

2026 年 10 月 22 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 の 韓国における製造販売承認申請のお知らせ

韓国の DMD 患者さんへの新たな治療選択肢の提供に向けた重要なマイルストーン

希少疾病用医薬品 (ODD) および優先審査制度 (GIFT) の指定を取得済み

韓国での製造販売承認は 2027 年、上市は 2028 年を計画

ネクセラファーマ株式会社 (以下「当社」) は、本日、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、韓国食品医薬品安全処 (MFDS) に製造販売承認申請を行ったことをお知らせいたします。2026 年 6 月 2 日に発表したとおり、vamorolone は、韓国において希少疾病用医薬品 (Orphan Drug Designation、ODD) および優先審査制度 (Global Innovative Products on Fast Track、GIFT) の指定を取得しています。GIFT は、生命を脅かす重篤な疾患や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制度であり、本剤の審査期間の短縮と患者さんへの早期アクセスを支援することが期待されます。当社は、韓国における 2027 年中の製造販売承認取得、2028 年中の上市を目指しています。

当社は 2026 年 1 月にサンセラ・ファーマシューティカルズ・ホールディングから、日本、韓国、オーストラリアおよびニュージーランドにおける vamorolone の開発、製造および商業化に関する独占的権利を取得しました。当社は対象地域における承認取得に向けた活動ならびに商業化および製造活動を主導しています。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て開発された解離型コルチコステロイドです。米国、欧州連合、英国および中国では、DMD 治療薬として承認・販売されています。

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。「今回の製造販売承認申請は、韓国の DMD 患者さんとそのご家族に新たな治療選択肢をお届けするための重要なマイルストーンとなります。希少疾病用医薬品 (ODD) および優先審査制度 (GIFT) の指定取得に続き、計画どおりに承認申請という重要な節目を迎えることができたことを大変嬉しく思います。DMD は長期的な治療を必要とする重篤かつ進行性の疾患であり、vamorolone は、長期的な安全性プロファイルにおいて優位性が期待され

る、差別化された治療選択肢を提供することで、重要なアンメット・メディカル・ニーズに応える可能性があると考えています。今後も規制当局と緊密に連携し、承認取得に向けた取り組みを進めるとともに、韓国の患者さんに vamorolone を一日でも早くお届けできるよう、引き続きさまざまな可能性を検討してまいります。」

2026 年 12 月期の通期連結業績への影響はありませんが、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チ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](#)