

ともしび No.11

今年最後のともしびでは、成人で最も頻度の高い筋強直性ジストロフィーについて述べます。19番染色体に存在するミオトニンプロテインキナーゼ(DMPK)という遺伝子に存在するCTG(トリプレットと呼ぶ)という塩基配列が何度も何度も異常に繰り返されることが原因です。当初はアンチセンス核酸薬(DMDのエクソンスキッピングに用いられるもの)で治療できるだろうということで、アメリカのIONISという会社が、薬(IONIS-DMPKRx)を開発し、第1/2相の臨床試験を行いました。その結果が今年の1月に発表されたのですが、残念なことに目に見える効果が得られませんでした。筋肉にまで届いた薬の量が少なかったようです。この薬に期待していた多くの患者さんにとって、このニュースは大きな落胆でした。しかし、IONISは、新しいアンチセンス核酸を開発しているとのことで、今後に期待したいものです。

ところでIONISという会社は、いろいろな病気に対するアンチセンス核酸薬を開発しており、その中には臨床的に効果が認められて、すでに市販されているものがあります。たとえば、脊髄性筋萎縮症に対して開発したヌシネルセン(商品名、スピンラザ)があります。ともしび6号で脊髄性筋萎縮症の遺伝子治療について述べた時には触れませんでした。これは日本でも市販されているアンチセンス核酸薬です。またIONIS社は、遺伝性アミロイドポリニューロパシーに対するアンチセンス核酸も開発し、すでにアメリカでは市販されています。このほかにも複数の疾病に対するアンチセンス核酸薬を開発して臨床試験を行っている会社なので、アンチセンス核酸薬の開発には相当な実績があります。一日も早く、筋強直性ジストロフィーに対する薬を開発してもらいたいものです。それでは、筋ジストロフィーの患者さんたちにとって、来年が良き年となりますようにお祈りいたします。

2018.12.25