

什麼是 Viltolarsen ？

Viltolarsen 是一種試驗性藥物，用於治療患有杜興氏肌肉營養不良症（Duchenne）的男孩，並以每週靜脈輸注（IV）1 小時的方式用藥。此藥物旨在幫助身體製造對肌肉發育相當重要的抗肌肉萎縮蛋白。

通常情況下試驗性藥物只可用於探索性研究，因為此類藥物尚未獲准用作特定病症的療法。2020 年 8 月，美國食品藥品監督管理局（US Food and Drug Administration, FDA）為 Viltolarsen（也稱為 Viltepso）授予了「加速批准」，用於治療符合外顯子 53 跳躍條件的 Duchenne。FDA 的此類批准使得 Duchenne 患者在一項進行中的確認性臨床試驗期間可以更早獲得 Viltolarsen。

Viltolarsen 也在日本獲得了有條件的批准。「有條件的提早批准制度」是為了將在治療嚴重疾病方面非常有用和有效的藥物盡早投入實際使用。授予此類批准的條件是進行上市後調查或其他研究，以再次確認 Viltolarsen 的安全性和療效。獲考慮而得授此類批准的藥物必須符合以下條件：

1. 用於治療嚴重疾病
2. 醫療護理成效顯著改善
3. 確認性臨床試驗難以進行，或可行性不足
4. 透過確認性臨床試驗以外的臨床試驗，證實有一定程度的療效及安全性

Viltolarsen 如何起效用？

Duchenne 患者在其有助於製造抗肌肉萎縮蛋白的基因代碼上出現突變（或錯誤）。如果缺乏功能正常的抗肌肉萎縮蛋白，肌肉就會發育不良。Viltolarsen 稱為「外顯子跳躍劑」，旨在「跳過」基因代碼不正確的節段，使身體仍可製造出功能正常的抗肌肉萎縮蛋白。

有其他人使用過 Viltolarsen 嗎？

作為在日本、加拿大和美國進行的臨床探索性研究的一部分，Viltolarsen 已在患有符合外顯子 53 跳躍條件之 42 名 Duchenne 男孩身上做過研究，其結果如下：

- 在接受了 Viltolarsen 的研究參與者中，觀察到抗肌肉萎縮蛋白增加。
- 接受了 Viltolarsen 的研究參與者在特定的肌力和功能測試結果上證明有所改善。
- 最常見的副作用是上呼吸道感染、咳嗽、發燒和注射部位反應。

我可以在何處瞭解 Viltolarsen 的更多資訊？

如要更詳細瞭解 Viltolarsen，請瀏覽下列網站：

- vilteps.com
- nspharma.com/pipeline

您也可以在 fda.gov* 上讀到有關 FDA 加速批准 viltolarsen 的新聞稿。