

2025 年 12 月 4 日

日本新薬株式会社

広 報 部

各 位

## CAP-1002 : Capricor 社による臨床第Ⅲ相試験 (HOPE-3 試験) の トップラインデータ発表に関するお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）は、Capricor Therapeutics, Inc.（本社：米国 カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor社」）が米国で開発中のCAP-1002（Deramioce<sup>®</sup>、以下「本剤」）について、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）患者を対象とした臨床第Ⅲ相試験 (HOPE-3試験) の肯定的なトップラインデータに関するプレスリリースを行いましたので、お知らせします。

- HOPE-3 試験において、本剤は主要評価項目である上肢機能評価（PUL v2.0）および重要な副次評価項目である心機能指標（左室駆出率：LVEF）で統計学的有意差を確認（ $p=0.03$  および  $p=0.04$ ）
- 安全性において、本剤は、これまでの臨床経験と一致する良好な安全性および忍容性プロファイルを維持
- これらの結果から、本剤は DMD 心筋症の治療を目的としたファーストインクラスの治療薬となる可能性を示す
- Capricor 社は、審査完了報告通知（Complete Response Letter）への対応として、FDA との事前合意に基づき、HOPE-3 試験データを提出する予定

詳細につきましては、Capricor社からのプレスリリースをご確認ください。

<https://www.capricor.com/investors/news-events/press-releases/detail/331/capricor-therapeutics-announces-positive-topline-results>

米国において本剤が承認された場合、当社の米国子会社であるNS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が販売・販促活動を実施する予定です。当社は、引き続きCapricor社との連携を密にして、一日も早く本剤を米国の患者さんにお届けできるよう、準備を進めてまいります。

### **CAP-1002 (Deramioce) について**

CAP-1002は、同種異系心筋由来細胞（CDCs）で構成されています。これらの細胞は前臨床および臨床試験において、筋ジストロフィー（DMDなど）における心筋および骨格筋機能の維持に寄与する強力な免疫調節作用と抗線維化作用を発揮することが示されています。CDCsは、エクソソームと呼ばれる細胞外小胞の分泌を介してマクロファージの働きを調整し、炎症を抑制して治癒を促進します。なお、本剤は米国では再生医療先端治療（RMAT）指定および希少小児疾患指定を、欧州では先端治療医薬品（ATMP）指定および希少小児疾患指定を受けています。

### **HOPE-3 試験について**

HOPE-3試験は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）患者を対象に、CAP-1002の安全性と有効性を評価する第Ⅲ相、多施設共同、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の臨床試験です。適格基準を満たした歩行可能または歩行不能の男児は、試験開始から12ヵ月間にわたり、3ヵ月ごとに合計4回、CAP-1002またはプラセボが投与されました。なお、本試験には合計106名の患者が登録されました。詳細については、ClinicalTrials.gov（[NCT05126758](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05126758)）をご参照ください。

### **Capricor Therapeutics, Inc. について**

Capricor社は、希少疾患の治療環境を一新するため、細胞およびエクソソームをベースとした革新的な治療薬の開発に取り組んでいるバイオテクノロジー企業です。また、Capricor社は、エクソソーム技術を活用したワクチン、オリゴヌクレオチドの標的送達、タンパク質、低分子治療薬に焦点をあてた前臨床段階の開発を行っており、独自のStealthX™プラットフォームを使用して多様な疾患の治療と予防の可能性を追求しています。詳しくは、<https://www.capricor.com> をご覧ください。

以上