

# NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2018年6月28日

日本新薬株式会社

広報部

TEL : 075-321-9103

各位

## デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 NS-065/NCNP-01 米国およびカナダでの第二相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、米国ニューオーリンズ（ルイジアナ州）で開催中の 2018 New Directions in Biology and Disease of Skeletal Muscle Conference にて、米国およびカナダで実施中の NS-065/NCNP-01\*1の第二相試験（以下、本試験）の結果を発表しましたので、お知らせします。

本試験に関する発表は、米国中部標準時 6 月 27 日、上記 Conference にてピッツバーグ大学のポーラ クレメンズ博士（治験調整医師）が行ったもので、NS-065/NCNP-01 による骨格筋内でのジストロフィンタンパク質の産生を報告しています。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、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 患者の筋肉内の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。エクソン 53 スキッピング薬が治療対象となる遺伝子変異を持つ DMD 患者は、全体の 8%といわれています。

当社の米国子会社である NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）は、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 患者に対する新たな治療法として、米国およびカナダで NS-065/NCNP-01 の臨床試験を実施しています。

NS-065/NCNP-01 の静脈内投与による 24 週間の用量設定試験([clinicaltrials.gov NCT02740972](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02740972))は、7ヶ所の CINRG\*3 サイトにて実施され、4 歳～10 歳の男児 16 名が、週 1 回 40mg/kg あるいは 80mg/kg の 2 用量の群に等しく割り付けられました。薬剤の作用による筋肉内のジストロフィンタンパク質発現の増加が、すべての患者さん(16/16)で認められ、その発現量は正常レベルの平均 5.8% (1.1%–14.4%) でした。

なお、本試験において、重篤な有害事象や薬剤関連の有害事象はなく、全ての有害事象は軽度あるいは中等度でした。

治験調整医師であり、CINRG ネットワークのメディカル ディレクターであるポーラ クレメンズ博士は、次のように述べています。「薬剤により誘導されるジストロフィンタンパク質の発現が、一貫して本試験の患者さん全てに認められたことに対して勇気づけられました。NS-065/NCNP-01により誘導されるジストロフィンタンパク質のレベルは、これまでに報告された DMD エクソンスキッピングの他の臨床試験と比べて高いものでした。」

AGADA BioSciences のバイス プレジデントであり、ニューヨーク州立大学ビンガムトン校の薬学研究科教授であるエリック ホフマン博士は、「NS-065/NCNP-01 誘導によるジストロフィンタンパク質発現の大きな変化は、DMD 患者さんにとって臨床的ベネフィットを期待させるものです。」と述べています。

なお、本発表のスライドは、下記 NS Pharma, Inc.のウェブサイトに掲載されます。

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

\*1 : NS-065/NCNP-01 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。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、DMD 治療における重要な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。

\*3 : Cooperative International Neuromuscular Research Group (CINRG) は、2000年に創設された、小児神経筋疾患に特化した国際的研究機関の臨床試験ネットワークです。これまで、臨床研究あるいは臨床試験に登録された患者数は1,500名に上ります。最近の試験では、10ヶ国25施設において、神経筋専門医によりフォローされたDMD患者440名および100名を越える健常者対象のCINRG デュシェンヌ自然史研究 (DNHS) があります。

[www.cinrgresearch.org](http://www.cinrgresearch.org)

以上