

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)	http://www.santhera.com/	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr.cgi?function=history&action=list&type=summary&recptno=R000012615&language=J	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)	http://www.clinicaltrials.jp/user/search/directCteDetail.jsp?clinicalTrialId=12519	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000033379	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000010995	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020843	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029753	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000029752	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	http://www.med.osaka-u.ac.jp/pub/ped/www/study/st09_brain_3_kenkyu_02.html	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)	https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00023	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)	https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00025			
SPP-004 (5-ALA/Fe) (JMA-IIA00214)	https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACTR/App/JMACTRE02_04/JMACTRE02_04.aspx?kbn=3&segno=51	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000020747	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)	https://upload.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000035434	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1	神戸大学

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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02352896	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02104336	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/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
Omaveloxolone (RTA408) (NCT02255422)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02255422	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02473445	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03323749	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02693119	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02909400	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/results?term=GS010&Search=Search	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02398201	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/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 (NCT03153293)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03153293	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02500628	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02809170	ミトコンドリア病	臨床試験	Tawam Hospital	UAE
Dapagliflozin (NCT01439854)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01439854	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01379625	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02774005	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00887562	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03056209	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00432744	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03432871	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)	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03011541	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02427178	MNGIE	臨床試験 フェーズ1	コロンビア大学	アメリカ
CD34+ Cells (NCT03384420)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03384420	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)	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03177798	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。