

【Remudy ニュースター第 89 号】

配信日 : 2016 年 6 月 16 日

今回は、医療者・研究者向け：論文の紹介についてご案内いたします。

医療者・研究者向け：論文のご紹介です

1) ステイクホルダー（利害関係者）の協調による希少疾患薬の開発—DMD の例

Stakeholder cooperation to overcome challenges in orphan medicine development: the example of Duchenne muscular dystrophy The Lancet Neurology. Volume 15, Issue 8, July 2016, Pages 882-890

<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1474442216300357>

ヨーロッパを中心としたステイクホルダー（利害関係者）の協調による希少疾患薬の開発に関する論文が Lancet neurology に発表されました。DMD を希少な難治性疾患の例として挙げ、利害関係者として患者団体、大学研究者、企業、規制当局のそれぞれの代表者が協力して治療開発を推進する現状が述べられています。

2) デュシェンヌ型筋ジストロフィーの歩行不能男性での臨床試験の準備

Clinical trial readiness in non-ambulatory boys and men with DMD: MDA-DMD network follow-up Muscle Nerve. 2016 Mar 1. doi: 10.1002/mus.25089. [Epub ahead of print]

歩行ができない DMD 男性患者の臨床アウトカムを検討した研究。12-33 歳の DMD 男性 91 人を対象に、2 年間フォローアップを行い、12 ヶ月、24 ヶ月後の評価として、Brooke scale, Egen Klassifikation (EK) scale, 肘の屈曲、握力が、アウトカムとして有用であることが示されました。

以上

外部リンクは予告なく切れる場合がございます。ご注意ください。