

ミトコンドリア病の承認治療薬(海外)

2019年1月現在

薬剤名	対象疾患	承認地域	会社名
Raxone(イデベン)	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)

2019年1月現在

治験薬*	対象疾患	開発段階	実施状況	組織・施設
Vitiquinone (EPI-743) (UMIN00010783)	MELAS	臨床試験 フェーズ1	一般募集中 (要確認)	独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター
Vitiquinone (EPI-743) (JapicCTI-132349) (JapicCTI-142628)	リー脳症	企業治験 フェーズ3	募集終了 実施中	大日本住友製薬
タウリン (UMIN00029376)	MELAS	臨床試験 フェーズ3	限定募集中	川崎医科大学神経内科
タウリン (UMIN00009358)	MERRF	臨床試験 フェーズ2	試験終了	川崎医科大学神経内科
ベザフィブラート (UMIN00017984)	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	一般募集中 (要確認)	島根大学医学部附属病院
ビルビン酸ナトリウム (UMIN00025880)	リー脳症	臨床試験 フェーズ3	開始前	久留米大学医学部小児科
ビルビン酸ナトリウム (UMIN00025874)	MELAS/MELA	臨床試験 フェーズ3	募集終了 実施中	久留米大学医学部小児科
ビルビン酸ナトリウム	ミトコンドリア病	自主臨床研究	一般募集中 (要確認)	大阪大学病院小児科
L-アルギニン (JMA-1A00023)	MELAS	医師主導治験 フェーズ3	試験終了	久留米大学医学部小児科
(JMA-1A00025)	MELAS	医師主導治験 フェーズ3	試験終了	久留米大学医学部小児科
SPP-004 (S-ALA/Fe) (JMA-1A00358)	ミトコンドリア病	医師主導治験(二重 盲検法) フェーズ3	一般募集中	埼玉医科大学病院
イデベン (UMIN00017939)	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1/2	募集終了 実施中	兵庫医科大学
皮膚電気刺激 (UMIN00031057)	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1	一般募集中	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)

2019年1月現在

治験薬*	対象疾患	開発段階	実施状況	組織・施設	実施地域
Vitiquinone (EPI-743) (NCT02352896)	リー脳症	企業治験 フェーズ2	募集終了 実施中	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vitiquinone (EPI-743) (NCT0104336)	ピアソン病	企業治験 フェーズ2	試験中止	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vitiquinone (EPI-743) (NCT01370447)	ミトコンドリア病	企業治験 フェーズ2	募集終了 実施中	Edison Pharmaceuticals Inc	アメリカ
Vitiquinone (EPI-743) (NCT01642056)	ミトコンドリア異常症ほか	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	募集終了 実施中	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	試験終了	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	試験中止	Horizon Pharma Inc (Raptor Pharmaceuticals Inc)	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (NCT03323749)	ミトコンドリア筋症	企業治験(二重盲検法) フェーズ3	一般募集中	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ カナダ 欧州各国
Elamipretide (MTP-131) (NCT02693119)	レーベル病(LHON)	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	募集終了 実施中	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ
Elamipretide (MTP-131) (NCT02805790)	ミトコンドリア病	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	試験終了	Stealth BioTherapeutics Inc	アメリカ
KH176 (NCT02909400)	MELAS MIDDほか	企業治験(二重盲検法) フェーズ2	試験終了	Khondrion BV	オランダ
ラハマイン(ABI-009) (NCT03747328)	リー脳症	企業治験 フェーズ2	開始前	Aadi, LLC	アメリカ
GS010 (rAAV2/2-ND4) (NCT02064569) (NCT02652767) (NCT02652780) (NCT02939524) (NCT03406104)	レーベル病(LHON)	企業治験(二重盲検法) フェーズ1/2/3	一般募集中 (NCT03293524) 限定募集中 (NCT03406104)	GenSight Biologics	フランス アメリカ ドイツ イタリア イギリス
GS010 (rAAV2/2-ND4) (NCT03672968)	レーベル病(LHON)	拡大アクセス (コンパッションネート使用)	参加可能	GenSight Biologics	アメリカ
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	試験終了	Newcastle-upon-Tyne Hospitals NHS Trust	イギリス
Bezafibrate(ベザフィブラート) (2012-002892-34)	ミトコンドリア筋症	臨床試験 フェーズ2	実施中	Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde	オーストリア
sAAV2-PIND4v2 (NCT02161380)	レーベル病(LHON)	臨床試験 フェーズ1	一般募集中	マイアミ大学	アメリカ
rAAV2-ND4 (NCT03428178)	レーベル病(LHON)	臨床試験	一般募集中	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	試験終了	Woodville Psychiatric Associates	アメリカ
L-アルギニン、シトルリン (NCT02809170)	ミトコンドリア病	臨床試験	募集終了 実施中	Tawam Hospital	UAE
Dapsigliflozin (NCT01439854)	多発ミトコンドリア機能障害 重症様群(難疾患)	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	試験終了	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	試験終了	オレゴン健康科学大学	アメリカ
Triheptanoin (NCT01461304)	ミトコンドリア脂肪酸代謝 異常症	拡大アクセス (コンパッションネート使用)	参加可能	ピッツバーグ大学	アメリカ
Raxone(イデベン) (NCT02714005)	レーベル病(LHON)	企業治験 フェーズ4	一般募集中	Santhera Pharmaceuticals	アメリカほか
イデベン (NCT00887562)	MELAS	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	試験終了	コロンビア大学	アメリカ
KL1333 (NCT03056209)	MELASほかミトコンドリア 呼吸器異常症	企業治験 フェーズ1	試験終了	Yungin Pharm	韓国
コエンザイム Q10 (NCT00493744)	ミトコンドリア病	臨床試験(二重盲検法) フェーズ3	試験終了	フロリダ大学	アメリカ カナダ
ニコチンアミドリンホド (NCT03432871)	ミトコンドリア病ほか	臨床試験	一般募集中	ケンブリッジ大学	イギリス
レスベラトロール (NCT03728777)	ミトコンドリア筋症ほか	臨床試験(二重盲検法)	一般募集中	Righshospitalet	デンマーク
BMSC (NCT03011541)	レーベル病(LHON)ほか 眼科腫瘍	企業治験	一般募集中	MD Stem Cells	アメリカ UAE
極寒凍結細胞移植 (NCT02427178)	MNGIE	臨床試験 フェーズ1	一般募集中 (要確認)	コロンビア大学	アメリカ
OD34+ Cells (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	開始前	Sheba Medical Center	イスラエル
Icatibant (HOE-140) (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	募集終了 実施中	ヴァンダービルト大学	アメリカ
Carbaglu (NCT01599286)	プロピオン酸血症 カルパモイルリン酸合成 酵素1欠損症ほか 高アモニア血症	臨床試験(二重盲検法) フェーズ2	一般募集中 (要確認)	Children's Research Institute	アメリカ
ジクロロ酢酸 (NCT02616484)	ビルビン酸脱水素酵素 複合体欠損症	臨床試験(二重盲検法) フェーズ3	一般募集中	フロリダ大学	アメリカ
フェルリン酸ナトリウム (NCT03734283)	ビルビン酸脱水素酵素 複合体欠損症	企業治験 フェーズ1/2	一般募集中	Fondazione Telethon	イタリア

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。