

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2025年8月19日

日本新薬株式会社

広報部

各位

RGX-121 (clemidsogene lanparvovec) : 米国FDAによる審査期間延長に関するお知らせ

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、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FDAによる生物学的製剤承認申請(BLA)の審査期間延長を発表したことをお知らせします。本剤の審査終了目標日(PDUFA date)は当初の2025年11月9日(米国時間)から2026年2月8日(米国時間)に変更されました。

この審査期間の延長は、FDAからの情報提供要請に対し、RGX-121のピボタル試験における患者の一貫して良好な12ヵ月間の臨床データをREGENXBIO社が提出したことを受けたものです。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-review-extension-bla-rgx-121-treat>

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。

本剤は、MPSⅡに対するファースト・イン・クラスの遺伝子治療薬であり、イズロネート 2-スルファターゼの合成に関与する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をご覧ください。

以上