

各位

## 当社製品ビルテプソ PPMD 年次総会において発表された長期試験の有効性および安全性データのお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、社長：中井亨、以下「当社」）は、このたび、オンラインにて開催された患者団体PPMD年次総会において、治験責任医師であるピッツバーグ大学医学部ポーラ・クレメンズ医師が当社製品ビルテプソの長期試験における新たな有効性および安全性データを発表したことをお知らせします。

### 【発表内容の要旨】

- ・ 有効性および安全性データは、ビルテプソの第2相オープンラベル継続投与試験の109週時点での中間解析結果に基づいています。
- ・ 主要評価項目である床からの立ち上がり時間において、ビルテプソによる2年間（109週）の継続治療群は、DMD患者背景を一致させた自然歴の対照群と比較して、有意に早い結果を示しました。
- ・ 副次評価項目である10m走行/歩行時間および6分間歩行距離において、ビルテプソ治療群は自然歴の対照群と比較して、有意に上回る結果を示しました。
- ・ 安全性について、治療に関連した重篤な有害事象はなく、治療を中止した患者はいませんでした。

「本中間解析の結果は、2年間以上（109週）のビルテプソ治療後、患者さんは臨床的に重要な評価項目において運動機能を維持していたが、DMD自然歴対照群では運動機能が低下したことを示している」と当社子会社 NS Pharma, Inc. のメディカルアフェアーズ部長であるレスリー・マグナス医師は述べています。

このオープンラベル継続投与試験は、以前実施した北米における24週間の試験「以下（短期試験）」の継続投与試験であり、短期試験の参加者16例全例がこの継続投与試験へ移行しました。参加者は37週、49週、73週および109週目に運動機能を評価し、試験終了まで評価を継続します。これらの運動機能検査の中間解析は、109週間の治療を終了した全ての参加者とDMD患者背景を一致させた自然歴対照群を比較して行われています。

有効性に関する床からの立ち上がり時間の結果について、73週目および109週目におけるビルトラルセン群のベースラインからの平均変化量はそれぞれ0.21秒、0.43秒であるのに対して、対照群はそれぞれ3.6秒、4.3秒でした（ $p < 0.01$ ）。10m歩行/走行時間の結果について、49週、73週および109週目におけるビルトラルセン群のベースラインからの平均変化量はそれぞれ-0.8秒、-0.9秒、-0.4秒であるのに対し、対照群ではそれぞれ0.5秒、1.3秒、1.3秒でした（ $p < 0.05$ ）。6分間歩行距離の結果について、109週目におけるビルトラルセン群のベースラインからの平均変化量は0.9mであるのに対し、対照群では-65.6mでした（ $p < 0.05$ ）。

本試験期間中に報告された主な有害事象は、咳嗽、鼻咽頭炎、発疹、発熱、嘔吐などであり、いずれも軽度から中等度でした。この安全性プロファイルは、短期試験で見られたものと同様でした。これまでに治療関連の重篤な有害事象は報告されておらず、治療中止に至った患者もいませんでした。これらのデータは、エクソン53スキッピング治療対象患者に対するビルトラルセンの長期使用における有効性および安全性に関する重要な情報を提供するものです。

「DMDは運動機能が悪化する進行性の疾患です。今後より多くの研究が必要ですが、運動機能を安定化させ、その低下を遅らせる可能性のある治療法はDMD患者さんの家族やその治療を専門とする医療従事者にとって必要です」とポーラ・クレメンズ医師は述べています。

当社は、この第2相オープンラベル継続投与試験に加えて、検証試験の第3相RACER53試験を行うことで、ビルテプソの有効性および安全性の検討を続けていきます。第3相試験は2019年10月に開始され、現在患者登録を行っています。なお、この第3相プラセボ対照無作為化二重盲検比較試験の目的は、運動機能における有効性をプラセボ群との比較により検証することです。

#### <ビルテプソについて>

本剤は、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患者の治療薬として、日本国内では2020年3月に厚生労働省から迅速承認され、同年5月から販売および情報提供活動を行っています。また、米国では2020年8月に米国食品医薬品局（FDA）から迅速承認を取得し、NS Pharma, Inc. を通じて販売を開始しています。

#### <NS Pharma, Inc. について>

米国ニュージャージー州に拠点を置く日本新薬株式会社の完全子会社です。詳細については、<http://www.nspharma.com/>をご覧ください。

以上