

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2026年5月15日

日本新薬株式会社

広報・IR部

各 位

REGENXBIO 社のムコ多糖症Ⅱ型治療剤「RGX-121」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、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」）が開発中の RGX-121 に関する規制当局対応の最新情報を開示しましたので、以下にお知らせいたします。

- ・ 米国食品医薬品局（FDA）は、RGX-121 臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を解除
- ・ REGENXBIO 社は、RGX-121 に関する審査完了報告通知（CRL：Complete Response Letter）に対する申し立てを行い、今後の進め方について当局と協議を継続

RGX-121 は、REGENXBIO 社がムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ、ハンター症候群）の治療を目的として開発を進めている遺伝子治療薬です。当社は、2025年1月に米国における RGX-121 の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。米国での承認取得後は、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。

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