

ともしび No.3

ともしび No.2 において、米国で市販されているエテプリルセン（別名エクソンデイス 51）が、EU（欧州連合）では市販されないかもしれないという残念なニュースをお知らせしました。しかし、新たな試みがすでに始まっています。

エテプリルセンはモルフォリノのモノマー（英語では **phosphodiamidate morpholino oligomer**、略して **PMO**）という物質が使われています。PMO は水に溶けやすく、標的の mRNA に強く結合するという長所があります。しかし、静脈内に注射をしても、筋細胞の中には入りづらいため、頻回に静脈内に投与する必要があります（治験では毎週）。特に心筋細胞には入りにくいとされています。この欠点を改良するため、筋細胞の壁を通りやすくするペプチド（小さなタンパク）をくっつけたもの（英語で略して **PPMO**）が開発されました。こちらの方が筋細胞にはずっと入りやすく、静脈内投与は毎週ではなく、月一回でいいとされています。

サレプタ社では、エクソン 51 をスキッピングするために、PPMO を用いたアンチセンス核酸として **SRP-5051** を開発し、すでに米国で第 1 相の治験が始まっています。静脈注射が毎週ではなく月 1 回だと、通院も楽だし、痛い思いをすする回数が減るのでありがたいですね。エテプリルセンよりも良い結果を期待したいものです。

なお、念のために申し添えますが、私はサレプタ社とはなんら利害関係はありません。ただ、DMD のエクソンスキッピングに関しては、最も広範囲に治験を行っている会社なので、どうしても名前がなんども出てきます。ご了承ください。

2018.7.1