

各位

CAP-1002 の日本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, Inc.（本社：米国 カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor 社」）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、日本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。今回の契約は、2022年1月に締結した米国内における独占的な販売提携契約に続くものです。

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。しかし、これらの治療法は一部の遺伝子変異に限られており、特に比較的高年齢の DMD 患者さんに対しては、医療ニーズが満たされておらず、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す。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ており、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ています。

米国での第Ⅱ相試験（HOPE-2 試験）では、主に歩行不能の DMD 患者さんに対する上肢機能および心機能への有効性が示唆されました。現在、Capricor 社は米国の複数の医療機関において第Ⅲ相試験（HOPE-3 試験）を実施中です。国内においても、今後、Capricor 社が開発を進めていく予定です。

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、日本および米国において、自社開発品の DMD 治療剤であるビルテプソ®（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、将来的に細胞医療製品である本剤を日米の両国において品揃えすることができ、DMD でお困りの患者さん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。

日本新薬について

日本新薬は、経営理念「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」のもと、病気でお困りの患者さんご家族にとって必要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 Therapeutics, Inc. について

Capricor 社は、筋疾患など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の開発に注力するバイオテクノロジー企業です。また、Capricor 社は、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の開発も行っており、mRNA を含む核酸やタンパク質を送達することができるエクソソームの開発に注力しています。

詳しくは、<https://capricor.com/> をご覧ください。

以上