

NEWS RELEASE



2026 年 8 月 25 日

日本新薬株式会社

広報・IR 部

各 位

REGENXBIO 社のムコ多糖症Ⅱ型治療薬「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、ムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ、ハンター症候群）治療薬として開発中の 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-rgx-121-mps-ii>

なお、現時点において REGENXBIO 社は FDA からクリニカルホールドレターを受領していません。今後の RGX-121 の開発方針については FDA からのフィードバックも踏まえながら検討していく予定です。

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し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。米国において本剤が承認された場合、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