低流速型脈管奇形の患者さん及びそのご家族へ

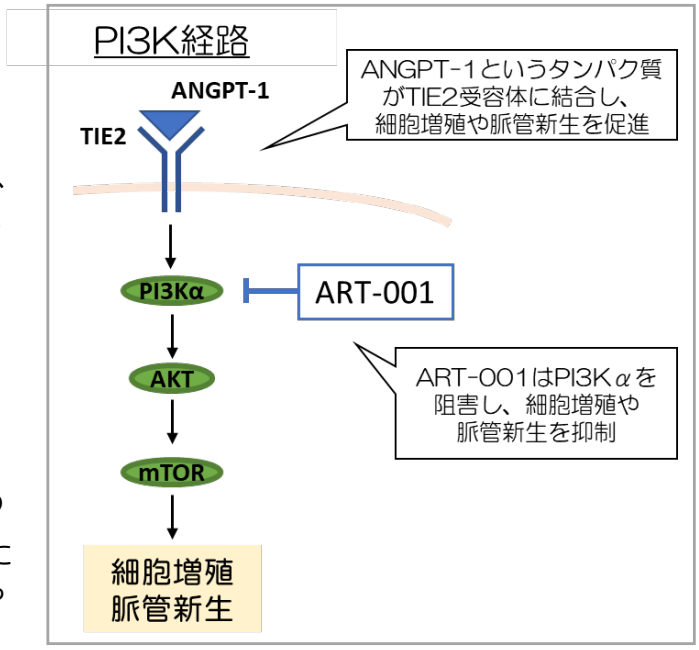
ARTham Therapeutics（アーサム セラピューティクス）株式会社では低流速型脈管奇形（静脈奇形、リンパ管奇形（リンパ管腫）、クリッペル・トレノネー症候群）を治療するための新しいメカニズムの薬（ART-001）を開発しています。2021年8月より患者さんを対象とした第2相臨床試験（治験）を開始いたしました。

＜低流速型脈管奇形について＞

静脈奇形、リンパ管奇形、毛細血管奇形を合わせて低流速型脈管奇形と呼ばれています（血管腫・血管奇形・リンパ管奇形 診療ガイドライン2017）。また、クリッペル・トレノネー症候群は、主には足の骨軟部組織の過成長と低流速の脈管奇形を伴う病気です。ART-001の治験では、静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群の患者さんを対象としています。

＜ART-001について＞

ART-001はPI3Kαという細胞内にある酵素の作用を阻害する薬です。かつて武田薬品が別の病気を対象に開発をしていましたが、現在は、アーサム セラピューティクスが低流速型脈管奇形を対象に開発を進めています。 PI3Kα は、細胞の代謝や増殖、新しい脈管の形成等に大切な役割を果たしていることがわかっています。低流速型脈管奇形の患者さんの多くで、その病変の細胞にPI3Kαの作用を強力にする遺伝子変異が見つかっています。 ART-001は、その活性化したPI3Kαの作用を阻害するため、細胞の増殖や脈管の新生を抑制します。



＜アーサム セラピューティクスについて＞

アーサム セラピューティクスは、未だ十分な治療法が確立されていない病気を有する患者さんへ真に有効な治療薬をお届けすることを目的とした創薬バイオベンチャーです。2018年に武田薬品出身の研究者たちが中心となって、横浜市に創業しました。私たちは、革新的な医薬品の研究開発を通して、患者さんやそのご家族のための価値を創造して参ります。
https://www.arthamther.com/

＜お問い合わせ先＞ question@asrid.org

本治験に関するお問い合わせ窓口は、希少・難治性疾患領域の中間機関であるNPO法人ASrid（https://asrid.org/）が担当します。そのため、個別のお問い合わせ詳細や、お問合せされた方の個人情報は、本人同意がない限り当社には開示されません。

ARTham Therapeutics

ART-001は低流速脈管奇形に対するお薬の効果を確認する第2相臨床試験（治験）実施中です

＜創薬の流れ＞

基礎研究

非臨床試験
病気に効きそうな物質「薬の候補」を、実験室で調べます。また、薬の候補を色々な動物に使って、生き物にどのように作用するのかを調べます

第1相
主に少人数の健康成人の方を対象として、治験薬の安全性、体内に吸収される量や速さ、尿や便から体外へ出る時間などを調べます

第2相
少人数の患者さんを対象として、治験薬の効果と安全性、適切な使用量などを調べます

第3相
多数の患者さんに治験薬を使ってもらい、効果と安全性を最終的に確かめます

申請・審査

承認

発売

Q1: ART-001の開発はどこまで進んでいるの？

A1: 薬の開発では、動物などを用いて効果や安全性を評価する基礎研究・非臨床試験を実施した後、人で効果や安全性を確かめる治験（第1相～第3相）を実施します。ART-001の第1相試験は、国内で健康成人男性を対象に2020年に実施されました。現在、患者さんを対象として第2相試験を実施中です。

Q2:第2相試験はどんな治験なの？

A2: 治験では、ART-001のドライシロップ剤を1日1回、6か月間患者さんに服用いただきます。この時、服用前と服用を開始して6か月後の病変の体積や痛み、身体機能等の変化を測定します。

Q3: 他にどんなお薬の開発が進んでいるの？

A3: ART-001（PI3Kα阻害剤）の他には、シロリムス（mTOR阻害剤、第3相試験）の開発が日本で進められています。世界では他のPI3Kα阻害剤、シロリムスに加えて、メカニズムの異なるいくつかのお薬の開発が進められています（AKT阻害剤など）。

Q4: ART-001の治験の情報はどこに書いてあるの？

A4: jRCT（臨床研究実施計画・研究概要公開システム）に現在実施中の治験の情報が公開されています。
https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2071210027

ARTham Therapeutics