

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2026年3月11日

日本新薬株式会社

広報部

各位

CAP-1002：新たな PDUFA date が設定されたことをカプリコール社が発表

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、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）心筋症を期待適応症とする CAP-1002 (deramioce), 以下「本剤」）について、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 FDA（食品医薬局）から生物製剤承認申請 (BLA) に対する審査が再開された旨の連絡を受けたことのお知らせです。また、FDA による PDUFA date（審査終了目標日）は 2026 年 8 月 22 日（米国時間）に再設定されました。

本剤は、2025 年 7 月に審査完了報告通知 (Complete Response Letter、以下「CRL」) を受領しました。その後、臨床第Ⅲ相試験 (HOPE-3 試験) のデータおよび関連資料の提出により、FDA は CRL を解除し、審査が再開されました。

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/338/capricor-therapeutics-announces-establishment-of-new-pdufa>

当社は、2022 年 1 月に米国、2023 年 2 月に日本における本剤の独占的販売契約を Capricor 社と締結しています。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。

DMD は、筋肉細胞を支えるジストロフィンタンパク質の欠損が原因で骨格筋、心筋、肺の筋力低下を引き起こす進行性の筋ジストロフィーです。DMD 患者では心筋細胞が徐々に死滅して瘢痕組織に置き換わり心筋症となります。心筋症により最終的に心不全が起こり、これが DMD 患者の主要な死因となっています。DMD 心筋症に対する治療法は限られており、有効な治療法の開発が求められています。

本剤は、ヒト心筋から製造される細胞医療製品です。本剤から分泌されるエクソソーム（細胞外小胞）により、酸化ストレス・炎症・線維化の低減を促し、運動機能や心機能を改善すると考えられており、遺伝子変異の種類によらず、幅広いDMD患者層に効果が期待されています。

当社では難病・希少疾患を注力領域として位置づけており、日本および米国において、自社開発品のDMD治療剤であるビルテプソ®（核酸医薬品）を自社販売しています。細胞医療製品である本剤が米国FDAから承認されることにより、DMDでお困りの米国の患者さんの治療により貢献するものと期待しています。

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