2026 年 11 月 24 日
日本新薬株式会社
Nanoscope Therapeutics, Inc.

各位

遺伝性網膜ジストロフィー治療薬 MCO-010 の日本における独占的販売提携契約締結のお知らせ

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」）と Nanoscope Therapeutics, Inc.（本社：米国テキサス州ダラス、最高経営責任者（CEO）：Sulagna Bhattacharya、以下「Nanoscope 社」）は、本日、国内にて製造販売承認申請中の遺伝性網膜ジストロフィー治療薬 MCO-010（以下「本剤」）について、国内における独占的な販売提携契約を締結したことをお知らせします。

遺伝性網膜ジストロフィー（inherited retinal dystrophies：IRD）は、多様な遺伝子変異を原因として網膜の視細胞が徐々に障害されることで視機能が低下する希少疾患の総称であり、網膜色素変性症（retinitis pigmentosa：RP）、スターガルト病、錐体杆体ジストロフィー、レーバー先天黒内障などが含まれます。原因遺伝子は多岐にわたり、多くの患者さんにおいて治療選択肢が限られています。特に RP は、IRD の中でも代表的な疾患の一つであり、日本では指定難病とされています。本疾患では、網膜の視細胞が徐々に変性することで視機能が低下し、夜盲や視力低下などがみられ、病状の進行に伴い重度の視覚障害に至ることがあります。

当社社長の中井 亨は「本剤は、現在治療薬がない IRD の治療に大いに貢献できるものと期待しています。この新しい眼科遺伝子治療剤、およびその画期的な技術を有する Nanoscope 社と協力できる機会に恵まれたことを大変うれしく思います。」と述べています。

Nanoscope 社 CEO の Sulagna Bhattacharya は「希少疾患に注力し、日本で確固たる事業基盤を有する日本新薬と提携できることを大変嬉しく思います。日本においても、IRD には依然として大きなアンメット・メディカル・ニーズがあります。現在、本剤は製造販売承認申請中ですが、一日も早く患者さんに本剤をお届けできるよう取り組んでまいります。」と述べています。

本剤は、Nanoscope 社独自の MCO（Multi-Characteristic Opsin）技術を用いた、単回の硝子体内投与による光遺伝学的（オプトジェネティクス）遺伝子治療です。網膜に残存する高密度の双極細胞に MCO を発現させることで光感受性を付与し、原因遺伝子の種類によらず、視細胞が失われた患者さんにおける視機能の回復を目指します。2026 年 1 月に厚生労働省より先駆的再生医療等製品指定および希少疾病用再生医療等製品指定を受けており、Nanoscope 社は 2026 年 9 月に重度の視力低下を有する遺伝性網膜ジストロフィーを適応症として、国内で製造販売承認申請を行いました。承認された場合、本剤は遺伝子検査を必要とせず、医療機関において 1 回の投与で治療が完了するため、RP およびその他の IRD 患者さんに対する新たな治療選択肢となる可能性があります。

先駆的再生医療等製品指定について

先駆的再生医療等製品指定とは、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。指定される再生医療等製品は「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。

希少疾病用再生医療等製品指定について

希少疾病用再生医療等製品指定とは、国内での対象患者数が 5 万人未満で、かつ医療上特にその必要性が高いこと等が審議され、厚生労働大臣が指定する再生医療等製品です。希少疾病用再生医療等製品の指定により、開発などに対してさまざまな支援措置を受けることが可能となります。

日本新薬について

日本新薬は、経営理念「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」のもと、病気でお困りの患者さんとご家族にとって必要となる特長あるくすり創りを通して、社会から信頼される企業を目指しています。当社が取り扱っている製品等、詳細な情報については https://www.nippon-shinyaku.co.jp/ をご覧ください。

Nanoscope 社について

Nanoscope 社は、アンメット・メディカル・ニーズの高い難治性網膜疾患により視覚を失った世界中の患者さんに、人生を変える治療法を届けることを目指しています。患者さんを中心に据えた研究開発を通じて、網膜疾患治療の変革に取り組んでいます。米国食品医薬品局（FDA）は、重度の視力低下を伴う RP を対象とする本剤の生物製剤承認申請（BLA）を受理しており、現在審査中です。Nanoscope 社の詳細な情報については https://nanostherapeutics.com/をご覧ください。

日本新薬の連絡先

e mail_kouhou@po.nippon-shinyaku.co.jp

Nanoscope 社の連絡先

PR@nanostherapeutics.com

以上