

NEWS RELEASE



2026年1月29日

日本新薬株式会社

広報部

各 位

REGENXBIO 社のムコ多糖症治療薬に関する規制当局対応の最新情報についてのお知らせ

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、ムコ多糖症治療薬 RGX-111 および RGX-121 について、REGENXBIO Inc.（本社：米国メリーランド州ロックビル、最高経営責任者（CEO）：Curran M. Simpson、以下「REGENXBIO 社」）が米国食品医薬品局（FDA）より、臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を受けたことをお知らせいたします。

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

<https://ir.regenxbio.com/news-releases/news-release-details/regenxbio-announces-regulatory-update-ultra-rare-mps-programs>

RGX-111 および RGX-121 は、REGENXBIO 社がそれぞれムコ多糖症Ⅰ型（MPSⅠ、ハーラー症候群）およびムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ、ハンター症候群）の治療を目的として開発している遺伝子治療薬です。なお、RGX-121 は FDA において 2025 年 5 月に生物学的製剤承認申請（BLA）が受理され、現在、審査中です。

当社は、2025 年 1 月に米国における独占的販売権と日本を含むアジアにおける独占的開発販売権を REGENXBIO 社から取得しています。今後、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。

REGENXBIO Inc. について

REGENXBIO 社は、遺伝子治療による疾患の治癒によって人々の生活の改善を目指すバイオテクノロジー企業です。2009 年の設立以来、REGENXBIO 社はアデノ随伴ウイルスを用いた革新的な遺伝子治療薬開発を行っています。詳細については、www.regenxbio.com をご覧ください。

以上