

NEWS RELEASE



2024年2月27日
日本新薬株式会社
広報部

各位

当社製品「ビルテプソ®」 2024 Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conferenceにおける 第Ⅱ相試験 (Galactic53 trial) データ発表のお知らせ

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、3月3日～3月6日（米国時間）にフロリダで開催される2024 Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conferenceにおいて、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」）の第Ⅱ相試験（Galactic53 trial）の結果についてポスター発表することをお知らせします。

Galactic53 trialでは、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、8歳以上の歩行可能および歩行不能DMD患者を対象として、本剤を週1回、48週間投与しました。

ポスターのタイトルは「Pulmonary and motor function in ambulatory and non-ambulatory participants with Duchenne muscular dystrophy treated with viltolarsen」であり、本剤の安全性および有効性（呼吸機能および運動機能）のデータが報告されます。

なお、Conferenceへの参加は、ウェブサイト(<https://www.mdaconference.org/>)にて登録（有料）が必要となります。

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患者に対する治療薬です。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。詳細については、<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