

各位

当社製品「ビルテプソ®」 Journal of Neuromuscular Diseases への 長期有効性および安全性データ掲載のお知らせ

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、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤「ビルテプソ®」（一般名：ビルトラルセン、以下「本剤」）の米国第Ⅱ相非盲検継続投与試験における長期有効性および安全性データ（109週時点での中間解析結果）が、学術誌（Journal of Neuromuscular Diseases）に掲載されたことをご知らせいたします。論文のタイトルは「Long-Term Functional Efficacy and Safety of Viltolarsen in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy」であり、無料で閲覧が可能です（<https://content.iospress.com/articles/journal-of-neuromuscular-diseases/jnd220811>）。

Journal of Neuromuscular Diseasesに掲載されたデータは、北米で実施された第Ⅱ相試験の継続投与試験から得られたもので、すでに学会等で発表されています。24週間の試験を終了した「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4～10歳未満のDMD患者」16例全員が、長期間の運動機能および安全性を評価するために、この継続投与試験に登録されています。運動機能の評価項目は、床からの立ち上がり時間、10m歩行/走行時間、6分間歩行距離であり、対照群として患者背景を一致させた自然歴データと比較しています。

当社は、この第Ⅱ相非盲検継続投与試験に加え、第Ⅲ相試験（RACER53試験）を行っており、ビルテプソの有効性および安全性を検証していきます。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（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、本剤の投与対象となるのは、エクソン53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、日本国内では条件付早期承認制度の対象医薬品となり2020年3月に厚生労働省から承認され、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。詳細につきましては、<https://www.nspharma.com/> をご覧ください。NS Pharma は日本新薬グループの登録商標です。

以上