

「創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業」
平成 30 年度事後評価結果

補助事業課題名： デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する NPC-14(アルベカシン硫酸塩)の
開発

機 関 名： ノーベルファーマ株式会社

評価委員会のコメント：

- ・ジストロフィン蛋白の測定法が確立されたことにより、早期に医師主導治験の結果の評価が可能となり、NO-GO の判断が出来た点は評価できる。
- ・ジストロフィン蛋白の回復にプラセボと有為差がなく、補助事業を中止する結果になったことは残念である。本薬がジストロフィン蛋白を十分に発現することが出来ること等の基礎的な成果が必要であったと考える。

以上