

NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2018年10月3日
日本新薬株式会社
広報部
TEL : 075-321-9103

各位

当社創薬の核酸医薬品 NS-065/NCNP-01 (Viltolarsen) 米国およびカナダでの第二相臨床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、メンドーサ（アルゼンチン）で開催中の第23回世界筋学会（The 23rd International Annual Congress of the World Muscle Society）にて、当社の米国子会社である NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が米国およびカナダで実施した viltolarsen^{*1}の第二相臨床試験（以下「本試験」）の結果が発表されましたので、お知らせします。

本試験に関する発表は、治験調整医師であるピッツバーグ大学メディカルセンターのポーラ・クレメンズ博士が行ったもので、viltolarsen による骨格筋内のジストロフィンタンパク質の産生および運動機能評価の成績について報告しています。

本試験では、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）患者（男児）16例に対して、viltolarsen が 40 mg/kg あるいは 80 mg/kg のいずれかの用量で約 24 週間投与されましたが、そのうち最初の 4 週間、プラセボを投与された 5 例も含まれています。

Viltolarsen 投与後 20～24 週で、40mg/kg 群、80mg/kg 群ともにエクソン 53 スキップとジストロフィン発現が認められました。Viltolarsen による治療患者は、運動機能検査において、自然歴のコントロールと比較して、10m 歩行／走行速度、仰臥位からの起き上がり速度および 6 分間歩行距離において改善を示しました。限られた症例数での評価であり確定的ではありませんが、「運動機能検査におけるこれら予備的な知見は、DMD 患者の臨床的改善を示唆する」とポーラ・クレメンズ博士は述べています。

本試験において、試験薬剤の中止または用量の減少が必要となった薬剤関連有害事象はなく、すべての有害事象は軽度または中等度でした。

本試験は CINRG ^{*2} という国際神経筋研究グループの協力のもと実施したものです。

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タンパク質の欠損が原因で起こる疾患です。DMD 患者の筋肉内のジストロフィンタンパク質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*3があります。

本試験に関する情報は、下記ウェブサイトをご覧ください。

<http://www.nspharma.com/>

連絡先：

NS Pharma, Inc. (米国ニュージャージー州パラマス)

<http://www.nspharma.com/>

Tel : + 1-201-986-3860

ファックス : + 1-201-986-3865

E メール : info@nspharma.com

日本新薬株式会社 (京都市)

<http://www.nippon-shinyaku.co.jp/english/>

Tel : 075-321-9103

ファックス : 075-321-9128

E メール : kouhou@mb.nippon-shinyaku.co.jp

*1 : Viltolarsen 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す。当社と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 : 水澤英洋、理事 : 武田伸一) が共同で見い出した、DMD 治療における選択肢として期待されている薬剤です。

*2 Cooperative International Neuromuscular Research Group (CINRG) は、2000 年に創設された、小児神経筋疾患に特化した国際的研究機関の臨床試験ネットワークです。これまで、臨床研究あるいは臨床試験に登録された患者数は 1,500 名に上ります。最近の試験では、10 ヶ国 25 施設において、神経筋専門医によりフォローされた DMD 患者 440 名および 100 名を越える健常者対象の CINRG デュシェンヌ自然史研究 (DNHS) があります。

www.cinrgresearch.org

*3 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