

NEWS RELEASE



2024 年 10 月 11 日
日本新薬株式会社
広 報 部

各 位

当社製品「ビルテプソ®」 Scientific Reports への 第Ⅱ相試験（Galactic53 試験）データ掲載のお知らせ

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 試験）の結果が、学術誌（Scientific Reports）に掲載されたことをお知らせいたします。

論文のタイトルは「Safety and efficacy of viltolarsen in ambulatory and nonambulatory males with Duchenne muscular dystrophy」であり、以下のウェブサイトから無料閲覧が可能です。

<https://www.nature.com/articles/s41598-024-70783-y>

Scientific Reports 誌に掲載されたデータは、DMD 患者の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（Galactic53 試験）から得られたものです。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 80 mg/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呼吸機能や運動機能を評価しました。呼吸機能については、患者背景を一致させた自然歴データを対照群として用いて比較しました。

安全性について、本試験で観察された有害事象はすべて軽度または中等度で、4 件が本剤に関連したものと考えられました。有害事象による投与中止例はなく、本試験で観察された有害事象プロファイルは以前の試験で報告されたものと一致していました。

有効性について、歩行可能患者と歩行不能患者の両方において、本剤投与群の 49 週時点の予測努力性肺活量（FVC%p）と最大呼気流量（PCF）は、コントロール群と比較して高値を示し、呼吸機能の改善が示唆されました。

予測努力性肺活量（FVC%p）に関し、歩行可能患者における本剤投与群 10 例中 9 例（90%）は、投与開始前のベースラインと比較して FVC%p の増加または維持を示し、すべての患者が 49 週時点で FVC%p>50%を維持していました（FVC%p<50%になると、咳介助や夜間の非侵襲的換気の開始が推奨されます）。歩行不能患者においても、本剤投与群 10 例中 9 例（90%）は、投与開始前のベースラインと比較して FVC%p の増加または維持を示し、10 例中 6 例（60%）の患者が 49 週時点で FVC%p>50%を維持していました。

また、本剤投与群の運動機能を評価した上肢運動機能評価スコア（PUL2.0）は、歩行可能患者、歩行不能患者ともに治療期間を通じて維持されていました。

ビルテブソ®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