



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結しているエフ・ホフマン・ラ・ロシュ社が10月3日（パベル発）に発表したプレスリリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることをご留意ください。
原文は、<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2018-10-03.htm> をご覧ください。

2018年10月16日

ロシュ社は脊髄性筋萎縮症における risdiplam の新たな成績を 世界筋学会にて発表

- ・ FIREFISH の用量設定パートの中間成績から、1型 SMA の乳児において、補助なし座位獲得を含む運動マイルストーンを達成することが示されました
- ・ SUNFISH の用量設定パートの中間成績から、2型および3型 SMA において運動機能の改善が示されました
- ・ 試験中止につながる薬剤関連の安全性の所見は、現時点で確認されませんでした

ロシュ社は3日、脊髄性筋萎縮症（SMA : spinal muscular atrophy）の治療薬として開発中の risdiplam（RG7916）について、主要な試験である FIREFISH および SUNFISH の用量設定パートの中間成績を発表しました。1型 SMA を対象とした FIREFISH 試験において、14名の乳児のうち、8カ月の投与後に支えなしで安定な座位をとることができた3名（21%）を含む6名（43%）が、補助の有無に関わらず座位をとることができるようになりました。さらに、4名（29%）が寝返り、7名（50%）が足蹴り、および6名（43%）が首が座ることができるようになりました。2型および3型 SMA を対象とした SUNFISH 試験において、12カ月の投与後の30名中の70%で運動機能の改善が認められました。

これらの成績は、アルゼンチン・メンドーサで開催された第23回世界筋学会年次総会で発表されました。ロシュ社は、経口の SMN2 スプライシング修飾剤である risdiplam について、SMA 財団および PTC セラピューティクスとの協力のもと、臨床試験を実施しています。

Risdiplam について

Risdiplam は、全身に分布し、中枢神経系および全身の SMN（survival motor neuron）タンパクレベルを増加させるように創製された経口投与可能な臨床開発中の薬剤です。Risdiplam は、運動神経および筋肉機能をよりよくサポートするため、SMN2 遺伝子がより機能的な SMN タンパクを産生するように設計されています。

ロシュ社は、SMA 財団および PTC セラピューティクスとの協力のもと、risdiplam の臨床試験を実施しています。現在、risdiplam では SMA の患者さんを対象とした以下の3つの多施設共同臨床試験が行われています。

- ・ FIREFISH 試験：生後1～7カ月の1型 SMA 乳児を対象としたオープンラベル試験
- ・ SUNFISH 試験：2～25歳の小児および若年成人の2型および3型 SMA を対象とした二重盲検プラセボコントロール試験
- ・ JEWELFISH 試験：臨床試験の一部で SMN を標的とした治療を受けたことのある12～60歳の2型または3型 SMA 患者さんを対象としたオープンラベル探索試験

News Summary

発症前の SMA を対象とした RAINBOWFISH 試験が、2019 年初頭に開始される予定です。

国内からも、第 II 相国際共同試験（FIREFISH、SUNFISH）に参加しています。

以上