

2026年10月1日
日本新薬株式会社
広報・IR部

各 位

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ブロギジルセン（NS-089/NCNP-02）」の 世界筋学会における投与5年までの結果発表について

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、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤「ブロギジルセン」（開発番号：NS-089/NCNP-02、以下「本剤」）について、医師主導治験およびその継続投与試験に基づく投与5年までの有効性および安全性が学会発表されたことをお知らせします。

当該データは、2026年9月29日～10月3日に広島で開催された第31回世界筋学会（The 31st annual International Congress of the World Muscle Society）において、国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（小平市、理事長：中込 和幸、以下「NCNP」）によってポスター発表されました。

【ポスタータイトル】

Brogidirsen 5-Year Safety and Efficacy Outcomes in Duchenne Muscular Dystrophy Patients: Findings From an Ongoing Open-Label Extension Study

本剤は、当社とNCNPとの共同研究により見出された核酸医薬品であり、ジストロフィン遺伝子のエクソン44スキップによって治療可能なDMD患者に対する治療薬として期待されています。

今回の発表されたデータは、NCNPが実施した医師主導治験および当社が実施中の継続投与試験から取得されたものです。6例のDMD患者に対し、本剤を週1回静脈内投与し、投与開始から5年までの有効性および安全性を評価しました。

有効性評価の結果、歩行可能な状態を維持していた被験者では、ノース・スター歩行能力評価において、運動機能の維持または改善が認められました。また、試験途中で歩行不能となった被験者を含め全被験者において、上肢機能は維持されていました。安全性評価の結果、本剤の投与によって重篤な有害事象やアナフィラキシーなどの投与時反応は認められず、また、投与を中止した被験者も確認されませんでした。

これらの結果は、本剤がDMDの進行抑制に寄与する可能性を示唆しています。

継続投与試験は現在も継続しており、より長期の有効性、安全性について引き続きデータを収集していく予定です。また、現在、本剤のグローバル第Ⅱ相試験を当社および当社の米国子会社 NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：杉山 幸輝）が実施中です。

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、DMDでお困りの患者さんに新しい治療の選択肢を一日でも早くお届けできるよう、今後も一層の努力を続けてまいります。

以上