

筋強直性ジストロフィー 治療薬開発表

2025年11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
AMO Pharma エイムオー・ファーマ		AMO-02 (先天型、成人型) (タイドグループシブ)	低分子 結合タンパク量制御 (GSK3β阻害剤)					
Avidity Biosciences アビディティ・バイオサイエンス		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 The University of Osaka		MYD-0124 (エリスロマイシン)	低分子 RNA結合タンパク凝集抑制					
Dyne Therapeutics ダイン・セラピューティクス		DYNE-101 (ゼレンシメント バシヴァーセン)	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 ペップジェン		PGN-EDODM1	ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド					
Vertex Pharmaceuticals バーテックス・ファーマシューティカルズ		VX-670	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)			*長期投与試験		
Arthex Biotech アルテックス・バイオテック		ATX-01	RNA結合タンパク凝集抑制 (miRNA阻害)		*ArthemIR試験：治験1／2相			
Sarepta Therapeutics サレプタ・セラピューティクス		SRP-1003 (ARO-DM1)	異常RNA分解 (RNA干渉(RNAi))					
sanofi サノフィ		SAR446268	遺伝子治療 人工マイクログRNA (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)					
Juvena Therapeutics ジュベナ・セラピューティクス		JUV-161	分泌タンパク質による組織再生			*2025年予定		
Arthex Biotech(DM2) アルテックス・バイオテック		ATX-01	筋強直性ジストロフィー2型 RNA結合タンパク凝集抑制 (miRNA阻害)					
Rgenta Therapeutics ルジェンタ・セラピューティクス		PMS1	低分子RNA 標的薬					
エディットフォース EditForce		EF-210 (PPRプラットフォーム技術)	RNA結合タンパク凝集抑制					
GrittGene(DM2) グリットジーン			筋強直性ジストロフィー2型 遺伝子治療					
Modalis Modalis		MDL-202	エビゲノム編集 (CRISPR-GNDM®技術)					
Design Therapeutics デザイン・セラピューティクス		GeneTAC™ プラットフォーム	低分子 リビート伸長治療					
Novartis ノバルティス			遺伝子治療 (アデノ随伴ウイルス(AAV)ベース)					
Kinea Bio キネア・バイオ		KNA-123 (先天型) KNA-129 (成人型)						
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)					
Arrakis Therapeutics アラキス・セラピューティクス		Arrakis rSM ARKC0177103	RNA標的的低分子(rSM)薬					
国立精神・神経医療研究センター National Center of Neurology and Psychiatry		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 Kumamoto University		PIポリアミド	異常RNA産生抑制					
LoQus23 Therapeutics ローカス23・セラピューティクス			低分子リビート伸長阻害					
ScriptBioscience スクリプト・バイオサイエンス		CasPlusプラットフォーム	遺伝子治療					