

名称	NS-065/NCNP 01
指定を受けた申請者/製造販売承認を受けた者	日本新薬株式会社
指定を受けた予定される 効能又は効果	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)
課題名	デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン53スキップ治療薬による早期探索臨床試験
研究開発代表者	武田 伸一
所属機関及び役職(※)	国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部 部長
事業名	臨床研究・治験推進研究事業
担当部署	創薬事業部 規制科学推進課
関連情報	承認日:令和2年3月25日 販売名:ビルテプソ点滴静注250mg

※特に記載の無い限り、課題実施時点のもの