

ミトコンドリア病の承認治療薬(海外)

2016年4月現在

| 薬剤名 | 対象疾患 | 承認地域 | 会社名 |
|-------------------------------|-------------|------|--------------------------|
| Raxone(イデベノン) | レーベル病(LHON) | ドイツ | Santhera Pharmaceuticals |

一般社団法人こいのぼり調べ

ミトコンドリア病の治験(日本)

2016年4月現在

| 治験薬# | 対象疾患 | 開発段階 | 組織・施設 |
|--|-----------------|-----------------------|------------------------|
| EPI-743 (UMIN000010783) | MELAS | 臨床試験 フェーズ1 | 独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター |
| EPI-743 (JapicCTI-132349) | リー脳症 | 企業治験 フェーズ3 | 大日本住友製薬 |
| タウリン (KNO1) (UMIN000005592) | MELAS | 臨床試験 フェーズ3 | 川崎医科大学神経内科 |
| タウリン (UMIN000009358) | MERRF | 臨床試験 | 川崎医科大学神経内科 |
| コハク酸ナトリウム (UMIN000013512) | ミトコンドリア病 | 臨床試験 フェーズ2/3(状況不明) | 鳥取大学医学部附属病院 |
| ベザフィブラート(BF-759) (UMIN000017984) | ミトコンドリア脂肪酸代謝異常症 | 臨床試験 フェーズ2/3 | 島根大学医学部附属病院 |
| ピルピン酸ナトリウム (UMIN000008341) | ミトコンドリア病 | 臨床試験 フェーズ2 | 広島大学病院小児科 |
| L-アルギニン (JMA-IIA00025) | MELAS | 医師主導治験 フェーズ3終了 | 久留米大学医学部小児科 |
| SPP-004(5-ALA) (JMA-IIA00214) | ミトコンドリア病 | 医師主導治験 フェーズ2 | 埼玉医科大学病院 |
| イデベノン (UMIN000017939) | レーベル病(LHON) | 臨床試験 フェーズ1/2 | 兵庫医科大学 |

一般社団法人こいのぼり調べ

ミトコンドリア病の治験(海外)

2016年4月現在

| 治験薬# | 対象疾患 | 開発段階 | 組織・施設 | 実施地域 |
|--|---|---------------------|--|-------------------------------------|
| EPI-743 (NCT02352896) | リー脳症 | 企業治験 フェーズ2 | Edison Pharmaceuticals Inc | アメリカ |
| EPI-743 (2012-001294-84) | リー脳症 | 企業治験 フェーズ2(状況不明) | Edison Pharmaceuticals Inc | イタリア |
| EPI-743 (NCT02104336) | ピアソン病 | 企業治験 フェーズ2中断 | Edison Pharmaceuticals Inc | アメリカ |
| EPI-743 (NCT01642056) | ミトコンドリア異常症ほか | 臨床試験 フェーズ2 | National Human Genome Research Institute (NHGRI) | アメリカ |
| RTA 408 (NCT02255422) | ミトコンドリア筋症 | 企業治験 フェーズ2 | Reata Pharmaceuticals Inc | アメリカ デンマーク |
| RP103 (NCT02473445) | ミトコンドリア病 | 企業治験 フェーズ2 | Raptor Pharmaceuticals Inc | アメリカ |
| RP103 (NCT02023866) | リー脳症ほか | 企業治験 フェーズ2/3 | Raptor Pharmaceuticals Inc | アメリカ |
| Bendavia(MTP-131) (NCT02367014) | ミトコンドリア筋症 | 企業治験 フェーズ1/2 | Stealth BioTherapeutics Inc | アメリカ |
| KH176 (NCT02544217) | ミトコンドリア病 | 企業治験 フェーズ1終了 | Khondrion BV | ベルギー |
| GS010 (NCT02064569) (NCT02652767) (NCT02652780) | レーベル病(LHON) | 企業治験 フェーズ1/2/3 | GenSight Biologics | フランス アメリカ ドイツ イタリア イギリス |
| Acetyl-L-carnitine (2009-016982-26) | レーベル病(LHON) | 企業治験 フェーズ2(状況不明) | Sigma-Tau Pharmaceuticals Inc | イタリア |
| Bezafibrate(ベザフィブラート) (NCT02398201) | ミトコンドリア筋症 | 臨床試験 フェーズ2 | Newcastle-upon-Tyne Hospitals NHS Trust | イギリス |
| Bezafibrate(ベザフィブラート) (2012-002692-34) | ミトコンドリア筋症 | 臨床試験 フェーズ2 | Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde | オーストリア |
| Bezafibrate(ベザフィブラート) (NCT00983788) | カルニチン・パルミトイルトランスフェラーゼ II 欠損症 極長鎖アシル-CoA脱水素酵素欠損症 | 臨床試験 フェーズ2終了 | Rigshospitalet | デンマーク |
| Glycerol/Saline, Intralipid/Heparin (NCT02517307) | 極長鎖アシル-CoA脱水素酵素欠損症 三頭酵素欠損症 長鎖ヒドロキシアシル-CoA脱水素酵素欠損症 中鎖アシル-CoA脱水素酵素欠損症(糖代謝) | 臨床試験 | オレゴン健康科学大学 | アメリカ |
| scAAV2-P1ND4v2 (NCT02161380) | レーベル病(LHON) | 臨床試験 フェーズ1 | マイアミ大学 | アメリカ |
| rAAV2-ND4 (NCT01267422) | レーベル病(LHON) | 臨床試験 終了 | 華中科技大学 | 中国 |
| Metformin (NCT02500628) | ミトコンドリア病(心拍数) | 臨床試験 フェーズ2 | Woodinville Psychiatric Associates | アメリカ |
| Dapagliflozin (NCT01439854) | 多発ミトコンドリア機能障害症候群(糖代謝) | 臨床試験 | テキサス大学 | アメリカ |
| Trihepatonin (NCT01379625) | ミトコンドリア脂肪酸代謝異常症 | 臨床試験 フェーズ2終了 | オレゴン健康科学大学 | アメリカ |

一般社団法人こいのぼり調べ

*企業治験、医師主導治験、臨床試験、臨床研究を含み、「治験」と表記しています。
#薬剤、化合物、試薬等を含み、開発中のものを「治験薬」と表記しています。