

NEWS RELEASE



2026 年 8 月 26 日

日本新薬株式会社

広報・IR 部

各 位

福山型先天性筋ジストロフィー治療剤「NS-035」 先駆的医薬品指定のお知らせ

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、このたび、福山型先天性筋ジストロフィー（FCMD）を対象として開発を進めている「NS-035」（以下「本剤」）について、厚生労働省から先駆的医薬品指定を受けたことをお知らせします。

先駆的医薬品指定とは、重篤な疾患に対する画期的な新薬を、早期に日本の患者さんに届けるための制度です。指定される医薬品は「治療薬の画期性」「対象疾患の重篤性」「対象疾患に係る極めて高い有効性」「世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制」の 4 つの要件をすべて満たしていると認められるものであり、指定により、審査期間の短縮等のさまざまな支援措置を受けることが可能となります。

FCMD は先天性の筋ジストロフィーで、特に日本人に多くみられる遺伝性疾患です。筋線維の変性・壊死が生じ、進行性の筋力低下を呈するため、歩行可能な患者さんは限られています。多くの場合、10 歳前後で寝たきりとなり、誤嚥性肺炎や呼吸不全により亡くなるとされています。現在はリハビリテーションや対症療法が中心であり、国内外で承認された根本的治療薬が存在していないことから、新たな治療薬が望まれています。

本剤は、FCMD の原因遺伝子であるフクチン遺伝子の変異による不完全な蛋白質産生の修復を目的として創製された、新規のアンチセンス核酸医薬品です。本剤により正常なフクチン蛋白の産生を促進することで、筋機能低下の進行抑制および症状改善につながることが期待されています。

当社は、難病・希少疾患治療剤の開発に使命感を持って取り組んでおり、FCMD でお困りの患者さんに必要な治療薬をお届けできるよう、一日も早い製品化を目指しています。

以上