

NEWS RELEASE



2025 年 1 月 14 日
日本新薬株式会社
広報部

各位

RGX-121 および RGX-111 の米国およびアジアにおける独占的ライセンス契約締結のお知らせ

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、REGENXBIO Inc.（本社：米国メリーランド州ロックビル、最高経営責任者（CEO）：Curran M. Simpson、以下「REGENXBIO 社」）と、ムコ多糖症Ⅱ型（以下「MPSⅡ」）を期待適応症とする遺伝子治療剤 RGX-121、およびムコ多糖症Ⅰ型（以下「MPSⅠ」）を期待適応症とする遺伝子治療剤 RGX-111 に関する提携契約を締結したことをお知らせします。

本契約に基づき、当社は RGX-121 および RGX-111 の米国における独占的販売権と日本を含むアジアにおける独占的開発販売権を取得します。米国においては、当社の米国子会社である NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が販売・販促活動を実施する予定です。

ムコ多糖症は、遺伝的な要因により特定の酵素が欠損、もしくは酵素活性が低下し、ムコ多糖の一種である特定のグリコサミノグリカン（以下「GAG」）が蓄積する先天性代謝異常疾患であり、原因となる遺伝子によっていくつかの病型に分類されます。GAG の蓄積により、重症例では中枢神経系を含む全身の臓器に障害をきたし、その予後は 10 歳から 15 歳までとされています。現在のところ根治療法はなく、酵素補充療法などによる進行抑制が治療の中心となっています。

RGX-121 および RGX-111 は、それぞれ MPSⅡおよび MPSⅠに対するファースト・イン・クラスの遺伝子治療剤であり、欠損する酵素の遺伝子を導入することにより、対象の酵素が体内で合成され、疾患の進行を長期間にわたり抑制すると考えられています。RGX-121 は現在、米国において段階的承認申請を実施中です。また、米国食品医薬品局（FDA）より、希少小児疾患指定、再生医療先進医療認定、希少疾病用医薬品指定、ファストトラック指定を受けています。RGX-111 は現在、米国、ブラジル、イスラエルにおいて第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施中です。また、FDA より希少小児疾患指定、希少疾病用医薬品指定、ファストトラック指定を受けています。

当社では難病・希少疾患を注力領域として位置づけています。RGX-121 および RGX-111 は、ムコ多糖症でお困りの患者さんの治療により貢献できるものと期待しています。

なお、本契約の発効は、米国ハート・スコット・ロディノ（HSR）反トラスト改正法上の審査が完了することを条件としています。

ムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ）について

MPSⅡは、GAGを分解する酵素の1つである、イズロネート 2-スルファターゼの遺伝子異常により発症する先天性代謝異常疾患で、ハンター症候群とも呼ばれます。細胞内にムコ多糖の一種である、デルマタン硫酸とヘパラン硫酸が蓄積し、複数の臓器が障害されます。発症すると成長障害、骨関節症状、心臓弁膜症、中枢神経障害などの全身症状をきたします。治療法として、個々の症状に対する対症療法、酵素製剤の点滴静注による酵素補充療法、および造血幹細胞移植が実施されています。

ムコ多糖症Ⅰ型（MPSⅠ）について

MPSⅠは、GAGを分解する酵素の1つである、 α -L-イズロニダーゼの先天的な欠損や活性の低下が原因となり、細胞内にデルマタン硫酸とヘパラン硫酸が蓄積し、複数の臓器が障害される先天性代謝異常疾患です。重症型と軽症型に大別され、重症型は知的障害を伴い、ハーラー症候群と呼ばれます。治療法として、個々の症状に対する対症療法、酵素製剤の点滴静注による酵素補充療法、および造血幹細胞移植があります。

HSR 反トラスト改正法上の審査について

1976年に制定された、米国における企業の合併、買収、一定の資産売却に関する連邦政府の承認手続きを規定する制度です。特定の事業者が特定の金額以上の取引を行う場合、米司法省、連邦取引委員会への事前の届出申請と審査が必要となります。2013年、医薬品に関する独占的ライセンス契約にも本制度が適用される改正が行われています。

REGENXBIO Inc. について

REGENXBIO社は、遺伝子治療による疾患の治癒によって人々の生活の改善を目指すバイオテクノロジー企業です。2009年の設立以来、REGENXBIO社はアデノ随伴ウイルスを用いた革新的な遺伝子治療薬開発を行っています。詳細については、<https://regenxbio.com/>をご覧ください。

以上