

NEWS RELEASE



2024年3月6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 において
発表された第Ⅱ相試験 (Galactic53 trial) データのお知らせ**

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

【ポスタータイトル】

Pulmonary and motor function in ambulatory and non-ambulatory participants with Duchenne muscular dystrophy treated with viltolarsen

Galactic53 trialは、歩行不能患者や呼吸機能に対する本剤の影響を初めて評価した、第Ⅱ相非盲検多施設共同試験です。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なDMD患者、各10例に対して、本剤 80mg/kgを週1回、48週間静脈内投与しました。主要評価項目として安全性、副次評価項目の有効性として運動機能や呼吸機能の評価し、一部の評価項目では、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。

安全性評価において、本剤に関連した有害事象は血尿（2例）、アレルギー反応、高血圧（各1例）で、いずれも非重篤でした。有害事象による投与中止例はなく、本剤の忍容性は良好であることが確認されました。有効性評価において、歩行可能群および歩行不能群の両群ともに、49週間にわたり上肢の運動機能が維持されていました。また、パーセント肺活量のベースラインからの変化は、本剤投与群 $5.2 \pm 2.3\%$ に対して自然歴群 $-0.9 \pm 1.5\%$ ($p=0.03$) であり、本剤による呼吸機能の改善が認められました。

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