

# NEWS RELEASE



健康未来、創ります  
日本新薬  
2019年10月7日  
日本新薬株式会社  
広報部  
TEL：075-321-9103

各 位

## 核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン） 国内第一/二相臨床試験の追加解析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、コペンハーゲン（デンマーク）で開催された第24回世界筋学会（The 24<sup>th</sup> International Annual Congress of the World Muscle Society）にて、当社が日本国内で実施したNS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン）の第一/二相試験（以下「本試験」）の追加解析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、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が治験調整医師として行ったもので、ビルトラルセンによる骨格筋内のジストロフィンタンパク質の産生、運動機能試験および筋力検査の成績を報告しています。

本試験については、昨年10月に開催された第23回世界筋学会でも発表され、ビルトラルセンの24週間の用量設定試験（Japic CTI-163291）において、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）の5歳～12歳の患者（男児）16名に対して、40mg/kgあるいは80mg/kgの2用量を投与した際の有効性及び安全性を報告しています。投与期間中、投与中止が必要となった有害事象はなく、全ての有害事象は軽度あるいは中等度であったこと、また、エクソン53スキップは全ての患者で確認され、主要評価項目であ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たことを報告しています。

今年の第24回世界筋学会では、昨年の報告に加え、限られた被験者数での評価ですが、副次評価項目である筋力検査の追加解析を行い、80mg/kg投与群で筋力の上昇傾向が認められました。また、ジストロフィン発現量と筋力の関連性を評価した解析では、一部の筋力検査でジストロフィン発現量の多い被験者で筋力が増加する傾向が見られました。

DMD は、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、進行性の遺伝性筋疾患です。DMD 患者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があります。

当社は、このような DMD 患者に対して、福音となるような新たな治療選択肢を提供すべく、日本国内においてビルトラルセンの開発を行っています。

### 【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。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。国内では、第一/二相試験を終了し国内製造販売の承認申請中であり、米国では、第二相試験を終了し FDA への新薬承認申請の段階的提出を完了しました。

### 【エクソンスキップ療法】

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