

<参考日本語訳>

これは原文の理解を補助するための参考和訳として提供するものです。この文書の記述・解釈が原文と相違があった場合には、原文の記述・解釈が優先するものとします。

X 連鎖性ミオチューブラーミオパチー (XLMTM) 患者を対象とした AT132 の臨床試験 (ASPIRO 試験) について Audentes 社からの最新報告

2020年8月20日、アステラス製薬の子会社である Audentes Therapeutics 社は、XLMTM 患者を対象とした AT132 の ASPIRO 臨床試験において、3人目の患者さんがお亡くなりになったことをお知らせします。XLMTM は、重度の筋力低下と呼吸障害により若くして死に至る、重篤で致死的な神経筋疾患です。予備的な調査結果では、直接の死因は消化管出血だったことが示されています。

この患者さんは、AT132 の 3×10^{14} vg/kg を投与された3~4週間後に肝機能障害の兆候を示した3名の患者さんの一人です。3名の患者さんは、肝胆道系疾患の既往歴を有していました。

ASPIRO 試験に登録された過半数の患者さんが肝胆道系疾患の既往歴を有することがこれまでにわかっていますが、 1×10^{14} vg/kg を投与された患者さんおよび 3×10^{14} vg/kg を投与されたその他の患者さんにおいては、同様の肝機能障害の進行は認められていません。

ASPIRO 試験では、これまで23名に AT132 が投与されており、そのうち6名に 1×10^{14} vg/kg が、17名に 3×10^{14} vg/kg が投与されています。現在、ASPIRO 試験は差し止め (clinical hold) 中ですが、同様の肝機能障害がみられる患者さんは確認されていません。Audentes 社は、ASPIRO 試験の治験担当医師および ASPIRO Data Monitoring Committee (DMC: 独立データモニタリング委員会) と共に、試験に参加されているすべての患者さんを引き続き注意深くモニタリングしています。また、Audentes 社では、3名の患者さんで、なぜ肝機能障害が進行したのかの調査も行っております。

Audentes 社は、ご遺族にお悔やみを申し上げますとともに、引き続き、XLMTM と共に生きる患者さんとそのご家族のために AT132 を開発することにコミットしてまいります。今後も、データ収集および薬事関連の進捗に基づき、ASPIRO 試験に関するさらなる情報を適宜提供してまいります。