

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2025 年 9 月 19 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-051/NCNP-04」 米国におけるオーファンドラッグ指定受理のお知らせ

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-051/NCNP-04」（以下「本剤」）について、米国食品医薬品局（FDA）からオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を受理しましたのでお知らせします。

米国のオーファンドラッグ指定は、米国での患者数が 20 万人未満の疾患に対して開発を行っている治療薬に付与され、その開発と評価を支援する制度です。オーファンドラッグ指定により、本剤には 7 年間の排他的先発販売権が付与されます。

なお、本剤は既に、FDA より 2025 年 1 月に希少小児疾患指定を受けています。

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 51 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