

NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2018年6月28日
日本新薬株式会社
広報部
TEL : 075-321-9103

各位

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 NS-065/NCNP-01 国内第一/二相試験結果発表のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、社長：前川重信、以下 当社）は、本日、ニューオーリンズ（ルイジアナ州）で開催中の 2018 New Directions in Biology and Disease of Skeletal Muscle Conference にて、日本国内で実施した NS-065/NCNP-01^{*1} の第一/二相試験（以下、本試験）の結果を発表しましたので、お知らせします。

本試験に関する発表は、米国中部標準時 6 月 27 日、国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター（NCNP）トランスレーショナル・メディカルセンター長の小牧宏文博士（治験調整医師）が行ったもので、NS-065/NCNP-01 による骨格筋内のジストロフィンタンパク質の産生を確認したと報告しています。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、DMD）は、生命を脅かす進行性の筋疾患であり、筋肉内のジストロフィン蛋白の欠損が原因で起こる疾患です。DMD 患者の筋肉内ジストロフィン蛋白を発現させる治療法として、核酸医薬によって RNA スプライシングのパターンを変えるエクソンスキップ療法^{*2}があります。エクソン 53 スキッピング薬が治療対象となる遺伝子変異を持つ DMD 患者は、全体の 8%といわれています。当社は、このような DMD 患者に対して新たな治療法を提供すべく、日本国内で NS-065/NCNP-01 の臨床試験を実施しました。

NS-065/NCNP-01の静脈内投与による24週間の用量設定試験（Japic CTI-163291）では、5歳～12歳の男児16名を、週1回40mg/kgあるいは80mg/kgの2用量の群に等しく割り付け、試験を実施しました。筋肉内ジストロフィンタンパク質の測定は、各用量群で12週時（8例）または、24週時（8例）に実施しました。その結果、薬剤の作用による筋肉内ジストロフィンタンパク質の増加が、16例中14例の患者で認められ、24週時に筋肉内ジストロフィンタンパク質の測定を行った患者8例の発現量は、40mg/kgの群（4例）で正常レベルの平均1.92%（0.41%～3.91%）、80mg/kgの群（4例）で正常レベルの平均5.21%（1.05%～8.08%）でした。

筋肉内ジストロフィンタンパク質の増加はNS-065/NCNP-01の用量及び投与期間に依存する傾向が認められました。

なお、本試験において、全ての有害事象は軽度あるいは中等度でした。

治験調整医師である小牧宏文博士は、「国内での第一/二相試験により、DMD 患者でジストロフィンタンパク質の発現が確認できたことの意義は大きい。本剤が未だ有効な治療法のない国内のDMD 患者の治療に貢献することを期待している。」と述べています。

*1：NS-065/NCNP-01 は、ジストロフィンのエクソン 53 スキッピングに応答する遺伝子変異を持つ DMD 患者に治療効果が期待されるモルフォリノ核酸と呼ばれる核酸医薬である。当社と NCNP（小平市、理事長：水澤英洋、理事：武田伸一）が共同で見出した、DMD 治療における重要な選択肢として期待されている薬剤です。

*2：エクソンスキッピングは、アンチセンスと呼ばれる合成核酸を用いて、メッセンジャーRNAの中でタンパク質に翻訳される領域（エクソン）の一部をスキップさせる治療法です。これによりアミノ酸読み取り枠のずれを修正し、正常なジストロフィンに比べると一部短縮するものの、機能を保ったジストロフィンの発現を誘導します。

以上