

ともしび No.13

今回は遺伝子治療ではありませんが、エダサロネキセント edasalonexent という新しい薬について述べたいと思います。

これは、カタベシス製薬 (Catabasis Pharmaceuticals) という会社が開発している薬です。第三相の臨床試験が、PolarisDMD という名前が付けられて世界規模で進行中です。対象は4歳から7歳までのDMD患児です。この薬は、筋肉の中でNF- κ B (エヌエフ-カップパー) という蛋白の働きを抑える物質です。これによって筋肉細胞が壊れるのを防ぐことができるかとされています。これは飲み薬であって、遺伝子異常がどのようなものであっても、すべてのDMD患者が対象となるのが良いことです。

第三相の臨床試験に先立って行われた第一・二相の臨床試験(MoveDMD)においては、6年間までの使用をしたところ、病状の進行を抑える働きが顕著であり、筋肉の機能維持ができたとのことでした。また、筋肉の炎症や脂肪蓄積が減少する効果も見られたことなどから、期待が寄せられています。加えて、副作用がほとんどなく、非常に安全に使用できることも魅力的です。米国での試験は、おおよそ2年後に結果が発表される予定です。期待したいものです。

2019.2.15