

NEWS RELEASE



2023年5月9日

日本新薬株式会社
広報部

各位

当社製品「ビルテプソ®」 Journal of Neuromuscular Diseases への 長期試験解析データ（投与開始4年後）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」）の北米における第Ⅱ相非盲検継続投与試験の長期有効性および安全性データ（投与開始4年後の最終解析結果）が、学術誌（Journal of Neuromuscular Diseases）に掲載されたことをお知らせいたします。

論文のタイトルは「Efficacy and Safety of Viltolarsen in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy : Results From the Phase 2, Open-Label, 4-Year Extension Study」であり、以下のWebサイトから無料閲覧が可能です。

<https://content.iospress.com/articles/journal-of-neuromuscular-diseases/jnd221656>

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。24週間の第Ⅱ相試験を完了した「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例全員がこの継続投与試験に登録され、長期間の運動機能および安全性が評価されました。運動機能評価の指標として、床からの立ち上がり時間、10m歩行/走行時間、4段階昇り時間などを設定し、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。

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。

当社は、現在、第Ⅲ相無作為化プラセボ対照二重盲検比較試験（RACER53試験）を行っており、本剤の有効性および安全性をさらに検証していきます。

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DMD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