

筋強直性ジストロフィー 治療薬開発表

2024年10月11日 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 結合タンパク阻制御 (GSK3β阻害剤)					
Avidity Biosciences	AOC 1001 (デルデシラン)	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)				* HARBOR試験	
大阪大学大学院	MYD-0124 (エリスロマイシン)	低分子 RNA結合タンパク阻制御					
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		
Arthex Biotech	ATX-01	RNA結合タンパク阻制御 (miRNA阻害)		* ArthemIR試験	治験1/2相		
Vertex Pharmaceuticals	VX-670	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-DM1	異常RNA分解 (RNA干渉(RNAi))					
PepGen	EDODM1	ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド					
Expansion Therapeutics	ERX-963	低分子 RNA結合タンパク阻制御		* 2021年6月23日に結果公表			
Juvena Therapeutics	JUV-161	分泌タンパク質による組織再生		* IND申請中			
Rgenta Therapeuticsrgentax	Rgenta	PMS1	低分子RNA 標的薬				
sanofi	sanofi	遺伝子治療 人工マイクロRNA (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)					
アステラス製薬 (Astellas Gene Therapies)	astellas	AT466	遺伝子治療 (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)				
GrittGene	GRITTGENE THERAPEUTICS	筋強直性ジストロフィー2型 遺伝子治療					
Enzerna Biosciences	ENZERNA	ENZ-001	遺伝子治療 (Artificial Site Specific RNA Endonucleases : ASREs)				
モダリス	MODALIS	MDL-202	エピゲノム編集 (CRISPR-GNDM®技術)				
Design Therapeutics	DESIGN THERAPEUTICS	GeneTAC™ プラットフォーム	低分子 リピート伸長治療				
DEWPOINT THERAPEUTICS	DEWPOINT THERAPEUTICS		生体分子凝集体を標的				
Kate Therapeutics	KATE THERAPEUTICS		遺伝子治療 (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)				
Prime Medicine	prime medicine		Prime Editing technology (多目的遺伝子編集)				
Denali	DENALI	OTVプラットフォーム	オリゴヌクレオチド				
エディットフォース	EditForce	EF-210 (PPRプラットフォーム技術)	RNA結合タンパク阻制御				
Scriptr Global	Scriptr						
国立精神・神経医療研究センター	NCNP	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)				
熊本大学発生病学研究所	熊本大学 Kumamoto University	PIポリアミド	異常RNA産生抑制				