

# NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2024年5月27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 ビルトラルセン (NS-065/NCNP-01) 国際共同第Ⅲ相試験 (RACER53 試験) の解析結果の速報について

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、NS-065/NCNP-01（一般名：ビルトラルセン、以下「本剤」）の国際共同第Ⅲ相試験（RACER53 試験、以下「本試験」）について、解析結果の速報をお知らせします。

本試験は、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変異を持つ歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の男児 77 例を対象とした、ランダム化・二重盲検・プラセボ対照・多施設共同の比較試験です。本剤 80mg/kg またはプラセボを週 1 回、48 週間投与し、プラセボ投与群に対する本剤の有効性と安全性を評価しました。

本試験の主要評価項目である床からの立ち上がり時間を速度 (rise/sec) で評価したところ、48 週投与後のベースラインからの変化について、本剤投与群で速度の増加傾向が認められましたが、プラセボ投与群でも同様に増加傾向が認められ、本剤投与群とプラセボ投与群との比較では統計的な有意差は認められませんでした。

なお、安全性に関して、有害事象の発現率は本剤投与群とプラセボ投与群との間に差はなく、本剤投与群で発現した有害事象はいずれも軽度または中等度であり、治療中止に至った症例はありませんでした。

当社は先行試験の結果\*から、本剤は治療を必要としている DMD 患者さんに対して価値ある薬剤であると考えており、現在、さらに詳細なデータ解析、および結果に影響を及ぼす要因（ステロイドを含む併用薬の影響、年齢等の背景因子、投与期間など）の検討を続けています。この結果を踏まえ、規制当局と綿密に連携し、DMD 患者さんに最善の利益となるように、今後の進め方を決める予定です。追加の解析結果や規制当局との議論の内容については、後日ご報告します。

※先行試験の結果：

骨格筋におけるジストロフィン産生の増加に加え、既に報告されている第Ⅱ相非盲検継続投与試験では、エクソン 53 スキップに適応のある 4 歳から 10 歳までの DMD 患者 16 例を対象に本剤の評価を行いました。この試験では、本剤が投与された被験者は、主要評価項目である 205 週目の床からの立ち上がり時間のベースラインからの平均変化において、主要因子をマッチさせた過去の対照群と比較して統計学的に有意な改善を示しました。なお、本剤投与群で発現した有害事象は、軽度または中等度であり、治療中止に至った症例はありませんでした。

以上