

ともしび No.12

新年あけまして、おめでとうございます。

DMD の遺伝子レベルでの治療として初めて商品化されたエテプリルセン（ともしび1号参照）を開発したサレプタ社が、昨年末に発表したところによると、二番目のエクソンスキッピング薬として開発したゴロディルセン(SRP-4053)を、FDA に対して認可申請を行ったとのことです。エテプリルセンはエクソン 51 をスキップするアンチセンス核酸薬でしたが、ゴロディルセンはエクソン 53 をスキップするもので、DMD の8%の患者が対象となるとのことです（ともしび4号参照）。根拠となった臨床試験 4053-101 においては、25人の患児にゴロディルセンが使用されて、筋肉でジストロフィン蛋白が多くなったなどの結果が得られているようです。また、現在進行中の ESSENCE という臨床試験では、世界的な規模で、ゴロディルセンと同時にカシメルセンというエクソン45をスキップするアンチセンス核酸薬を治験しており、臨床的に有意義な結果が出るかどうか注目されます。また、ともしび9号でお伝えした、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るマイオネクサス社によりますと、同社が開発した遺伝子治療薬 (MYO-101) が、FDA から希少疾病用医薬品として認められたとのことです。この希少疾病用医薬品というのは、対象となる患者数は少ないものの、有望な薬に対して認められるものであり、今後に期待したいものです。

2019.1.15