

# NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2025年5月14日

日本新薬株式会社

広報部

各位

## RGX-121 (clemidsogene lanparvovec) : 米国 FDA が REGENXBIO 社のムコ多糖症Ⅱ型に対する生物製剤承認申請を受理

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、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 (clemidsogene lanparvovec、以下「本剤」）について、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」）が米国 FDA（食品医薬局）から承認申請を受理した旨の連絡を受けましたのでお知らせします。また、優先審査指定を受け、FDA による審査終了目標日（PDUFA date）は 2025 年 11 月 9 日（米国時間）に設定されました。

詳細につきましては、REGENXBIO 社からのプレスリリースをご確認ください。

<https://ir.regenxbio.com/news-releases/news-release-details/regenxbio-announces-fda-acceptance-and-priority-review-bla-rgx>

当社は、2025 年 1 月に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 REGENXBIO 社から取得しています。米国において本剤が承認された場合、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。

MPSⅡは、グリコサミノグリカンを分解する酵素の1つであるイズロネート 2-スルファターゼの合成に参与する IDS 遺伝子の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。IDS 遺伝子の異常により、体内にヘパラン硫酸などのグリコサミノグリカンが蓄積し、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および酵素製剤の点滴静注による酵素補充療法が実施されています。

本剤は、MPSⅡに対するファースト・イン・クラスの遺伝子治療剤であり、IDS 遺伝子を導入することにより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。本剤の米国での MPSⅡに対する承認申請は、第Ⅰ/Ⅱ/Ⅲ相試験（CAMPSIITE 試験）の結果などに基づきます。

当社は難病・希少疾患を注力領域として位置づけており、RGX-121 が MPSⅡ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。

## **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、[www.regenxbio.com](http://www.regenxbio.com) をご覧ください。

以上