

2024年11月25日

ノーベルファーマ株式会社

報道関係者 各位

**縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー治療剤  
『アセノベル®徐放錠 500 mg』新発売のお知らせ**

ノーベルファーマ株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：塩村仁）は、縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー治療剤『アセノベル®徐放錠 500 mg』（以下、本剤）を12月19日（木）に発売することをお知らせします。

3月26日薬事承認から発売に至るまで、長期間にわたりお待たせしたことで、患者の皆様、ご家族の皆様、そして医療関係者の皆様に多大なるご心配とご迷惑をおかけしましたことを、深くお詫び申し上げます。

本剤は、国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）およびNPO法人遠位型ミオパチー患者会（PADM）より当社に開発要請があり、東北大学大学院医学系研究科神経内科学分野教授 青木 正志 先生を研究代表者、国立精神・神経医療研究センター神経研究所 疾病研究第一部部長 西野 一三 先生を医学専門家として医師主導国内第Ⅱ/Ⅲ相試験および国内長期投与試験などがNEDO、JST、文部科学省、厚生労働省、AMEDの事業として、および有効性確認試験が国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援により実施されました。

本剤の発売は、NCNP、東北大学をはじめとする多くの先生方のご尽力とPADMおよび治験に参加された患者の皆様のご協力の賜物であり、深く感謝申し上げます。

縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーは、特に体幹から離れた部位の筋肉から萎縮・変性していく極めて稀な病気で、現在国内で確認されているのは約400人と言われています。この疾患の患者さんはアセノイラミン酸（N-アセチルノイラミン酸、代表的なシアル酸）の合成が生体内で十分にできないことが分か

っています。そのため、筋肉のシアル酸の量がこの疾患の患者さんでは少ないことや、いくつかのタンパク質のシアル酸含量が低下していることも報告されています。また、動物実験（マウス）において、病気の発症しないうちからアセノイラミン酸を与え続けると運動能力、骨格筋の収縮力、血液検査の値、筋病理像などが正常マウスと同じように推移することが明らかになり、この病気の患者さんにおいてアセノイラミン酸の摂取が病態の改善ないし進行抑制に期待できることが判明しました。

これらの結果を踏まえ、縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーを治療するためのくすりとしてアセノイラミン酸を実用化できるよう、NCNP および東北大学との共同研究により開発を進めて参りました。

この疾患の根本的な治療法はこれまでになく、対症療法として主に拘縮を防ぐ目的でのリハビリが行われてきましたが、本剤の発売により、当社が少しでも縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー治療のお役に立てることを嬉しく思います。

弊社は、今後もアンメットニーズ医薬品・医療機器の提供を通して社会に貢献してまいります。

以上

**【本件に関する問合せ先】**

ノーベルファーマ株式会社

広報部長 工藤 登

〒104-0033 東京都中央区新川一丁目 17 番 24 号

Tel: 03-6670-3800