

前回はデュシェンヌ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。では、他のジストロフィーではどうなのでしょう。

アメリカにマイオネクサス **Myonexus** という会社があります。ここでは肢体型筋ジストロフィー(英語で略して **LGMD**)に対する遺伝子治療を開発しています。肢体型にはいろいろな種類の遺伝子異常があり、それぞれに名前が付けられています。

たとえば、**LGMD2E** は **SGCB** という遺伝子に異常があり、 $\alpha$  サルコグリカンというタンパクをうまく作れないために発症するジストロフィーです。ふくらはぎに仮性肥大があって、デュシェンヌ型に多少似ていますが、常染色体劣性遺伝をとる病気です。このタイプに対して、マイオネクサス社が開発した **MYO-101** という薬があります。マイクロジストロフィンと同様に、**AAV** をベクターとして作成した遺伝子治療薬で、静脈注射です。ネズミのジストロフィーモデルで治療してみたところ、血清 **CK** 値が **85%** 下がり、歩く力や横隔膜の力が改善したそうです。今月から、実際に、この治療薬を用いて臨床試験が始まったそうです。

また、この会社では他のタイプの肢体型 (**LGMD2B**, **LGMD2C**, **LGMD2D**, **LGMD2L**) に対する治療薬をすでに開発しており、臨床試験が計画されています。ちなみに **LGMD2B** はジスフェリンという遺伝子に異常がある病気ですが、徳島病院で筋ジストロフィー病棟を開設された三好和夫先生が世界で初めて報告したタイプで、三好型とも呼ばれています。さて、今年のことですが、この会社の将来性に着目したのか、**DMD** のマイクロジストロフィン遺伝子治療で先行するサレプタ社が、マイオネクサス社とパートナーシップ契約を結んだと報じられています。いろんな会社が開発したノウハウを持ち寄って、一刻も早く根本的な治療が生まれることを期待したいものです。