

NEWS RELEASE



2023年7月28日
日本新薬株式会社
広報部

各位

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-089/NCNP-02」 米国におけるブレイクスルーセラピー指定受理のお知らせ

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）を対象として開発を進めている「NS-089/NCNP-02」（brogidirsen、以下「本剤」）について、米国食品医薬品局（FDA）からブレイクスルーセラピー指定を受理しましたのでお知らせします。

ブレイクスルーセラピー指定は、重篤または生命を脅かす疾患の治療に対する薬剤の開発と審査の迅速化を目的とするFDAの制度です。既存の治療法と比べて、臨床的に重要な評価項目で意義のある予備的な臨床エビデンスを示した薬剤がその対象となります。今回のブレイクスルーセラピー指定は、日本で実施された医師主導治験（First in human 試験）の結果¹に基づいています。なお、本剤はすでにFDAより本年6月に希少小児疾患指定を受けています。

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、呼吸器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44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患者さんです。

本剤は、当社と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（小平市、理事長：中込 和幸）との共同研究から見出されたアンチセンス核酸です。本剤によりジストロフィン遺伝子の一部の遺伝情報が読み飛ばされ、鎖長がやや短いものの機能を有するジストロフィンタンパク質が産生されることで、筋機能低下の抑制効果が期待されています。

本剤の米国における第Ⅱ相試験は当社の米国子会社 NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中 次男）が実施する予定です。なお、日本国内においても第Ⅱ相試験を準備中です。

当社は、難病・希少疾患治療剤の開発に使命感を持って取り組んでおり、DMDでお困りの患者さんに必要な治療薬をお届けできるよう、一日も早い製品化を目指しています。

出典

1. 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター プレスリリース（2022年3月17日）
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬（NS-089/NCNP-02）の医師主導治験（First In Human
試験）の成果を発表 <https://www.ncnp.go.jp/topics/2022/20220317p.html>

以上