

NEWS RELEASE



2021年6月25日
日本新薬株式会社
広報部

各位

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤ビルトラルセン 中国 NMPA へ新薬承認申請を行いました。

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、アンチセンス核酸医薬品 NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン、以下「本剤」）について、このたび、中国国家薬品监督管理局（NMPA）へ新薬承認申請を行いましたのでお知らせします。

本剤は、ジストロフィン遺伝子のエクソン 53 スキッピングに応答する遺伝子変異を持つデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を対象に、2020年3月に厚生労働省（MHLW）、同年8月に米国食品医薬品局（FDA）から各々承認を取得し、国内では当社、そして米国では当社の米国子会社である NS Pharma, Inc. を通じて本剤の情報提供活動を行っています。

DMDは、筋肉細胞の骨組み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ないことにより筋力が低下する、男児の発症頻度が高い遺伝性筋疾患です。

中国では、生命を脅かし有効な治療薬がない希少疾患に対する治療薬について、中国国外で市販されていれば、外国の臨床試験データを用いて承認申請することが可能です。当社は、中国政府が指定する希少疾患リストに掲載されている進行性筋ジストロフィーの治療薬として、日米の承認申請資料を用いて本剤の承認申請を行いました。本剤は優先審査の対象となるため、当社では早期に承認されることを期待しています。

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、中国のDMD患者さんにとって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。

以上