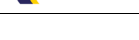


## 筋強直性ジストロフィー 治療薬開発表

2025年4月16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 |
|-----------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------|----------------------------------------|-----|---------------------|-----------|------------|------|
| <a href="#">AMO Pharma</a>                          |    | AMO-02<br>(タイドグルーシブ)       | 低分子 結合タンパク量制御<br>(GSK3β阻害剤)            |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Avidity Biosciences</a>                 |    | AOC 1001<br>(デルデシラン)       | 異常RNA分解<br>(アンチセンスオリゴヌクレオチド)           |     |                     |           | * HARBOR試験 |      |
| <a href="#">大阪大学大学院</a>                             |    | MYD-0124<br>(エリスロマイシン)     | 低分子 RNA結合タンパク凝集抑制                      |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Dyne Therapeutics</a>                   |    | DYNE-101                   | 異常RNA分解<br>(アンチセンスオリゴヌクレオチド)           |     | * ACHIEVE試験：治験1/2相  |           |            |      |
| <a href="#">Vertex Pharmaceuticals</a>              |    | VX-670                     | 異常RNA分解<br>(アンチセンスオリゴヌクレオチド)           |     |                     | * 長期投与試験  |            |      |
| <a href="#">Arthex Biotech</a>                      |    | ATX-01                     | RNA結合タンパク凝集抑制<br>(miRNA阻害)             |     | * ArthemIR試験：治験1/2相 |           |            |      |
| <a href="#">Sarepta (Arrowhead Pharmaceuticals)</a> |    | SRP-1003 (ARO-DM1)         | 異常RNA分解 (RNA干渉(RNAi))                  |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">PepGen</a>                              |    | PGN-EDODM1                 | ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド                  |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Juvena Therapeutics</a>                 |    | JUV-161                    | 分泌タンパク質による組織再生                         |     |                     | * 2025年予定 |            |      |
| <a href="#">Expansion Therapeutics</a>              |    | ERX-963                    | 低分子 RNA結合タンパク凝集抑制                      |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Rgenta Therapeuticsrgentatx</a>         |    | PMS1                       | 低分子RNA 標的薬                             |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">sanofi</a>                              |    |                            | 遺伝子治療 人工マイクロRNA<br>(アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース) |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">アステラス製薬 (Astellas Gene Therapies)</a>   |    | AT466                      | 遺伝子治療<br>(アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)           |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">GrittGene</a>                           |   |                            | 筋強直性ジストロフィー2型<br>遺伝子治療                 |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">モダリス</a>                                |  | MDL-202                    | エピゲノム編集<br>(CRISPR-GNDM®技術)            |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Design Therapeutics</a>                 |  | GeneTAC™ プラットフォーム          | 低分子 リビート伸長治療                           |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">DEWPOINT THERAPEUTICS</a>               |  |                            | 生体分子凝集体を標的                             |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Kate Therapeutics</a>                   |  |                            | 遺伝子治療<br>(アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)           |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Kinea Bio</a>                           |  | KNA-123<br>KNA-145 (先天型向け) |                                        |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">エディットフォース</a>                           |  | EF-210<br>(PPRプラットフォーム技術)  | RNA結合タンパク凝集抑制                          |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Scriptr Global</a>                      |  |                            |                                        |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">Arrakis Therapeutics</a>                |  | Arrakis rSM<br>ARKC0177103 | RNA標的 low分子 (rSM)薬                     |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">国立精神・神経医療研究センター</a>                     |  | 脂質リガンド付加siRNA              | 異常RNA分解<br>(アンチセンスオリゴヌクレオチド)           |     |                     |           |            |      |
| <a href="#">熊本大学発医学研究所</a>                          |  | PIボリアミド                    | 異常RNA産生抑制                              |     |                     |           |            |      |