

2006年10月24日

治療薬に関する最新のニュース（PTC製薬会社からの報告） 2006年10月

PTC THERAPEUTICS(PTC製薬会社)のDMD治療薬であるPTC124がFDAの補助を獲得

PTC製薬会社は、遺伝子転写以降の過程をターゲットとした小分子薬の発見と開発に力を入れているバイオ製薬会社である。その会社が最近、アメリカのFDAのオーファン薬開発局(Office of Orphan Product Development: OOPD)から2年間の補助金を得た事を発表した。この補助金はデュシャンヌ型筋ジストロフィー(DMD)のナンセンス変異に対する治療薬であるPTC124の臨床試験第2相をしている会社の支援に当てられる。

「われわれの臨床開発のために、FDAが補助を認めてくれて、とても光栄です」。PTC製薬の社長であり、CEOであるStuart Peltz Ph.Dは述べた。「去年に我々、PTCでは嚢胞性線維腫症(cystic fibrosis: CF)に対する治療薬としてPTC124を開発し、臨床試験第2相を行っているが、それに対しFDAから補助を得た。それと同様に今回の補助は、DMD治療薬であるPTC124開発に大きく貢献することになるであろう。」

PTCはPTC124のDMD臨床試験第2相を2006年、1月に開始した。DMDの患者は、筋線維の構造を安定させるのに非常に重要なタンパクであるジストロフィン(dystrophin)を有していない。臨床試験第2相では、薬の様々なデータを収集しつつ、ナンセンス変異によりDMDを治療し患者にジストロフィンを発現させることで評価をおこなう。筋肉損傷の程度を決定する筋肉に由来するクレアチニンキナーゼ(CK)の血中濃度の測定もおこなった。PTC124の安全性、反応性、薬物動態についても評価した。

この研究の基礎的なデータは10月21日(土)に、ペンシルバニアこども病院(The Children's Hospital of Pennsylvania)の神経筋プログラムの取まとめ役であるDr.Richard Finkelがイギリス筋ジストロフィーの親の会、第4回国際DMD会議(Parent Project UK Muscular Dystrophy 4th International DMD conference)で発表した。この会議は、ロンドン、イギリス、で2006年10月21日、22日に教育研究所(the Institute of Education)で開催される。

オーファン薬開発局について

オーファン薬開発会社(OOPD)は1982年に創立以来、稀な病態・疾患の診断や治療のために、医薬品の開発に力をいれてきた。OOPDは稀な疾患の研究グループのみならず、医学・研究共同所や専門組織、学会、薬品工業などと提携している。OOPDは、稀な疾患の治療薬の開発に援助を行うオーファン薬活動(the Orphan Drug Act: ODA)を主に管理している。ODAは1983年より以前は市場に出した薬は10にも満たなかったが、1983年以降、稀な疾患に対して200以上の薬とバイオ製品を提供し続け、これまでに大きな成功を収めてきた。さらに、OOPDは稀な疾患に対する臨床研究にたいして基金を提供するOrphan Product Grand Programを管理している。

PTC124について

PTC124はナンセンス変異に基づく遺伝子異常を治療する薬で、現在、臨床研究第2相の候補となっている。ナンセンス変異とは遺伝子の一箇所の変異により、その翻訳が不完全となり、本来のものより短く、正常機能を有さないタンパクが生産されるようになる事である。PTC124はこれまでに基礎研究の段階で、ナンセンス変異を有した遺伝子変異モデルに、本来の大きさの、機能的なタンパクを作ることに成功している。臨床試験の第1相では、PTC124は一般的によく安定しており、基礎試験のモデルでの活性に十分な目標の血漿中の濃度に達し、またリボソームが通常の停止コドン(stop codon)を認識することもできた。PTCは現在、CFとDMDにおいて、ナンセンス変異を誘導して治療するPTC124の臨床試験第2相を試行しているところである。

CFの10%および、DMDの13%の患者でナンセンス変異により疾患が発症することが知られている。PTCはPTC124が他のナンセンス変異により発症する遺伝子異常にも効果があると考えている。FDPは、ナンセンス変異により発症するCFとDMDの治療となるPTC124の迅速な開発と、オーファン薬について評価をしてきた。また、European Medicines Agency(EMA)のオーファン薬製品委員会(the Committee for Orphan Medicinal Products: COMP)はPTC124にDMDとCFの治療にたいするオーファン薬と認知してきた。PTC124の開発は、筋ジストロフィー協会(MDA)、嚢胞性線維腫症財団治療学社(Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics, Inc.: CFFT)、FDAの会社であるオーファン薬開発(OOPD)、およびNational Center for Research Resources(NCRR)のGeneral Clinical Research Centerにより支援されている。

DMDについて

DMDは進行性の筋疾患であり、筋肉の機能異常により発症する。DMDの大部分は筋肉のジストロフィンが阻害され、小児期のうちに診断させる致死的な遺伝子異常症である。毎年、世界でおおよそ2万人以上のDMD患者が出生する。DMDについてのより多くの情報をえるには、筋ジストロフィー協会と、筋ジストロフィー親の会を通じて入手可能である。

PTC製薬会社について

PTCは遺伝子の転写以降の過程をコントロールする小分子薬を専売とし、その発見と開発に力を入れているバイオ製薬の会社である。転写以降の段階をコントロールすることは、たんぱく質産生と時期と頻度を調整し、適切な細胞機能を保つために中心的な役割を果たすことになる。PTCはこれまで独自のテクノロジーと大規模な知識を集結させ、薬の発見や開発活動に当てはめてきた。PTCは現在、基礎の臨床の発見を、遺伝子異常、腫瘍、遺伝病など伝染病などの複数の適応について提出している。