

2020年3月25日

日本新薬株式会社

広報部

## 日本新薬、ビルテプソ®点滴静注 250mg の国内製造販売承認を取得

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、ビルテプソ®点滴静注 250mg（一般名：ビルトラルセン、開発記号：NS-065/NCNP-01）について、このたび厚生労働省より製造販売承認を取得しましたのでお知らせします。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）は、筋肉細胞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ず筋力が低下する、主に男児に発症する進行性の遺伝性筋疾患です。これまでの DMD 治療では、対症療法としてステロイド剤の投与はありますが、DMD の発症原因となるジストロフィンタンパク質の産生を促す薬剤はなく、新たな治療剤が期待されていました。

本剤は、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、国産初のモルフォリノ型のアンチセンス核酸で、DMD 患者の筋肉中にある変異したジストロフィン遺伝子のエクソン 53 をスキップさせることにより、機能のあるジストロフィンタンパク質の産生を促す医薬品です。本剤の投与によりエクソン 53 スキップに応答する遺伝子変異を有する DMD 患者で治療効果が期待されます。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され、昨年8月には希少疾病用医薬品に指定され、さらに10月に条件付早期承認制度の適用を受けました。

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、このたび製造販売承認を受けた本剤が、今後の DMD 治療に貢献できるものと期待しています。

### ビルテプソ承認内容の概要

販売名	ビルテプソ®点滴静注250mg
一般名	ビルトラルセン（viltolarsen）
剤形・含量	1バイアル（5mL）中にビルトラルセン250mgを含有する水性注射液
効能・効果	エクソン53スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー
用法・用量	通常、ビルトラルセンとして80mg/kgを週1回、1時間かけて静脈内投与する

### 【ビルテプソ】

国内では、第一/二相試験を終了した後、2019年9月に承認申請しました。米国では当社米国子会社のNS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が第二相試験を担当し、米国FDAに承認申請中です。米国においては、ファストトラック指定、オーファンドラッグ指定ならびに希少小児疾患指定を受けています。

### 【先駆け審査指定制度】

有効な治療法がなく、命に関わる疾患に対して、世界に先駆けて革新的医薬品等を日本発で早期に実用化すべく国内での開発を促進する制度です。本制度の目的は、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで日本における承認審査の期間を短縮することにあります。

### 【希少疾病用医薬品】

希少疾病用医薬品とは、国内での対象患者数が5万人未満で、かつ医療上特にその必要性が高いこと等が審議され厚生労働大臣が指定する医薬品です。

### 【医薬品条件付早期承認制度】

患者数が少ない疾患等の理由で検証的臨床試験を行うことが難しい医薬品において、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件とする制度。条件付早期承認制度の対象となる医薬品は、次の4条件すべてに該当する品目です。

- (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、または実施可能でも相当の期間がかかる
- (4) 検証的臨床試験以外の臨床試験などにより、一定の有効性・安全性が示される

以上