

筋強直性ジストロフィー 治療薬開発表

2024年3月 特定非営利活動法人筋強直性ジストロフィー患者会調べ

製薬企業 / 研究機関	開発製品名	アプローチ	前臨床	治験第1相	治験第2相	治験第3相	製造販売
AMO Pharma	AMO-02 (タイドグループシブ)	低分子 結合タンパク阻害剤 (GSK3β阻害剤)					
大阪大学大学院	MYD-0124 (エリスロマイシン)	低分子 RNA結合タンパク凝集抑制					
Avidity Biosciences	AOC 1001 (del-desiran)	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)		*MARINA試験: 治験1/2相	*MARINA-DLE試験: 治験2相		
Dyne Therapeutics	DYNE-101	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)		*ACHIEVE試験: 治験1/2相			
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-DM1	異常RNA分解 (RNA干渉(RNAi))					
Vertex Pharmaceuticals	VX-670	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
PepGen	EDODM1	ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド					
Arthex Biotech	ATX-01	RNA結合タンパク凝集抑制 (miRNA阻害)					
NeuBase Therapeutics	NTC0231	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)		*IND申請中			
Juvena Therapeutics	JUV-161	分泌タンパク質による組織再生		*IND申請中			
Entrada Therapeutics	ENTR-701	RNA結合タンパク凝集抑制 (EEVオリゴヌクレオチド)		*IND申請中			
Design Therapeutics	GeneTAC™ プラットフォーム	低分子 リビート伸長治療		*IND申請予定(2024年第2四半期)			
モダリス	MDL-202	エピゲノム編集 (CRISPR-GNDM®技術)					
Locanabio	AAV-PIN-dCas9	遺伝子治療 (CRISPR/Cas9)					
アステラス製薬 (Astellas Gene Therapies)	AT466	遺伝子治療 (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)					
Kate Therapeutics		遺伝子治療 (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)					
Ionis Pharmaceuticals	IONIS 486178	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
Ionis Pharmaceuticals	IONIS 877864	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
Genethon	AAV-CRISPR-SaCas9	遺伝子治療					
Enzerna Biosciences	ENZERNA	遺伝子治療 (Artificial Site Specific RNA Endonucleases : ASREs)					
エディットフォース	EF-210 (PPRプラットフォーム技術)	RNA結合タンパク凝集抑制					
Expansion Therapeutics		低分子 RNA結合タンパク凝集抑制					
Triplet Therapeutics	TTX-DM1	リビート伸長治療					
University of Oxford	Pip6a-PMO	オリゴヌクレオチド治療					
国立精神・神経医療研究センター	脂質リガンド付加siRNA	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					