

【Remudy ニュースレター第 30 号】

配信日:2013 年 07月 16 日

Ultragenyx 社は HIBM(\*患者を対象にしたシアル剤 UX001の第2層試験の中間データで肯定的な兆候が見られたと発表

2013 年 7 月 3 日、バイオ企業の Ultragenyx 社は、アメリカ、イスラエルにて行われた、経口シアル酸徐放性製剤 UX001の第2層臨床試験の 24 週の間データを発表した。UX001は HIBM 患者の不十分なシアル酸基質との置換を目的に作られた薬である。この試験では HIBM の患者 47 人が偽薬グループ、1日 3mg 投与グループ、1日 6mg 投与グループにランダムに分けられ、24 週後、偽薬グループからランダムに選ばれた患者が投与グループへ盲検化にてクロスオーバー(交差試験)された。

このデータによれば UX001投与による筋力の改善が見られ、特に 6mg 投与グループの上肢に効果が見られた。また CK(クレアチンキナーゼ)値レベルは 6mg 投与のグループで改善が見られた。現在のところ重篤な有害事象は見られず、良好な耐用性を示している。

48 週後に再度評価が行われ、最終的なデータは年末頃を予定している。48 週の分析の後、Ultragenyx 社は同じ患者を対象に、24 週時点の結果に基づき投与量を増やす継続試験を計画することになっている。

Ultragenyx の発表:



<http://www.ultragenyx.com/index.php?ht=action/GetDocumentAction/i/12770>

Ultragenyx ホームページ:



<http://www.ultragenyx.com/>

\*HIBM とは

Hereditary Inclusion Body Myopathy / 遺伝性封入体ミオパチー。日本では DMRV (distal myopathy with rimmed vacuoles / 縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー)、GNE ミオパチーと称される