

ミトコンドリア病の承認治療薬(海外)

2017年1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)	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)

2017年1月現在

治験薬#	対象疾患	開発段階	組織・施設
Vatiquinone (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
Vatiquinone (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 (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 フェーズ2	川崎医科大学神経内科
ベザフィブラート (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
ピルビン酸ナトリウム (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
ピルビン酸ナトリウム (JMA-IIA00093)	ミトコンドリア病	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	久留米大学医学部小児科
L-アルギニン (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)			
SPP-004 (5-ALA/Fe) (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)

2017年1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)	リー脳症	企業治験(二重盲検法) フェーズ2終了	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vatiquinone (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
Vatiquinone (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
Omaveloxolone (RTA408) (NCT02255422)	ミトコンドリア筋症	企業治験(二重盲検法) 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	Horizon Pharma plc (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	Horizon Pharma plc (Raptor Pharmaceuticals Inc)	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (NCT02805790)	ミトコンドリア筋症	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (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 (2016-001696-79)	MELAS MIDDほか	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	Khondrion BV	オランダ
GS010 (rAAV2/2-ND4) (NCT02064569) (NCT02652767) (NCT02652780)	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)	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
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終了	Woodinville Psychiatric Associates	アメリカ
L-アルギニン (NCT01603446)	MELAS	臨床試験 フェーズ2終了	The Hospital for Sick Children	カナダ
L-アルギニン、シトルリン (NCT02809170)	ミトコンドリア病	臨床試験	Tawam Hospital	UAE
Dapagliflozin (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)	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
Idebenone (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
BMSC (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 UAE

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。