



2020年8月13日

各位

会社名 日本新薬株式会社
代表者 代表取締役社長 前川 重信
(コード番号 4516 東証一部)
広報部

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ」 米国 FDA 承認取得に関するお知らせ

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、本日（米国時間8月12日）、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤ビルテプソ（英名：VILTEPSO™ (viltolarsen) injection）に関して、米国食品医薬品局（FDA）より販売承認を受けましたのでお知らせします。

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により、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進行性の遺伝性筋疾患で、主に男児に発症します。DMD には、さまざまな遺伝子変異型があり、ビルテプソが投与対象となるのは、エクソン 53 スキッピングにより治療可能な遺伝子変異が確認された DMD となります。

北米におけるビルテプソの開発業務は、当社の米国子会社 NS Pharma, Inc. (ニュージャージー州パラマス、社長：田中次男) が担当し、北米で第二相臨床試験を実施しました。FDA への承認申請の手続きは、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行われ、日本で実施された第一／二相臨床試験結果と北米で実施した第二相臨床試験結果等をデータパッケージとして段階的に申請しました。本年2月に新薬承認申請がFDAに受理された後、迅速承認に向けた審査が行われこの度の販売承認となりました。現在は、迅速承認後の検証試験として第三相臨床試験（RACER53 study）を全世界約30施設で実施中です。

ビルテプソは、日本国内では本年3月に厚生労働省から製造販売承認され、5月から当社が販売ならびに情報提供活動を開始しています。今回のFDA承認により当社は、日本のみならず米国においても、DMDに苦しむ患者さんにビルテプソをお届けし、DMD治療に貢献してまいります。なお、米国での販売ならびに情報提供活動は、当社米国子会社のNS Pharmaが行うこととなります。

VILTEPSO 承認内容の概要

販売名	VILTEPSO™ (viltolarsen) injection
一般名	viltolarsen
剤形・含量	1バイアル中、250 mg/5 mL (50 mg/mL) 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変異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	推奨用量はVILTEPSO™ 80 mg/kgを週1回、60分かけて静脈内投与する

<DMD について>

DMD は、ジストロフィンタンパク質の欠損が原因で、筋肉の萎縮と破壊により骨格筋、心筋、肺の筋力低下を引き起こす進行性の筋ジストロフィーです。初期には、立ち、座り、歩きの能力の遅れがあり、進行性の運動機能の低下がみられるようになります。思春期の頃までには車いすが必要となってきます。心肺の筋肉の異常は10代に始まり、深刻な生命を脅かす合併症につながる疾患です。

<ビルテプソ/VILTEPSO（一般名：ビルトラルセン/viltolarsen）について>

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）が共同で見出した、モルホリノ骨格を持つアンチセンス核酸であり、ジストロフィン遺伝子のエクソン53をスキップする治療剤です。日本では、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に指定され、また、希少疾病用医薬品としても指定を受けています。

<米国での第二相臨床試験（201 試験）>

4歳から10歳未満の男児16例に対する試験で、ビルテプソ治療後、承認用量にて投与された全ての被験者（8/8）にジストロフィン発現量の増加を示しました。承認用量を投与された患者の88%（7/8）が、3%水準のジストロフィン発現を示し、全体として、ビルテプソ投与開始前平均0.6%であったジストロフィン発現量が、ビルテプソ治療（80 mg/kg/週）開始後20～24週に、正常の約6%近くまでの増加が認められました^{1, 2}。

ビルテプソ投与で最も発現の多かった副作用は上咽頭炎、注射部位反応、咳嗽、発熱でした¹。

1. Viltepso [prescribing information]. Paramus, NJ: NS Pharma, Inc.; 2019.
2. Clemens PR, Rao VK, Connolly AM, et al; for the CINRG DNHS Investigators. Safety, tolerability, and efficacy of viltolarsen in boys with Duchenne muscular dystrophy amenable to exon 53 skipping: a phase 2 randomized clinical trial
[published online ahead of print May 26, 2020. JAMA Neurology. doi:10.1001/jamaneurol.2020.1264.

<NS Pharma, Inc. について>

日本新薬株式会社の100%子会社であり、詳しくは、<https://www.nspharma.com> をご覧ください。

NS Pharma は日本新薬グループの企業の登録商標です。

以上