

	DMD/BMDを対象とする臨床開発	候補薬剤	国/地域	Phase	
特定の遺伝子変異を対象	リードスルー	アルベカシン, NPC-14	日本	II	
		Gentamicin	米	I	
		<b>Atarulen (Translaruna®)</b>	<b>国際共同 (米・欧)</b>	<b>EMA・条件付承認</b>	
	エクソン51スキップ	<b>Eteplirsen (EXONDYS 51®), PMO</b>	<b>国際共同 (米・欧)</b>	<b>FDA・迅速承認</b>	
	エクソン53スキップ	SRP-4053, PMO	国際共同 (欧)	I/II	
	エクソン45スキップ	NS-065/NCNP-01, PMO	日本	I/II	
特定の遺伝子変異に依存しない	エクソン44スキップ	SRP-4045, PMO	米	I/II	
	エクソン44スキップ	DS-5141b: Exon45, ENA	日本	I/IIA	
	ユートロフィン発現調節	SMT C1000 (Eztromid)	英	II	
	ミトコンドリア系賦活	Idebenone (Raxone®)	国際共同 (米・欧)	III 終了	
	筋萎縮抑制	抗マイオスタチン抗体	国際共同 (日本含)	III	
	筋血流改善	Tadalafil (Cialis®)	国際共同 (日本含)	III 終了	
	抗炎症・抗線維化	Givinostat (HDAC Inhibitor)	国際共同 (米・カナダ・欧)	III	
	免疫調節 (NF-κB阻害)	Edasalonexent	米	I/II	
	アルドステロン拮抗薬	Eplerenone	米	III	
	ステロイド受容体アゴニスト	Vamorolone	米	II	
	プロスタグランジンD2合成阻害	TAS-205	日本	I	
	遺伝子治療・AAVベクター		Follistatin	米	I/II
			Mini-dystrophin	米	I
			Allogeneic Cardiosphere-Derived Cells (CAP-1002)	米	I/II
		幹細胞移植	BM stem cell	インド	I/II
		BM stem cell	インド	I	
	Umbilical cord MSC	トルコ	I/II		

その他の筋ジストロフィーを対象とする臨床開発

対象疾患	候補薬剤	国/地域	Phase
筋強直性ジストロフィー	IONIS-DMPK2.5Rx	米	I/IIa
	ソマトカイン	米	II
	メキシレチン	米	II
	心理介入+有酸素運動	欧	臨床試験
	メチルフェニデート	カナダ	II
先天性筋ジストロフィー	Omigapil	米	I
Collagen VI & LAMA2			
先天性ミオパチー RYR-RM	N-acetylcysteine NAC	米	II
dysferlinopathy・三好型/LGMD2B	Bortezomib	スイス	I
ミスセンス変異(Arg555Trp)			
顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー	Resolaris, ATYR1940	米・欧	I/II
	ACE-083, anti-myostatin agent	米	II
	幹細胞移植	イラン	I
GNEミオパチー	SA-ER	米・欧/イスラエル	III
		日本	II/III
神経筋疾患	<b>下肢装着型補助ロボット HAL-HN01</b>	<b>日本</b>	<b>承認</b>