

# NEWS RELEASE



2019年10月2日  
日本新薬株式会社  
広報部

各位

NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)  
米国 FDA へ新薬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、エクソン 53 スキッピングに応答する遺伝子変異を持つ 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、米国 FDA（食品医薬局）へ新薬承認申請の段階的提出を完了し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、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 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。

米国では、既に希少小児疾患指定、オーファンドラッグ指定ならびに、ファストトラック指定を受けており、日本国内では、先駆け審査指定制度の対象品目ならびに希少疾病用医薬品としても指定を受けています。また、9月26日に厚生労働省へ承認申請を行ったことをすでにお知らせしています。

なお、米国では当社米国子会社である NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が臨床試験を実施しております。この段階的提出完了につづき、当社と NS Pharma, Inc. は、承認審査要件に沿った申請資料の受理に向けて、FDA に対応していきます。

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。

以上