

# NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2024年9月6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-050/NCNP-03」 米国における希少小児疾患指定受理のお知らせ

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-050/NCNP-03」（以下「本剤」）について、米国食品医薬品局（FDA）から Rare Pediatric Disease（希少小児疾患）指定を受理しましたのでお知らせします。

希少小児疾患指定は、18歳までに発症し、米国での患者数が20万人未満の重篤又は生命を脅かす疾患に対する治療薬が対象となります。

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50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。

なお、本剤は、日米第I/II相試験の実施に向けて準備を進めています。

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