

# NEWS RELEASE



2020年2月7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) の 米国 FDA への承認申請が受理されました。

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、社長：前川重信）は、このたび、核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン）について、米国 FDA（食品医薬局）から承認申請を受理した旨の連絡を受けましたのでお知らせします。

ビルトラルセンは、ジストロフィン遺伝子のエクソン 53 をスキップさせて有効性が期待できるデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤です。当社は、ビルトラルセンの米国での第二相試験を実施し、その試験結果に基づいて昨年 9 月に FDA へ承認申請しました。このたびの申請受理により、ファストトラック指定を受けている本剤は、優先審査が適用され、FDA による審査終了目標日（PDUFA date）は 2020 年第 3 四半期（7～9 月）となります。

なお、米国では、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、社長：田中次男）が臨床試験を担当し、FDA との対応にあたっていました。NS Pharma, Inc.の詳細については、Web サイト（<http://www.nspharma.com/>）をご覧ください。

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。

### 【DMD】

DMD は、筋肉細胞の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、男児への発症頻度の高い遺伝性筋疾患です。

### 【ビルトラルセン】

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、日本においては、先駆け審査指定制度および条件付き早期承認制度の対象品目として指定を受け、また、希少疾病用医薬品としても指定を受けています。昨年 9 月に厚生労働省へ承認申請を行ったことは、すでにプレスリリース等でお知らせしています。

以上