

各位

## CAP-1002の欧州における販売提携について

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、このたび、Capricor Therapeutics, Inc.（本社：米国 カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor 社」）とデュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）を期待適応症とするCAP-1002（deramiciel、以下「本剤」）について、Capricor社が欧州における本剤の開発を行い、当社が販売を行うことを規定する販売提携契約を、今後数カ月間にわたり独占的に交渉できる旨を定めたレター・オブ・インテント（基本合意書）を締結したことをお知らせします。

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、肺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、特定の遺伝子変異を原因とするDMDに対する治療剤が開発され、医療に貢献しています。しかし、これらの治療法は一部の遺伝子変異に限られていることから、特に比較的高年齢のDMD患者さんに対する医療ニーズが満たされておらず、有効な治療法の開発が求められています。

本剤は、ヒト心筋から製造される細胞医療製品です。本剤から分泌されるエクソソーム（細胞外小胞）により、酸化ストレス・炎症・線維化の低減を促し、運動機能や心機能を改善すると考えられており、遺伝子変異の種類によらず、幅広いDMD患者層に効果が期待されています。

米国での第Ⅱ相試験（HOPE-2試験）では、主に歩行不能のDMD患者さんに対する上肢機能および心機能への有効性が示唆されました。現在、Capricor社は米国の複数の医療機関において第Ⅲ相試験（HOPE-3試験）を実施中です。

当社では難病・希少疾患を注力領域として位置づけており、日本および米国において、自社開発品のDMD治療剤であるビルテプソ<sup>®</sup>（核酸医薬品）を自社販売しています。当社は、2022年1月に米国、2023年2月に日本における本剤の独占的販売契約を締結しています。今後、欧州における独占販売契約を締結することにより、将来的に細胞医療製品である本剤を日米欧の3極において品揃えすることが可能となり、DMDでお困りの患者さんの治療により貢献するものと期待しています。

### **Capricor Therapeutics, Inc. について**

Capricor 社は、希少疾患の治療環境を一新するため、細胞およびエクソソームをベースとした革新的な治療薬の開発に取り組んでいるバイオテクノロジー企業です。また、Capricor 社は、エクソソーム技術を活用したワクチン、オリゴヌクレオチドの標的送達、タンパク質、低分子治療薬に焦点をあてた前臨床段階の開発を行っており、独自の StealthX™プラットフォームを使用して多様な疾患の治療と予防の可能性を追求しています。詳しくは、<https://www.capricor.com> をご覧ください。

以上