

NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2020年8月20日
日本新薬株式会社
広報部

各位

核酸医薬品 VILTEPSO™(ビルテプソ) 米国での新発売のお知らせ

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19日)、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)治療剤 VILTEPSO™(ビルテプソ、一般名: viltolarsen/ビルトラルセン、「本剤」)を当社米国子会社の NS Pharma, Inc. (本社:米国ニュージャージー州パラマス、社長:田中次男)を通じて米国での販売を開始しましたのでお知らせします。

本剤は、エクソン 53 スキッピングで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 DMD を効能・効果として、本年 8 月 13 日(米国時間 8 月 12 日)に米国食品医薬品局(FDA)から迅速承認を取得し、NS Pharma にて発売に向け準備を進めてきました。NS Pharma では、本剤の保険償還など医療アクセスを支援するため、サポートプログラムである NS Support を通じて、患者さん、介護者、医療従事者にサービスを提供しています。

当社は、NS Pharma を通じて米国における本剤の医薬品情報を医療機関へ適切にお届けすることで DMD 治療に貢献できるものと考えています。

【VILTEPSO(ビルテプソ)】

本剤はモルホリノ型アンチセンス核酸で、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ジストロフィンタンパク質の産生を促す医薬品です。日本国内においては、本年 3 月に厚生労働省から迅速承認され 5 月から販売および情報提供活動を行っています。なお、本剤は現在、検証試験として全世界約 30 施設で第三相試験(Racer 53 study)を実施中です。

【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。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を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。

【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