

NEWS RELEASE



2020年6月8日
日本新薬株式会社
広報部

各位

核酸医薬品ビルトラルセン（NS-065/NCNP-01）が、 欧州委員会よりオーファンドラッグ指定を受けました。

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、社長：前川重信）は、このたび、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤ビルトラルセン（NS-065/NCNP-01）^{※1}について、欧州委員会（European Commission）からオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）の指定を受けましたのでお知らせします。

DMDは、ジストロフィン遺伝子の一部欠損あるいは突然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筋疾患で、主に男児に発症します。ビルトラルセンは、DMD患者のジストロフィンエクソン53をスキップさせて機能のあるジストロフィンタンパク質を産生させ、治療効果を示すアンチセンス核酸医薬です。日本国内では本年5月に「ビルテプソ[®]点滴静注 250mg」として販売を開始しており、米国では食品医薬品局（FDA）に承認申請し現在審査中です。なお、現在、本剤のグローバル第三相試験を実施中であり、当社の海外子会社のNS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中次男）が担当しています。

欧州におけるオーファンドラッグ指定は、欧州連合内で人口1万人あたり5人以下の患者数であり、生命に危険を及ぼし重篤な慢性疾患であること等がその指定要件となります。本指定により欧州では本剤上市後10年間の排他的先発販売権が付与されます。ビルトラルセンに関する当局からの指定は、既に厚生労働省およびFDAから各種指定^{※2}を受けていますが、欧州では今回が初めての指定となります。

当社は、難病・希少疾患治療剤の開発について使命感を持って積極的に取り組んでおり、DMDに苦しむ全世界の患者さんに福音となる治療薬の製品化を目指しています。

※¹ : ビルトラルセン (viltolarsen)、開発記号 : NS-065/NCNP-01

本剤は、モルホリン構造を特徴とする国産発のアンチセンス核酸医薬品で、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）との共同研究により見出された薬剤です。本剤は、DMD 患者のジストロフィン遺伝子のエクソン 53 をスキップすることにより、機能を有するジストロフィンタンパク質を産生させ治療効果を示します。

※² : ビルトラルセンの各種指定

<厚生労働省からの各種指定>

- ・ 2015 年 10 月 先駆け審査指定制度対象品目として指定
- ・ 2019 年 8 月 希少疾病用医薬品指定
- ・ 2019 年 10 月 条件付き早期承認制度対象品目として指定

<FDA からの各種指定>

- ・ 2016 年 10 月 ファストトラック指定
- ・ 2017 年 1 月 オーフアンドラッグ指定および希少小児疾患指定
- ・ 2020 年 1 月 優先審査指定

以上