行ったもので、viltolarsen による骨格筋内のジストロフィンタンパク質の産生および運動機能評価の成績について報告しています。

本試験は、viltolarsenの24週間の用量設定試験（Japic CTI-163291）としてデュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）の5歳～12歳の患者（男児）16名に対して40mg/kgあるいは80mg/kgの2用量が投与され、有効性及び安全性を評価したものです。

本試験において、試験薬剤の中止が必要となった有害事象はなく、全ての有害事象は軽度あるいは中等度でした。またエクソン53スキップは全ての患者で確認され、主要評価項目である筋肉内ジストロフィンタンパク質の増加が、16例中14例の患者で認められました。

限られた被験者数での評価ではありますが、副次評価項目であるジストロフィン発現量と運動機能の関連性を評価した解析では、ジストロフィン発現量の多い被験者で運動機能の低下が抑制される傾向が見られました。

DMD は、生命を脅かす進行性の筋疾患であり、筋肉内のジストロフィンタンパク質の欠損が原因で起こる疾患です。DMD 患者の筋肉内ジストロフィンタンパク質を発現させる治療法として、核酸医薬によって RNA スプライシングのパターンを変えるエクソンスキップ療法*2があります。

当社は、このような DMD 患者に対して新たな治療法を提供すべく、日本国内で viltolarsen の臨床試験を実施しました。

本試験に関する情報は、下記ウェブサイトをご覧ください。

<http://www.nspharma.com/>

*1 : Viltolarsen は、ジストロフィンのエクソン 53 スキッピングに応答する遺伝子変異を持つ DMD 患者に治療効果が期待されるモルフォリノ核酸と呼ばれる核酸医薬です。本剤は、当社と NCNP（小平市、理事長：水澤英洋、理事：武田伸一）が共同で見出した、DMD 治療における選択肢として期待されている薬剤です。

*2 : エクソンスキッピングは、アンチセンスと呼ばれる合成核酸を用いて、メッセージンジャーRNA の中でタンパク質に翻訳される領域（エクソン）の一部をスキップさせる治療法です。これによりアミノ酸読み取り枠のずれを修正し、正常なジストロフィンに比べると一部短縮するものの、機能を保ったジストロフィンの発現を誘導します。

以上