

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2024年12月2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-089/NCNP-02」 先駆的医薬品指定および希少疾病用医薬品指定のお知らせ

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-089/NCNP-02」（以下「本剤」）について、厚生労働省から先駆的医薬品指定および希少疾病用医薬品指定を受けたことをお知らせします。

先駆的医薬品指定制度は、薬事審査プロセスの期間短縮を図り、患者さんがより早期から画期的な医薬品にアクセス可能となることを目指したものであり、指定される医薬品は「治療薬の画期性」「対象疾患の重篤性」「対象疾患に係る極めて高い有効性」「世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制」の4つの要件をすべて満たす必要があります。また、希少疾病用医薬品に指定されるためには、国内での対象患者数が5万人未満で、かつ医療上特にその必要性が高いこと等が条件となります。これらの指定により、優先審査品目として取り扱われるとともに、開発などに対してさまざまな支援措置を受けることが可能となります。

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44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。

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