

(1/1)

臨床開発段階にあるRNA標的的低分子医薬 (2024年8月30日更新)

開発企業	商品名/一般名 (開発コード)	作用機序	標的RNA	対象疾患	開発段階
PTC Therapeutics	Translarna/Ataluren (PTC124)	rRNA制御 (リードスルー)	Dystrophin rRNA, eRF1	デュシェンヌ型 筋ジストロフィー	承認(EU) 2014.8 P3(US/JP)
	Evrysdi/Risdiplam (RG7916)	スプライシング制御	Survival motor neuron 2 (SMN2) pre-mRNA	脊髄性筋萎縮症	承認(US) 2020.8 承認(EU) 2021.3 承認(JP) 2021.6
	PTC518	スプライシング制御	Huntingtin (HTT) pre-mRNA	ハンチントン病	P2
Novartis	Branaplam (LMI070)	スプライシング制御	Survival motor neuron 2 (SMN2) pre-mRNA	脊髄性筋萎縮症	P2(中止)
			Huntingtin (HTT) pre-mRNA	ハンチントン病	P2
Skyhawk Therapeutics	SKY-0515	スプライシング制御	Huntingtin (HTT) pre-mRNA	ハンチントン病	P1
	SKY-1214	スプライシング制御	FANCL pre-mRNA	多発性骨髄腫 非ホジキンリンパ腫	IND
Rgenta Therapeutics	RGT-61159	スプライシング制御	c-MYB pre-mRNA	腺様嚢胞がん 大腸がん	IND