

ともしび No.2

前回、サレプタ社が開発したエクソンスキッピング治療薬のエテプリルセン（別名エクソండిス 51）は米国で市販されているとお伝えしましたが、今回は少し残念な報告です。Muscular Dystrophy News Weekly Digest の伝えるところによると、EU（欧州連合）で、この薬の市販を承認するかどうかの会議が開かれて、サレプタ社が行った治験のデータは不十分で、市販を承認できないという意見が出されたとのこと。サレプタ社は追加意見を述べる予定のようですが、EUで市販が認められるかどうか、微妙な段階のようです。

現在、米国でサレプタ社が進めている追加治験では、参加する患者数を増やして、治療した群（80人）と治療しなかった群（30人）を比較することで、より慎重な検討を行っており、来年には結果が出ると予想されているので、これが最終的な結論を出すと思われます。

2018.6.15