

NEWS RELEASE



2019年9月26日
日本新薬株式会社
広報部
TEL : 075-321-9103

NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン）の 国内製造販売の承認申請を行いました。

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、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を対象に開発を進めている核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン、以下「本剤」）について、このたび厚生労働省に製造販売の承認申請を行いましたのでお知らせします。

DMD は、筋肉細胞の骨組みを支えるジストロフィンタンパク質の遺伝子変異が原因で、正常なジストロフィンタンパク質が産生されないことにより筋力が低下する、男児に発症する頻度の高い遺伝性筋疾患です。現在、DMD の進行を遅らせる治療法としては、ステロイド剤以外に確立されておらず、新たな治療法の開発が期待されています。

本剤は、DMD 患者の筋肉中のジストロフィン遺伝子のエクソン 53 を迂回して、機能のあるジストロフィンタンパク質を産生することによって治療効果を期待する薬剤です。

2015年10月に厚生労働省より先駆け審査指定制度の対象品目として指定を受けており、本年8月20日に希少疾病用医薬品の指定も受けています。

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、DMD の患者さんへ福音となるよう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。

【NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン）】

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）が共同で見出した、モルフォリノ化合物で合成されたアンチセンス核酸と呼ばれる核酸医薬品です。国内では、第一/二相試験を終了し、米国では、当社米国子会社の NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が第二相試験を実施しました。米国では、現在 FDA に段階的承認申請を行っており、すでにファストトラック指定、オーファンドラッグ指定ならびに希少小児疾患指定を受けています。

【先駆け審査指定制度】

有効な治療法がなく、命に関わる疾患に対して、世界に先駆けて革新的医薬品等を日本発で早期に実用化すべく国内での開発を促進する制度です。本制度の目的は、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで日本における承認審査の期間を短縮することにあります。

【希少疾病用医薬品】

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医薬品です。

以上