

2026年6月2日

各位

本店所在地 東京都港区赤坂九丁目7番2号
会社名 ネクセラファーマ株式会社
(コード番号 4565 東証プライム)
代表者 代表執行役社長 CEO
クリストファー・カーギル
問い合わせ先 IR部 都築伸弥
電話番号 03-5962-5718 (代表)

**デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 vamorolone について
韓国において迅速な患者アクセスを支援する重要な規制上の指定を取得**

*希少疾病用医薬品 (ODD) の指定により DMD が韓国において治療法が未確立で、
重大なアンメット・メディカル・ニーズを有する希少疾患と認定*

優先審査制度 (GIFT) の指定により審査期間の短縮が可能

vamorolone の韓国での承認申請は 2026 年中を計画

ネクセラファーマ株式会社 (以下「当社」) は、本日、韓国食品医薬品安全処 (MFDS) が、デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) の治療薬 vamorolone について、希少疾病用医薬品 (Orphan Drug Designation, ODD) 指定および優先審査制度 (Global Innovative Products on Fast Track, GIFT) 指定を付与したことをお知らせいたします。当社は 2026 年中に韓国における本剤の製造販売承認申請を行う計画です。

MFDS の希少疾病用医薬品 (ODD) 指定制度は、韓国国内の患者数が 2 万人以下の疾患を対象とする医薬品、または代替治療薬がない、もしくは既存治療と比較して安全性および有効性が大幅に改善された医薬品を対象とするものです。今回の ODD 指定は、vamorolone が MFDS の定める「希少疾病用医薬品指定に関する規定」の指定基準を満たしていると判断されたことを受けたものであり、MFDS が韓国において DMD を治療法が未確立の希少疾患として位置付けたことを意味します。

GIFT 指定は、生命を脅かす重篤な疾患または希少疾患を対象とする革新的医薬品の審査を迅速化する目的で 2022 年 9 月に MFDS が導入した優先審査制度であり、通常 120 営業日とされる審査期間を最短 90 営業日まで短縮される可能性があり、韓国における革新的治療薬への患者さんのアクセスを加速する一助となることが期待されます。当社は、vamorolone が GIFT 指定を受けたことにより、韓国の DMD 患者さんへの本剤の早期アクセスが期待できるものと考えています。

当社子会社である Nxera Pharma Korea Co., Ltd. の代表取締役社長である MinBok Lee は次のように述べています。「vamorolone が ODD および GIFT の両指定を非常に短い期間で取得できたことを大変嬉しく思います。これ

らの指定は、韓国のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者さんが直面している重大なアンメット・メディカル・ニーズと、革新的な治療選択肢へのアクセスを加速することの重要性を反映するものです。私たちは、vamorolone を韓国の患者さんに一日でも早く届けるため、引き続き規制当局と緊密に協力してまいります。」

2026年12月期の通期連結業績への影響は軽微ですが、本件は中長期的に当社の事業収益および企業価値の向上に寄与するものと考えております。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) は X 染色体連鎖性の遺伝性希少疾患で、ほぼ男性のみに発症します。DMD は出生時または出生直後から存在する炎症を特徴とします。炎症は筋肉の線維化を引き起こし、臨床的には進行性の筋変性および筋力低下として現れます。本疾患の主要な症状には、歩行能力の喪失、自力摂食の喪失、補助換気の開始、心筋症の発症が含まれます。DMD は呼吸不全および/または心不全により、平均余命を 40 歳未満にまで短縮します。

vamorolone

vamorolone は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) の治療薬として承認された解離型コルチコステロイドです。グルココルチコイド受容体に選択的に結合し、NF- κ B を介した遺伝子転写の抑制を通じて抗炎症作用を発揮する一方、他の遺伝子に対するトランスアクトベーションは抑制されるよう設計されています [1]。さらに、vamorolone は 11- β -ヒドロキシステロイド脱水素酵素 (11 β -HSD) の基質ではなく、これらの酵素は組織局所におけるグルココルチコイド活性の増幅やコルチコステロイド関連毒性に関与するとされています [2,3]。こうした薬理学的特性に基づき、vamorolone は、従来の長期コルチコステロイド療法に伴う全身性副作用の低減を図りつつ、抗炎症効果の維持を目指した解離型コルチコステロイドに分類されています [1-3]。

フェーズ 2b 試験 (VISION-DMD 試験) では、vamorolone は主要評価項目を達成し、24 週時点でプラセボに対して床からの立ち上がり速度 (TTSTAND velocity) を有意に改善しました ($p=0.002$) [4]。主な副作用は、クッシング様徴候、嘔吐、体重増加、食欲増加、易刺激性であり、多くは軽度から中等度でした [1]。

vamorolone の最長 8 年間の長期投与データは、2026 年 3 月の Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference で発表されました [5,6]。傾向スコアを用いたマッチド解析において、vamorolone は標準治療コルチコステロイドと同等の持続的有効性を示すとともに、差別化された安全性プロファイルを示しました。具体的には、deflazacort 投与コホートと比較して椎体骨折の発現率が低く (8.1% 対 41.9%; $p = 0.0082$) [5]、従来のコルチコステロイドと比べ平均身長で 12.17cm の優位性を示し ($p < 0.0001$) [5,6]、さらに deflazacort と比較して白内障の発現率も低く ($p = 0.015$)、緑内障の発現は認められませんでした [5]。

参考文献

[1] AGAMREE® (vamorolone) Summary of Product Characteristics. European Medicines Agency ; authorised 14 December 2023.

- [2] Heier CR, Damsker JM, Yu Q, et al. VBP15, a novel anti-inflammatory and membrane-stabilizer, improves muscular dystrophy without side effects. *Life Sci Alliance*. 2019;2(1):e201800186.
- [3] Reeves EKM, Hoffman EP, Nagaraju K, et al. VBP15 : preclinical characterization of a novel anti-inflammatory delta 9,11 steroid. *Bioorg Med Chem*. 2013 ;21(8) :2241–2249.
- [4] Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M, et al. Efficacy and safety of vamorolone over 48 weeks in boys with Duchenne muscular dystrophy (VISION-DMD). *Neurology*. 2024 ;102(5) : e208112.
- [5] Guglieri M, et al. Long-term impact of vamorolone on bone health compared to standard of care glucocorticoids in boys with Duchenne muscular dystrophy. Poster 62S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026.
- [6] McDonald CM, et al. Comparative analysis of long-term effectiveness of vamorolone versus standard of care glucocorticoid treatment in boys with Duchenne muscular dystrophy. Poster 23S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026.

以上

ネクセラファーマについて

ネクセラファーマ株式会社は、テクノロジーに立脚したバイオ医薬品企業であり、日本および世界中のアンメットニーズにお応えし、患者さまの生活の質を向上させる新しいスペシャリティ医薬品をお届けすることを目指しています。

当社は、価値が高く大規模、かつ成長著しい日本および APAC の広範な市場で、複数の上市済み製品をはじめ、画期的な医薬品の開発・販売を行うアジャイルで次世代の商業化ビジネスを展開しています。

当社独自の NxWave™創薬プラットフォームを活用して、探索から後期臨床段階にある 30 品目を超えるプログラムからなる幅広いパイプラインの開発を、自社で、あるいは大手製薬企業やバイオ医薬品企業との提携により推進しています。このパイプラインには、ファーストインクラスまたはベストインクラスの候補化合物が含まれ、神経疾患・神経精神疾患、代謝性疾患、免疫疾患・炎症性疾患などの大きく成長する治療分野における主要なアンメットニーズにお応えすることに重点を置いています。

当社は、東京、大阪、ロンドン、ケンブリッジ、バーゼル、ソウルに主要拠点を展開しており、グローバル従業員が活躍しています。

詳しくは、ホームページ www.nxera.life/jp をご覧ください。

LinkedIn: [@NxeraPharma](#) | X: [@NxeraPharma](#) | YouTube: [@NxeraPharma](#)