

# NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2019年8月22日

日本新薬株式会社

広報部

TEL : 075-321-9103

各位

## 当社開発品 NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン）が 希少疾病用医薬品指定を受けました

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、開発中の核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン、以下「本剤」）について、「エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー」を期待適応症として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けましたのでお知らせします。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、DMD）は、筋肉細胞の骨組みを支えるジストロフィタンパク質の遺伝子変異が原因で、男児に発症する最も頻度の高い遺伝性筋疾患です。正常なジストロフィタンパク質が産生されなくなることによって筋力が低下する重篤な疾患です。現在、DMD の進行を遅らせる有力な治療法としては、ステロイド剤以外に確立されておらず、新たな治療法の開発が期待されています。本剤は、DMD 患者の筋肉中のジストロフィン遺伝子エクソン 53 を読み飛ばすことにより治療効果が期待できる薬剤です。

希少疾病用医薬品とは、国内での対象患者数が 5 万人未満で、かつ医療上特にその必要性が高いこと等が審議され厚生労働大臣が指定する医薬品です。国内での本指定により、製造販売承認に要する期間が数カ月短縮されることが期待できます。また、本剤は、すでに 2015 年 10 月に厚生労働省より先駆け審査指定制度の指定を受けています。

当社は、難病・希少疾患治療剤の開発に使命感を持って取り組んでおり、DMD の患者さんへ福音となるような治療薬をお届けできるよう一日も早い製品化を目指しています。

### 【NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン）】

当社と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（小平市、理事長：水澤英洋、理事：武田伸一）が共同で見出した、モルフォリノ化合物で合成されたアンチセンス核酸と呼ばれる核酸医薬品です。国内では、第一/二相試験を終了し、米国では、当社米国子会社の NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が、第二相試験を実施し、現在 FDA に段階的承認申請を行っています。米国では、すでにファストトラック指定、オーファンドラッグ指定ならびに希少小児疾患指定を受けています。

### 【先駆け審査指定制度】

有効な治療がなく、命に関わる疾患に対して、世界に先駆けて革新的医薬品等を日本発で早期に実用化すべく国内での開発を促進する制度です。本制度の目的は、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで日本における承認審査の期間を短縮することにあります。

以上