

# NEWS RELEASE



健康未来、創ります

日本新薬

2022年1月25日

日本新薬株式会社

広報部

各位

## CAP-1002 の米国における販売提携契約締結のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）は、このたび、Capricor Therapeutics（本社：米国 カリフォルニア州ビバリーヒルズ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor」）とデュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）を期待適応症とする CAP-1002（以下「本剤」）について、米国内における独占的な販売提携契約を締結したことをお知らせします。

DMD は、筋肉細胞を支えるジストロフィンタンパク質の欠損が原因で骨格筋、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。DMD にはさまざまな遺伝子変異型があり、特定の遺伝子変異を原因とする DMD に対しては治療剤が開発され、医療に貢献していますが、他の遺伝子変異を原因とする DMD 患者や比較的高年齢の歩行不能 DMD 患者に対しては、依然として有効な治療法の開発が求められています。

本剤は、ヒト心筋から製造される細胞医療製品であり、本剤から分泌されるエクソソーム（細胞外小胞）により、酸化ストレス・炎症・線維化の低減、筋細胞生成の増加を促し、運動機能や心機能を改善すると考えられ、本剤は遺伝子変異の種類によらず、幅広い DMD 患者層に効果が期待されます。臨床第Ⅱ相試験（HOPE-2 試験）では歩行不能な DMD 患者を対象に、上腕機能および心機能への有効性が示唆されました。

本剤は、米国食品医薬品局（FDA）からオーファンドラッグ指定および RMAT 指定を受けており、現在、Capricor は米国の複数の医療機関において臨床第Ⅲ相試験（HOPE-3 試験）を準備中です。なお、米国における販売承認取得後は、当社米国子会社の NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：田中次男）を通じて販売する予定です。

当社では難病・希少疾患を注力領域として位置づけており、米国においても、自社開発品の DMD 治療薬であるビルテプソ®（核酸医薬品）を自社販売しています。今回の契約により、ビルテプソに加え、細胞医療製品である本剤を品揃えすることができ、DMD に苦しむ患者さまの治療により貢献できるものと期待しています。

### **エクソソームについて**

エクソソーム（細胞外小胞）は、細胞が分泌する、脂質二重膜に囲まれた直径約 30～150 ナノメートルの小胞です。これまでエクソソームは細胞内の老廃物の排出に関与すると考えられていましたが、近年では、エクソソームがタンパク質や核酸などを含み、細胞間コミュニケーションの重要な媒体として作用していることが注目され、この機能を用いた治療・診断・DDS など臨床応用の研究開発が精力的に進められています。

### **オーファンドラッグ指定について**

米国内の患者数が 20 万人未満の希少疾患または、患者数が 20 万人以上の場合でも、その治療薬の開発や販売にかかる費用の回収が困難と考えられる場合に指定の対象となります。オーファンドラッグ指定により、7 年間の排他的先発販売権が付与され、税制上の優遇措置も受けることができます。

### **RMAT 指定について**

RMAT (Regenerative Medicine Advanced Therapy) は、米国における「21 世紀の治療のための法律」(21<sup>st</sup> Century Cures Act) に基づき、重篤な疾患を開発対象とした再生医療の先端治療法のうち、臨床試験において一定の効果を示したものに対し、FDA より指定される制度です。米国では、RMAT 指定を受けた企業は、当該品目に対し優先審査と迅速承認の機会が与えられます。

### **日本新薬について**

日本新薬は、人々の健康と豊かな生活創りに貢献することを使命としています。病気に苦しむ患者さま、ご家族へ福音となる特長あるくすり創りを通して、社会から信頼される企業を目指しています。当社が取り扱っている製品等、詳細な情報については <https://www.nippon-shinyaku.co.jp> をご覧ください。

### **Capricor について**

Capricor は、幅広い疾患に対する治療や予防のための細胞、およびエクソソームを用いた治療薬およびワクチンの開発に注力する企業です。また、Capricor は次世代の治療プラットフォームとしてエクソソーム技術を開発しており、薬理活性を有する核酸を搭載したエクソソームの臨床応用に焦点を当てています。

詳しくは、<https://www.capricor.com> をご覧ください。

以上