

プレスリリース

本資料は医薬品のプロモーション
や宣伝広告を目的とするものではありません。

2026 年 7 月 29 日

先天性難聴の遺伝子治療製品「DB-OTO」 製造販売承認を申請

リジェネロン・ジャパン株式会社は、本日、両アレル性 OTOF 遺伝子変異による難聴の治療を目的とした遺伝子治療製品「DB-OTO」（開発コード）（国際一般名：lunsotogene parvec）について、日本国内における製造販売承認を申請しました。DB-OTO は、2026 年 4 月に米食品医薬品局（FDA）より、OTOF 遺伝子変異による難聴に対する初めてかつ唯一の治療法として承認を受けています。

この申請は、OTOF 遺伝子変異による難聴の小児および青年患者に対する DB-OTO の選択用量の安全性、忍容性および有効性の評価を目的とした、国際共同ピボタル試験 DB-OTO-001（CHORD 試験）の結果に基づくもので、その結果は米医学誌「ニュー・イングランド・ジャーナル・オブ・メディシン」に掲載されました。同試験において、DB-OTO の投与を受け、最長 48 週間追跡された患者の 42% が正常聴力を達成したほか、手術および DB-OTO の投与は、いずれも良好な忍容性を示しました。主な副作用として、中耳炎、嘔吐、吐き気、めまい、処置部位疼痛、歩行障害、および眼振が報告されました。本試験の日本国内における治験実施施設は、信州大学医学部附属病院です。

OTOF 遺伝子変異による難聴は、極めて稀な疾患です。耳の構造には異常がないものの、OTOF 遺伝子の変異により、内耳の感覚細胞と聴神経の間の情報伝達に不可欠なオトフェリンタンパク質が機能しなくなります。遺伝性の OTOF 遺伝子変異による難聴は、これまで永続的なものと考えられており、人工内耳などの医療用補装具を生涯使用するしかありませんでした。これらの補装具は、音を増幅して難聴を改善することはできますが、すべての音域を完全に回復させることはできません。現在、この疾患に対して承認された遺伝子治療法は存在しません。

DB-OTO は、OTOF 遺伝子変異による重篤な先天性難聴患者に、持続的かつ生理的な聴力をもたらすことを目的として開発された、in vivo アデノ随伴ウイルスベクター遺伝子治療製品です。DB-OTO は、2026 年 3 月に、厚生労働省より希少疾病用再生医療等製品に指定され、優先審査の対象となっています。

リジェネロンについて

リジェネロンは、重篤な疾患をもつ患者さんの生活や人生を大きく変える治療薬の創薬、開発、事業化に取り組むバイオ医薬品のリーディングカンパニーです。リジェネロンは、医師であり、科学者でもある創設者が経営を担い、サイエンスから医薬を創り出す独自の能力を培ってきました。その結果、多くの新薬が承認され、開発中の医薬品候補も多数にのびります。そして、それら医薬品のほぼすべては、リジェネロンの自社研究所で創薬、開発されたものです。リジェネロンの医薬品とパイプライン品目は、眼疾患、アレルギー・炎症性疾患、がん、循環器・代謝性疾患、神経系疾患、血液疾患、感染症および希少疾患の患者さんのアンメットニーズに応えることを目的としています。

リジェネロンは、完全ヒト型抗体や二重特異性抗体を作製する VelociSuite®などの技術を使って従来の医薬品開発プロセスの加速に取り組み、科学の限界に挑んでいます。また、リジェネロン・ジェネティクスセンター®のデータに裏打ちされた知見を駆使して次世代の医薬を開拓するほか、遺伝学医学の先駆者としてプラットフォームの構築を行い、創薬ターゲットや代替アプローチの探索に取り組んでいます。

日本におけるリジェネロンについて

リジェネロンは、2023 年 10 月に「デュピクセント®」（一般名：デュピルマブ（遺伝子組換え））のコ・プロモーションを通じて、日本での事業を開始しました。2024 年 6 月には、抗悪性腫瘍剤「リブタヨ®」（一般名：セミプリマブ（遺伝子組換え））の日本における製造販売承認を承継して、同製品の情報提供活動を開始しました。また、2025 年 1 月に東京都港区の虎ノ門ヒルズステーションタワーに日本本社を移転しました。

サイエンスから医薬を創り出し、重篤な疾患に苦しむ患者さんの人生を変える、というミッションを実現すべく、今後も日本における事業の拡充に努めます。詳しくは www.regeneron.co.jp をご覧ください。

お問い合わせ先

リジェネロン・ジャパン株式会社

コーポレート・アフェアーズ

info.japan@regeneron.com

Forward-Looking Statements and Use of Digital Media

This press release includes forward-looking statements that involve risks and uncertainties relating to future events and the future performance of Regeneron Pharmaceuticals, Inc. and its subsidiaries (collectively, "Regeneron" or the "Company"), and actual events or results may differ materially from these forward-looking statements. Words such as "anticipate," "expect," "intend," "plan," "believe," "seek," "estimate," variations of such words, and similar expressions are intended to identify such forward-looking statements, although not all forward-looking statements contain these identifying words. These statements concern, and these risks and uncertainties include, among others, the nature, timing, and possible success and therapeutic applications of products marketed or otherwise commercialized by Regeneron and/or its collaborators or licensees (collectively, "Regeneron's Products") and product candidates being developed by Regeneron and/or its collaborators or licensees (collectively, "Regeneron's Product Candidates") and research and clinical programs now underway or planned, including without limitation DB-OTO (INN: lunsotogene parvec); the likelihood, timing, and scope of possible regulatory approval and commercial launch of Regeneron's Product Candidates and new indications for Regeneron's Products, including DB-OTO for the treatment of bilateral OTOF variant-associated hearing loss in Japan as discussed in this press release; uncertainty of the utilization, market acceptance, and/or commercial success of Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates and the impact of studies (whether conducted by Regeneron or others and whether mandated or voluntary), including the studies discussed or referenced in this press release, on any of the foregoing or any potential regulatory approval of Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates (such as DB-OTO); the ability of Regeneron's collaborators, licensees, suppliers, or other third parties (as applicable) to perform manufacturing, filling, finishing, packaging, labeling, distribution, and other steps related to Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates; the ability of Regeneron to manage supply chains for multiple products and product candidates and risks associated with tariffs and other trade restrictions; safety issues resulting from the administration of Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates (such as DB-OTO) in patients, including serious complications or side effects in connection with the use of Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates in clinical trials; determinations by regulatory and administrative governmental authorities which may delay or restrict Regeneron's ability to continue to develop or commercialize Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates; ongoing regulatory obligations and oversight impacting Regeneron's Products, research and clinical programs, and business, including those relating to patient privacy; the availability and extent of reimbursement or copay assistance for Regeneron's Products from third-party payors and other third parties, including private payor healthcare and insurance programs, health maintenance organizations, pharmacy benefit management companies, and government programs such as Medicare and Medicaid; coverage and reimbursement determinations by such payors and other third parties and new policies and procedures adopted by such payors and other third parties; changes to drug pricing regulations and requirements and Regeneron's pricing strategy, including in connection with Regeneron's April 2026 agreements with the U.S. government; other changes in laws, regulations, and policies affecting the healthcare industry; competing products and product candidates (including biosimilar products) that may be superior to, or more cost effective than, Regeneron's Products and Regeneron's Product Candidates; the extent to which the results from the research and development programs conducted by Regeneron and/or its collaborators or licensees may be replicated in other studies and/or lead to advancement of product candidates to clinical trials, therapeutic applications, or regulatory approval; unanticipated expenses; the costs of developing, producing, and selling products; the ability of Regeneron to meet any of its financial projections or guidance and changes to the assumptions underlying those projections or guidance; the potential for any license, collaboration, or supply agreement, including Regeneron's agreements with Sanofi and Bayer (or their respective affiliated companies, as applicable), to be cancelled or terminated; the impact of public health outbreaks, epidemics, or pandemics on Regeneron's business; and risks associated with litigation and other proceedings and government investigations relating to the Company and/or its operations (including the pending civil proceedings initiated or joined by the U.S. Department of Justice and the U.S. Attorney's Office for the District of Massachusetts), risks associated with intellectual property of other parties and pending or future litigation relating thereto (including without limitation the patent litigation and other related proceedings relating to EYLEA® (aflibercept) Injection), the ultimate outcome of any such proceedings and investigations, and the impact any of the foregoing may have on Regeneron's business, prospects, operating results, and financial condition. A more complete description of these and other material risks can be found in Regeneron's filings with the U.S. Securities and Exchange Commission, including its Form 10-K for the year ended December 31, 2025 and its Form 10-Q for the quarterly period ended March 31, 2026. Any forward-looking statements are made based on management's current beliefs and judgment, and the reader is cautioned not to rely on any forward-looking statements made by Regeneron. Regeneron does not undertake any obligation to update (publicly or otherwise) any forward-looking statement, including without limitation any financial projection or guidance, whether as a result of new information, future events, or otherwise.

Regeneron uses its media and investor relations website and social media outlets to publish important information about the Company, including information that may be deemed material to investors. Financial and other information about Regeneron is routinely posted and is accessible on Regeneron's media and investor relations website (<https://investor.regeneron.com>) and its LinkedIn page (<https://www.linkedin.com/company/regeneron-pharmaceuticals>).