

NEWS RELEASE



2023年8月7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」 米国におけるオーファンドラッグ指定のお知らせ

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）からオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を受けましたのでお知らせします。

米国のオーファンドラッグ指定は、米国内の患者数が20万人未満の疾患が対象となります。オーファンドラッグ指定により、本剤には7年間の排他的先発販売権が付与され、税制上の優遇措置も受けることができます。

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、また7月にブレイクスルーセラピー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。

以上