

NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2020年5月12日

日本新薬株式会社

広報部

TEL : 075-321-9103

各位

核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン） 第三相臨床試験開始のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市、社長：前川重信、以下「当社」）は、本日、NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン）のグローバル第三相臨床試験について、当社米国子会社 NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州パラマス、社長：田中次男）が日本で最初の患者登録を行ったことのお知らせします。

本試験は、エクソン 53 スキッピングにより治療効果が期待できる歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の男児に対する、ランダム化・二重盲検・プラセボ対照の比較試験であり、日米を含む国際共同試験として実施しています。本試験では本剤の有効性及び安全性を検証することを目的に、本剤 80mg/kg あるいはプラセボを 48 週間、週 1 回静脈内投与し、4 歳から 8 歳未満の DMD 男児 74 例を登録する予定です。本剤の有効性は運動機能テスト*で評価し、床からの立ち上がり時間（TTSTAND）を主要評価項目、その他は副次評価項目として評価します。安全性は、有害事象、臨床検査、心電図、バイタルサイン及び身体検査で評価します。本試験（NCT04060199）の詳細は、ウェブサイト（www.clinicaltrials.gov）をご参照ください。

ビルトラルセンは、エクソン 53 スキッピング療法により治療可能な DMD の患者さん向け治療剤として、2020 年 3 月に日本国内にて製造販売承認を受けています。米国では、食品医薬品局（FDA）に新薬承認申請を行い、FDA から優先審査品目に指定され、2020 年第 3 四半期（暦年）に回答を得ることになります。この重篤な疾患の患者さんへの治療効果を確認するために本試験を実施し確かな責務を果たすことで、本剤の臨床上的特長を明らかにできるものと思っています。

<運動機能テスト*>

- ・ 床からの立ち上がり時間 (TTSTAND)
- ・ 10メートル走行/歩行時間 (TTRW)
- ・ 6分間歩行試験 (6MWT)
- ・ ノーススター歩行能力評価 (NSAA)
- ・ 4段階登り時間 (TTCLIMB)
- ・ 筋力検査 (優位側の肘伸展・肘屈曲、膝伸展・膝屈曲)

<デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) について>

DMD は、主に男性で発生する筋ジストロフィーの進行性の疾患です。DMD は、骨格、心臓、呼吸器の筋肉の進行性の衰弱と萎縮を引き起こします。初期は、座り、立ち、歩きの能力の遅れや、会話習得困難などがあります。また、コミュニケーションや特定の社会的感情スキルに加えて学習や記憶にも影響を与える可能性があります。DMD 患者のほとんどは、13歳までに車椅子を常に使用する状態となります。心臓と呼吸器の筋肉の異常は10代に始まり、深刻な生命を脅かす合併症につながります。

<ビルトラルセン>

米国では、既に希少小児疾患指定、オーファンドラッグ指定ならびに、ファストトラック指定を受けており、日本国内では、2020年3月に迅速承認されました。

<NS Pharma, Inc. >

米国ニュージャージー州に拠点を置く当社の完全子会社です。詳細については、<http://www.nspharma.com/>をご覧ください。

以上