
























筋強直性ジストロフィー 治療薬開発表

2023年10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 (タイトグルーシブ)	低分子 結合タンパク量制御 (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	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			
PepGen Inc	 EDODM1	ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド		* 治験1相開始予定			
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			
Arthex Biotech	 ATX-01	RNA結合タンパク凝集抑制 (miRNA阻害)		* 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)			
株式会社モダリス	 MDL-202	エピゲノム編集 (CRISPR-GNDM®技術)					
Locanabio, Inc.	 AAV-PIN-dCas9	遺伝子治療 (CRISPR/Cas9)					
アステラス製薬株式会社 (Astellas Gene Therapies)	 AT466	遺伝子治療 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
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 Inc.	 ENZ-001	遺伝子治療 (Artificial Site Specific RNA Endonucleases : ASREs)					
エディットフォース株式会社	 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)					