

# 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) 米国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、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 24th 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パラマス、社長：田中次男）が実施しているデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の患者における NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン）の第二相臨床試験結果（以下「本試験」）について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、治験調整医師であるピッツバーグ大学ポーラ・クレメンズ医師が行ったもので、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について報告しています。

本試験では DMD 患者男児 16 名（4～9 歳）を対象に、20～24 週間、ビルトラルセン 40mg/kg あるいは 80mg/kg が週一回静脈内投与され（5 名は治療の最初の 4 週間はプラセボを投与）、引き続いて、全ての患者が 144 週のオープンラベル継続試験に参加しました。

20～24週間のビルトラルセン投与後、患者の筋肉中ジストロフィンタンパク質の発現とエクソン53スキップが有効に認められるかについて検査され、また、運動機能試験は、立ち上がり時間、10メートル走行・歩行速度、4段昇降時間、6分間歩行距離、およびノーススター評価

（NSAA）スコアについて評価されました。安全性については試験薬剤の中止の有無、軽度ないし中等度を含むすべての有害事象の有無について検討されました。

試験結果を受けて、ピッツバーグ大学ポーラ・クレメンズ医師は次のようにコメントしています。「本試験の24週間の結果および、73週間に延長されたオープンラベル試験からの予備的な試験結果は、ビルトラルセンのさらなる開発を支持するものです」。

ビルトラルセンはエクソン 53 スキッピング対象の DMD 患者対象の治療薬として、新薬承認申請中の開発品であり、安全性および有効性の薬事規制当局による評価は終了していません。また、米国または全世界にて DMD 治療薬として承認されていません。その他本試験に関する追加情報は [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov)（24 週間の試験：NCT02740972；144 週間のオープンラベル試験：NCT03167255）に掲載されています。

<デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) について>

DMD は、主に男性で発生する筋ジストロフィーの進行性の疾患です。DMD は、骨格と心臓の筋肉の進行性の衰弱と萎縮を引き起こします。初期には、座ったり、立ったり、歩いたりする能力の遅れや、会話習得困難などがあります。また、コミュニケーションや特定の社会的感情スキルに加えて学習や記憶にも影響を与える可能性があります。DMD 患者のほとんどは、13歳までに車椅子を常に使用する状態となります。心臓と呼吸器の筋肉の異常は10代に始まり、深刻な生命を脅かす合併症につながります。

<NS Pharma, Inc.>

米国ニュージャージー州に拠点を置く当社の完全子会社です。詳細については、<http://www.nspharma.com/>をご覧ください。

以上