

2019年11月6日  
日本新薬株式会社  
広報部

各位

## 核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン） 条件付き早期承認制度対象品目指定のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市、社長：前川重信、以下「当社」）はこの度、核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（一般名 ビルトラルセン）が厚生労働省より条件付き早期承認制度\*の対象品目として指定を受けましたので、お知らせします。

ビルトラルセンは、エクソン 53 スキッピングにより治療可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を期待適応症として、本年9月に国内で承認申請したアンチセンス核酸です。DMD は、筋肉内のジストロフィンタンパク質の欠失が原因で発症する進行性の遺伝子疾患であり、現在、本疾患治療法としては、対症療法としてのステロイド剤以外に確立されたものはなく、原因に即した新たな治療法の開発が期待されています。

本剤は、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、本年8月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。

### \*条件付き早期承認制度

「条件付き早期承認制度」とは、重篤な疾患であって有効な治療方法が乏しく、患者数が少ない疾患等の理由で第三相試験などの検証的臨床試験を行うことが難しい医薬品・医療機器・再生医療等製品について、発売後に有効性・安全性を評価することを条件に承認する制度です。本制度の対象品目は、第三相試験をせずに早期の承認申請が可能となり、優先審査が適用されるため審査期間も短縮されます。重篤な疾患に対する有用な医薬品をいち早く承認することが本制度の目的です。

以下の4条件に該当すると認められた医薬品を対象に指定されます。

- ① 適応疾患が重篤である
- ② 医療上の有用性が高い
- ③ 検証的臨床試験の実施が困難であるか、実施可能であっても患者数が少ないこと等により実施に相当期間を要する
- ④ 検証的試験以外の臨床試験等の成績により、一定の有効性、安全性が示される

本制度の詳細については、下記 URL をご参照ください。

<https://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000184962.pdf>

【 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医薬品です。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 へ新薬承認申請しました。

以上