

ともしび No.10

前回は肢体型筋ジストロフィーに対する遺伝子治療の進展状況をお知らせしました。今回はF S H（顔面肩胛上腕型）について述べましょう。

この病気については、原因となる遺伝子の詳細が解明し尽くされていないこともあり、遺伝子自体の治療は始まっていません。しかし、Acceleron（アクセラロン）という会社の開発したACE-083という薬が注目されています。アメリカのFDAから稀少疾患向けに迅速審査対象となっています。

これは原因遺伝子に働きかけずして、筋肉を強く大きくするというものです。ヒトの筋肉の中には、TGF β （ベータ）群に属するアクチビンやマイオスタチンなどのタンパクが存在し、これらは筋肉の成長を妨げる働きがあります。上記のACE-083は、アクチビンやマイオスタチンの働きを抑えることによって、筋肉の成長を促進することを目的としています。アクセラロン社はF S Hの患者さんを対象として、現時点で第二相の臨床試験を行っていますが、その初期段階で良い結果が得られたと報告されています。今後の進展に期待したいものです。