

NEWS RELEASE



2026 年 2 月 10 日
日本新薬株式会社
広報部

各 位

RGX-121 の生物製剤承認申請に関する審査完了報告通知の受領について

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Ⅱ型（以下「MPSⅡ」）を期待適応症とするRGX-121 (clemidsogene lanparvovec、以下「本剤」）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FDA（食品医薬局）から審査完了報告通知（Complete Response Letter、以下「CRL」）を受領したことをお知らせします。

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-rgx-121-bla-mps-ii>

REGENXBIO社は、現在、CRLの内容を精査しており、FDAと協議しながら、米国における次のステップを決定する予定です。当社は、REGENXBIO社と緊密に連携しながら今後のスケジュールを検討してまいります。

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。米国での販売に向けた準備については、NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が引き続き担う予定です。

審査完了報告通知（Complete Response Letter）について

FDA（食品医薬局）が承認申請の審査が完了した時点で、現在の申請内容では承認を出せないと判断した場合に、申請者に対して発行する通知書です。

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