

NEWS RELEASE



2023年10月17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」 Molecular Therapy Nucleic Acids への非臨床データ掲載のお知らせ

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）を対象として開発を進めている「NS-089/NCNP-02」（brogidirsen、以下「本剤」）の非臨床データが、学術誌（Molecular Therapy Nucleic Acids）に掲載されたことをお知らせします。

論文のタイトルは「Exon 44 skipping in Duchenne muscular dystrophy: NS-089/NCNP-02, a dual-targeting antisense oligonucleotide」であり、以下の Web サイトから無料閲覧可能です。

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2162253123002524>

本剤は、ジストロフィン mRNA 前駆体のエクソン 44 内の離れた 2 カ所を標的とする連結型アンチセンス核酸です。本論文では、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）との共同研究結果に基づき、本剤の創製に用いた新規配列設計方法、および非臨床データとして DMD 患者由来培養細胞やカニクイザルに対する本剤の薬理作用を述べています。

現在、当社と当社の海外子会社 NS Pharma, Inc.（本社：米国ニュージャージー州、社長：田中 次男）は、日本と米国における本剤の第Ⅱ相試験をそれぞれ準備中です。なお、本剤は米国食品医薬品局（FDA）から 2023 年 6 月に希少小児疾患指定、同年 7 月にブレイクスルーセラピー指定とオーファンドラッグ指定を受けています。

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