

アタルレンについてお問い合わせをいただきました

みなさん、明けましておめでとうございます。本年もどうぞよろしくお願ひいたします。

登録患者さんからアタルレンについてお問い合わせをいただきました。
興味のある方がたくさんいらっしゃると思いますので、お知らせいたします。

Q:アタルレンについて現在の研究状況を教えてください

A:アタルレンはリードスルー薬として、ナンセンス変異を伴うデュシェンヌ型筋ジストロフィーや嚢胞性線維症の治療薬として2005年頃から開発が進められています。

2012年12月6日、PTC THERAPEUTICSはヨーロッパの新薬の承認審査/規制を行っているEMA (European Medicines Agency)が、条件付承認に向けた審査をはじめたと発表しました。これは48週間の174人のナンセンス変異のDMD患者が参加したPhase 2b studyの結果をうけて進められていると説明しています。

さらにPTC THERAPEUTICSは、AtalurenのPhase 3 多施設共同国際臨床試験(治験)を2013の早い時期に開始しおよそ220人が参加する予定であるとアナウンスしています。

詳細はPTC THERAPEUTICS社のウェブサイトをご覧ください。(英文)

<http://ptct.client.shareholder.com/releases.cfm>

Clinicaltrial.govのページ(英文)

<http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00847379?term=ataluren&rank=1>

皆さまからのご意見、特によくご存じの先生方からのさらに詳しい情報をお待ちしています。Remudy事務局までお知らせください。どうぞよろしくお願ひします。