

NEWS RELEASE



2020年5月20日
日本新薬株式会社
広報部

各位

**日本新薬は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤
ビルテプソ[®]点滴静注 250 mgの国内販売を開始しました。**

日本新薬株式会社（本社：京都市、社長：前川重信）は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤ビルテプソ[®]点滴静注 250mg（一般名：ビルトラルセン、開発記号：NS-065/NCNP-01）について、本日、国内の販売を開始しましたのでお知らせします。

本剤は、国産初のモルフォリノ型のアンチセンス核酸であり、ジストロフィン遺伝子のエクソン 53 スキップに応答する遺伝子変異をもつ DMD 患者に対して、治療効果が期待される薬剤です。本年 3 月 25 日に厚生労働省より製造販売承認を取得し、本日薬価収載されました。なお、本剤は現在、国際共同第三相試験を実施中です。

【製品概要】

販売名	ビルテプソ [®] 点滴静注 250mg
一般名	ビルトラルセン (viltolarsen)
承認取得日	2020年3月25日
薬価収載日	2020年5月20日
発売日	2020年5月20日
剤形・含量	1バイアル (5mL) 中にビルトラルセン 250mg を含有する水性注射液
効能・効果	エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー
用法・用量	通常、ビルトラルセンとして 80mg/kg を週 1 回、1 時間かけて静脈内投与する
薬価	250mg/5mL バイアル 91,136 円
包装	5mL × 1 バイアル

当社は、本剤の医薬品情報を医療機関へ適切にお届けすることでDMD治療に貢献できるものと考えています。

<補足>

【デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）】

DMD は、筋肉細胞を支えるジストロフィンタンパク質の遺伝子変異が原因で、正常なジストロフィンタンパク質が産生されず筋力が低下する、主に男児に発症する進行性の遺伝性筋疾患です。これまでの DMD 治療では、対症療法としてステロイド剤の投与はありますが、DMD の発症原因となるジストロフィンタンパク質の産生を促す薬剤はなく、新たな治療剤が期待されていました。

【ビルテプソ[®]】

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：水澤英洋）が共同で見出した核酸医薬で、DMD 患者の筋肉中にある変異したジストロフィン遺伝子のエクソン 53 をスキップさせることにより、機能のあるジストロフィンタンパク質の産生を促す医薬品です。国内において第一/二相試験を終了した後、2019 年 9 月に承認申請を行い、2020 年 3 月に迅速承認されました。

以上