

各位

## 当社製品「ビルテプソ®」

### 世界筋学会において発表された長期試験解析データ（投与開始4年後）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、10月11-15日にカナダのHalifaxで開催された世界筋学会2022学術大会において、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」）の第2相非盲検継続投与試験（以下「本試験」）における長期の有効性と安全性データ（投与開始4年後）について発表されたことをお知らせいたします。

発表データは、北米で行われた24週間の第2相試験に続く非盲検継続投与試験から得られたものです。本試験には、運動機能および安全性の評価を継続するため、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患者全16例が登録されました。運動機能評価（床からの立ち上がり時間、10m歩行/走行時間、4段階昇り時間）は、DMD自然歴研究であるGINRG-DNHS（Cooperative International Neuromuscular Research Group Duchenne Natural History Study）の中から患者背景を一致させた、DMD自然歴対照群（以下「自然歴群」）のデータと比較しました。本剤投与群、自然歴群ともグルココルチコイドの投与が継続されていました。

投与開始から205週後の有効性について、主要評価項目である床からの立ち上がり時間のベースラインからの平均変化量は、本剤投与群の2.7秒に対して、自然歴群では8.3秒でした（ $p=0.0040$ ）。副次評価項目である10m歩行/走行時間の変化量は、本剤投与群の2.0秒に対して、自然歴群では6.0秒（ $p=0.0002$ ）、4段階昇り時間の速度変化量は、本剤投与群の $-0.01$  m/秒に対して、自然歴群では $-0.13$  m/秒でした（ $p=0.0088$ ）。

本試験で報告された主な有害事象は、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。安全性プロファイルは、これまでの短期間の臨床試験で認められたものと同様で、治療に関連する重篤な有害事象や治療中止に至った患者もいませんでした。

## ビルテブソ®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DMD患者の治療剤として、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. を通じて販売を行っています。

当社は、2019年10月より第3相無作為化プラセボ対照二重盲検比較試験 (RACER53試験) を行っています。第3相試験の目的は、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DMD患者を対象に、本剤の運動機能に対する有効性と安全性をプラセボ群との比較により検証することです。

## 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100%子会社です。詳細については、 <https://www.nspharma.com> をご覧ください。

以上