

ともしび No.4

ともしび1号から3号まで、エクソン51スキッピング療法としてのエテプリルセンの動きを中心にお伝えしてきました。実は、この治療は DMD すべての人に使える薬ではありません。エクソン51をスキップしたら小さなジストロフィンタンパクが作られる人と、そうでない人がいます。それは、ジストロフィン遺伝子の異常がどういう種類かによって決まります。従って、これから出てくるエクソンスキッピング治療の対象になるかどうかは、ご自分のジストロフィン遺伝子の異常を調べておかなければわからないことになります。このエクソン51スキッピング療法は、DMD患者の13%で使えると考えられています。残りの87%の人は、この治療の対象にはなりません。

しかし、エクソン53スキッピング療法も開発されていて、サレプタ社ではSRP-4053(別名ゴロディルセン)という名前で、米国では臨床試験が第3相まで進んでいるようです。さらにエクソン45スキッピング療法もあり、SRP-4045(別名カシミルセン)という名前で、やはりこちらも米国では臨床試験が第3相まで進んでいるようです。この二つが対象となる人はそれぞれDMDの8%ずつで、あわせて16%です。エテプリルセンの13%とあわせると、単純計算では29%の人が現在開発中のエクソンスキップ治療の対象になります。なお、サレプタ社以外にも、ウエイブライフサイエンスという会社がPPMOを使ったエクソン51のスキッピング療法(WVE-210201)を臨床試験しています。現在第1相のようです。

ちなみに、我が国でも、エクソン53スキッピング療法(NCS-065/NCNP-01)と、エクソン45スキッピング療法(DS-5141)の第1/2相臨床試験が相次いで無事に終わったと報告されており、今後の進展が期待されます(https://www.nikkei.com/article/DGXLRS483732_Y8A620C1000000/) (<https://www.daiichisankyo.co.jp/news/detail/006839.html>)。

2018.7.15