

Avidity Biosciences

2025 年 7 月 28 日

筋強直性ジストロフィーのコミュニティの皆様へ

本日、私たちは筋強直性ジストロフィー1型の患者さんを対象とした、デルパシバート エテデシラン(デルデシラン)に関する進行中の国際共同第 3 相臨床試験(HARBOR™研究)での研究参加者組み入れが完了したとご報告できることを大変嬉しく思います。

これは、筋強直性ジストロフィー1型の根本的な遺伝的原因に対処する治療法を進める上で、筋強直性ジストロフィーの患者さんとアビディティ双方にとって重要な一歩となります。

HARBOR 試験は、筋強直性ジストロフィー1 型で 16 歳以上の患者さんを対象に、デルデシラン 4mg/kg を 8 週間ごとに投与する群とプラセボ群で、54 週間にわたる影響を評価するよう設計されています。

アビディティは、2026 年第 2 四半期に HARBOR 試験における主要な調査結果の速報値を発表する予定です。

また、進行中の MARINA 非盲検延長(MARINA-OLE™)試験のデルデシランに関する最新情報(長期投与での 4mg/kg の有効性および安全性データを含む)も、2025 年第 4 四半期に発表する予定です。

HARBOR 臨床試験の結果に基づき、2026 年後半から米国、EU、日本を含む地域でデルデシランの販売承認申請を開始する予定です。

本日のプレスリリース全文は[こちら](#)でご覧いただけます。

私たちは、できるだけ早く HARBOR 試験を完了し、規制当局への申請、そして最終的な承認に必要なデータを収集するために取り組んでいます。

デルデシランの HARBOR 試験への組み入れ完了は、筋強直性ジストロフィーに対するおそらく初の承認薬をもたらす上で、重要な前進となります。

私たちは、デルデシランの開発に対する皆様の時間、強い意志、そして継続的な貢献と、患者団体(筋強直性ジストロフィー患者会)に感謝申し上げます。

私たちは共に多くのことを成し遂げました。この開発の次の段階に進むにあたり、患者団体との継続的なパートナーシップを楽しみにしています。

臨床開発においてデルデシランを進めるために協力してくださっている、研究参加者、そのご家族、治験責任医師、およびそのチームに心から感謝いたします。私たちは、筋ジストロフィーの患者団体と患者さん、ご家族のために有意義な治療法を進めるという信念を揺るぎなく持ち続けています。