

Subject: ??????

Topic: ?????? - ?????

è£~é!°æ°áœ±éœŠç—† - è—¥ç%œ©é€²á±•

ä½œè€...: telly

Date: 2012á¹10æœ^05æ—¥ 21:04:59

ä¼†è±†i¼š: https://www.mda.org.tw/modules/newbb/viewtopic.php?post_id=600

????????

??DMD /?????

??

????/????

????????DMD????????????????????????????????????3500????DMD????????????????DMD???
??3?
??10????????????????????12????????????????????????
??30????????DMD????????????
????????DMD????????????????????

Sarepta????????????DMD?

Eteplirsen????AVI-4658????DMD????????????????????PMO????????????????SSO????????
????????????????251????????51?eteplirsen????????-?????-????????????????1b?/

2?????eteplirsen

2010?10??2011?Sarepta????????
????????????NDA-????????????????????????????????GMP????????????2????????eteplirsen??
?

Sarepta????????SSO????????????DMD????AVI-5038????????PPMO????????50?
AVI-5038????????

????/????

Eteplirsen

Eteplirsen????????DMD??1b /

2??

?????Eteplirsen??PMO????????????????????????51????51????eteplirsen???????????? -
???????? -

????????mRNA??DMD????????

AVI-5038?

????????DMD????AVI-5038????????????????????????PPMO????????50?AVI-5038????
??????

????????51 and 50????????????

?????? ???? ?? ???????

51 AVI-4658 ??????1b / 2????

?????????? 45-50?47-50?48-50?49-50?50?52

50 AVI-5038 ????????? 51?51-53?51-55

*????????????????

??DMD????85????????????????????????????????dystrophin????????????????????
????????

Eteplirsen

????1b?/ 2?????eteplirsen????????????1b?/

2?????????????????eteplirsen????????????????????????????????19????DMD

5?15????????????????????????51????6????0.5?20??/????????12?????????ete-
plirsen????????????????14????????????26????????eteplirsen?2021á¹10æœ^22æ—¥ 21:06:27 - 1

?????eteplirsen 1b?/

2????????2009?12????????2010?6????????2010?10????????????????

????????????????

44 10-43?19-43?30-43?35-43?36-43?40-43?42-43?45?45-54
8 3-7?4-7?5-7?6-7
55 47-54?48-54?49-54?50-54?52-54?54?56?56-62
7 2-6?8-11?8-17?8-43?8-45
52 53?53-55?53-57?53-59?53-60
17 12-16?18?18-20?18-22?18-25?18-27?18-29?18-33?18-36?18-38?18-41?18-44
??
??
- ??? -
??
??
???? -??DMD????????????????
Charley??? -????????DMD???
ClinicalTrials.gov -??
CureDuchenne -????????????????????DMD????????
???????????? -????????????
???????????? -????????????Duchenne????????
???????? -????????????????????????
???????? -????????????????????????????????DMD????
- ??? -