

2024年3月26日

诺贝仁制药株式会社

各位新闻界人士

伴有镶边空泡的远端肌病治疗药“ACENOBEL®缓释片 500mg” 取得生产销售许可的通知

诺贝仁制药株式会社(总公司：东京都中央区、代表取缔役社长：盐村 仁)在此发布伴有镶边空泡的远端肌病治疗药“ACENOBEL®缓释片 500mg”（以下称为本品）取得生产销售许可。

关于本品，国立研究开发法人-国立精神·神经医疗研究中心（NCNP）及NPO 法人远端肌病病友会（PADM）向本公司提出开发要求，以东北大学研究生院医学系研究科神经内科学领域教授-青木正志老师为主要研究者，国立精神·神经医疗研究中心神经研究所疾病研究第一部部长西野一三老师为医学专家，作为NEDO、JST、文部科学省、厚生劳动省、AMED 的事业¹⁾，实施研究者发起日本国内 II/III 期试验及日本国内长期给药研究等，并且通过国立研究开发法人医药基础·健康·营养研究所的支持²⁾ 实施了有效性确认试验。

- 1) 日本国内 I 期试验(唾液酸-1 试验)：2009 年度创新实用化援助事业（NEDO）及研究成果最佳开展支援项目 正式研究开发阶段 高风险挑战型（JST）
日本国内 I 期试验（唾液酸-2 试验）：研究开发设施共用等促进费补助金“桥接试验加速网络计划”（文部科学省）及厚生劳动科学研究费补助金“难治性疾病等克服研究事业（难治性疾病克服研究事业）”（厚生劳动省）
日本国内 II/III 期试验（唾液酸-3 试验）及日本国内长期给药试验（唾液酸-4 试验）：难治性疾病实用化研究事业（AMED）及创药支持推进事业·罕见病用药品指定前实用化支持事业补助金（AMED）
- 2) 有效性确认试验（NPC-09-1 试验）：罕见病用药品等及特定用途药品等试验研究援助事业（国立研究开发法人医药基础·健康·营养研究所）

这次获批与 NCNP、东北大学等众多老师的大力支持和 PADM 及参加研究的各位患者的协助分不开，在此深表谢意。

伴有镶边空泡的远端肌病，特别是从远离躯干部位的肌肉开始出现萎缩和变性的极其罕见的疾病，据传现在日本国内被确认的患者数约为 400 人。目前已明确在该疾病的患者体内不能很好地合成醋纽拉酸（N-醋纽拉酸、典型的唾液酸）。因此，还有报告显示肌肉唾液酸的量在该疾病的患者体内较少、几种蛋白质的唾液酸含量降低。另外，在动物实验（小鼠）中，在疾病的发病之前若持续给予醋

纽拉酸，运动能力、肌肉的收缩力、血液检查的值、肌病理图像等与正常小鼠显示同样的变化，可以期待在患有该疾病的患者中，通过摄取醋纽拉酸来改善病情甚至抑制病情的加重。

鉴于这些结果，我们通过与 NCNP 以及东北大学的共同研究，开发了治疗伴有镶边空泡的远端肌病的药物醋纽拉酸使其得到充分利用。

迄今为止没有这种疾病的根治疗法，以往作为对症疗法主要出于预防挛缩的目的进行了康复治疗，但是通过本品的获批，我们非常高兴本公司能够在伴有镶边空泡的远端肌病的治疗中发挥些许作用。

*本品 2021 年 2 月被指定为罕见病用药品（(R3 药) 第 501 号）。

本公司今后也将继续通过提供尚未被满足的药品和医疗设备为社会做出贡献。

以上

【咨询联系人】

诺贝仁制药株式会社

社长室 宣传部长：工藤 登

〒104-0033 东京都中央区新川 1 丁目 17 号 24 号

Tel: 03-6670-38000