

## ミトコンドリア病の承認治療薬(海外)

2018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)	<a href="http://www.santhera.com/">http://www.santhera.com/</a>	レーベル病(LHON)	欧州(条件付き)	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)

2018年4月現在

治験薬#		対象疾患	開発段階	組織・施設
Vatiquinone (EPI-743) (UMIN000010783)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr.cgi?function=history&amp;action=list&amp;type=summary&amp;recptno=R000012615&amp;language=J">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr.cgi?function=history&amp;action=list&amp;type=summary&amp;recptno=R000012615&amp;language=J</a>	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
Vatiquinone (EPI-743) (JapicCTI-132349) (JapicCTI-142628)	<a href="http://www.clinicaltrials.jp/user/search/directCteDetail.jsp?clinicalTrialId=12519">http://www.clinicaltrials.jp/user/search/directCteDetail.jsp?clinicalTrialId=12519</a>	リー脳症	企業治験 フェーズ3	大日本住友製薬
タウリン (UMIN000029376)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000033379">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000033379</a>	MELAS	臨床試験 フェーズ3終了	川崎医科大学神経内科
タウリン (UMIN000009358)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000010995">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000010995</a>	MERRF	臨床試験 フェーズ2	川崎医科大学神経内科
ベザフィブラート (UMIN000017984)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020843">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020843</a>	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
ピルビン酸ナトリウム (UMIN000025880)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029753">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029753</a>	リー脳症	臨床試験 フェーズ3	久留米大学医学部小児科
ピルビン酸ナトリウム (UMIN000025874)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029752">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029752</a>	MELAS/MELA	臨床試験 フェーズ3	久留米大学医学部小児科
ピルビン酸ナトリウム	<a href="http://www.med.osaka-u.ac.jp/pub/ped/www/study/st09_brain_3_kenkyu_02.html">http://www.med.osaka-u.ac.jp/pub/ped/www/study/st09_brain_3_kenkyu_02.html</a>	ミトコンドリア病	自主臨床研究	大阪大学病院小児科
L-アルギニン (JMA-IIA00023)	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00023">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00023</a>	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
(JMA-IIA00025)	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00025">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00025</a>			
SPP-004 (5-ALA/Fe) (JMA-IIA00214)	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACTR/App/JMACTRE02_04/JMACTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;segno=51">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACTR/App/JMACTRE02_04/JMACTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;segno=51</a>	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)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020747">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020747</a>	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1/2	兵庫医科大学
皮膚電気刺激 (UMIN000031057)	<a href="https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000035434">https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000035434</a>	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1	神戸大学

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)

2018年4月現在

治験薬#		対象疾患	開発段階	組織・施設	実施地域
Vatiquinone (EPI-743) (NCT02352896)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02352896">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02352896</a>	リー脳症	企業治験 フェーズ2終了	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vatiquinone (EPI-743) (NCT02104336)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02104336">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02104336</a>	ピアソン病	企業治験 フェーズ2中断	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vatiquinone (EPI-743) (NCT01642056)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01642056">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01642056</a>	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
Omaveloxolone (RTA408) (NCT02255422)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02255422">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02255422</a>	ミトコンドリア筋症	企業治験(二重盲検法) フェーズ2終了	Reata Pharmaceuticals Inc	アメリカ デンマーク
RP103 (NCT02473445)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02473445">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02473445</a>	ミトコンドリア病	企業治験 フェーズ2終了	Horizon Pharma plc (Raptor Pharmaceuticals Inc)	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (NCT03323749)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03323749">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03323749</a>	ミトコンドリア筋症	企業治験(二重盲検法) フェーズ3	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (NCT02693119)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02693119">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02693119</a>	レーベル病(LHON)	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ
KH176 (NCT02909400)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02909400">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02909400</a>	MELAS MIDDほか	企業治験(二重盲検法) フェーズ2終了	Khondrion BV	オランダ
GS010 (rAAV2/2-ND4) (NCT02064569) (NCT02652767) (NCT02652780) (NCT03293524) (NCT03406104)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/results?term=GS010&amp;Search=Search">https://clinicaltrials.gov/ct2/results?term=GS010&amp;Search=Search</a>	レーベル病(LHON)	企業治験(二重盲検法) 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
Bezafibrate (ベザフィブラート) (NCT02398201)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02398201">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02398201</a>	ミトコンドリア筋症	臨床試験 フェーズ2終了	Newcastle-upon-Tyne Hospitals NHS Trust	イギリス
scAAV2-P1ND4v2 (NCT02161380)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02161380">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02161380</a>	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 (NCT03153293)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03153293">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03153293</a>	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ2/3	華中科技大学	中国
Metformin (NCT02500628)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02500628">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02500628</a>	ミトコンドリア病(心拍数)	臨床試験 フェーズ2終了	Woodinville Psychiatric Associates	アメリカ
L-アルギニン、シトルリン (NCT02809170)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02809170">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02809170</a>	ミトコンドリア病	臨床試験	Tawam Hospital	UAE
Dapagliflozin (NCT01439854)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01439854">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01439854</a>	多発ミトコンドリア機能障害症候群(糖尿病)	臨床試験(二重盲検法)	テキサス大学	アメリカ
Triheptanoin (NCT01379625)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01379625">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01379625</a>	ミトコンドリア脂肪酸代謝異常症	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2終了	オレゴン健康科学大学	アメリカ
Raxone(イデベノン) (NCT02774005)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02774005">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02774005</a>	レーベル病(LHON)	企業治験 フェーズ4	Santhera Pharmaceuticals	アメリカほか
イデベノン (NCT00887562)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00887562">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00887562</a>	MELAS	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2終了	コロンビア大学	アメリカ
KL1333 (NCT03056209)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03056209">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03056209</a>	MELASほかミトコンドリア呼吸鎖異常症	企業治験 フェーズ1終了	Yungjin Pharm	韓国

コエンザイム Q10 (NCT00432744)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00432744">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00432744</a>	ミトコンドリア病	臨床試験(二重盲検法) フェーズ3終了	フロリダ大学	アメリカ カナダ
ニコチンアミドリボシド (NCT03432871)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03432871">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03432871</a>	ミトコンドリア病ほか	臨床試験	ケンブリッジ大学	イギリス
BMSC (NCT03011541)	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03011541">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03011541</a>	レーベル病(LHON)ほか 眼科領域	企業治験 フェーズ2	MD Stem Cells	アメリカ
他家造血幹細胞移植 (NCT02427178)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02427178">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02427178</a>	MNGIE	臨床試験 フェーズ1	コロンビア大学	アメリカ
CD34+ Cells (NCT03384420)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03384420">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03384420</a>	非遺伝性ミトコンドリア病 ピアソン病	臨床試験 フェーズ1	Sheba Medical Center	イスラエル
Icatibant (HOE-140) (NCT03177798)	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03177798">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03177798</a>	慢性腎疾患を伴う ミトコンドリア機能障害	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	ヴァンダービルト大学	アメリカ

一般社団法人こいのぼり調べ

※試験終了から2年が経過しているもの、または2年間情報が更新されていないものについては、順次リストから削除しています。

\*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。

～参考～

臨床研究：人を対象として行われる医学研究です。

臨床試験：臨床研究のうち薬剤、治療法、診断法、予防法などの安全性と有効性の評価を目的としたものです。

治験：臨床試験のうち、新しい薬や医療機器の製造販売の承認を国に得るために行われるもので、医師が行う医師主導治験と、製薬企業が行う企業治験があります。

フェーズ1：少人数の健康成人で、ごく少量から治験薬の投与量を増やしていき、安全性について調べます。

フェーズ2：治験薬が効果を示すと予想される、比較的少人数の患者さんで、有効性、安全性、使い方(投与量・投与方法など)を調べます。

フェーズ3：多数の患者さんで、有効性、安全性、使用方を確認します。