

エクソン 51 スキッピング薬の開発に関するニュースの続報。

1) drisapersen について

昨年、グラクソ・スミスクライン (GSK) が行った、デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) 治験薬 drisapersen のフェーズ III 臨床試験 (DMD114044) において、主要評価項目である 6 分間歩行テスト (6MWD) がプラセボと比較して統計的に有意な改善に達しなかったことを発表しました ([2013 年 10 月 1 日お知らせ](#)参照)。

これを受けて GSK は共同開発契約を結んでいた Prosensa 社に drisapersen の権利を返還すると発表しました。



<http://www.gsk.com/media/press-releases/2014/prosensa-regains-rights-to-drisapersen-from-gsk-and-retains-right.html>

今回の結果について Prosensa の最高経営責任者 (CEO) のハンス・スキカン氏は、「drisapersen をあきらめたわけではなく、我々はこの治験薬の様々な研究結果を引き続き分析中です」と述べています。



<http://ir.prosensa.eu/releasedetail.cfm?ReleaseID=819800>

2) eteplirsen について

アメリカの Sarepta Therapeutics 社は 2014 年 1 月 15 日、DMD 患者を対象とした、eteplirsen のフェーズ IIb 臨床試験の延長試験の第 120 週までの結果を発表し、2 年間以上にわたり eteplirsen の治療を受けた患者の 6 分間歩行テストで歩行能力が安定していることが示されました。



<http://investorrelations.sareptatherapeutics.com/phoenix.zhtml?c=64231&p=RssLanding&cat=news&id=1891149>

エクソンスキッピング薬は、日本でもエクソン 53 スキップ薬の開発が日本新薬と国立精神・神経医療研究センターの共同開発で実施され、さらに Orphan Disease Treatment Institute と神戸大学の共同開発研究も始まっています。