作用機序動画

ゾルゲンスマは、正常なSMN遺伝子を運動ニューロン等に導入し、SMNタンパク質の発現量を増加させることにより、脊髄運動ニューロンの変性・消失を防ぎ、神経及び筋肉の機能を高め、筋萎縮を防ぐことで、SMA患者の生命予後及び運動機能を改善させることが期待されます。
また、導入したSMN遺伝子は患者のゲノムDNAに組み込まれることなく、細胞の核内にエピソームとして留まり、運動ニューロンのような非分裂細胞に長期間安定して存在するように設計されています。

作用機序動画

適正使用ガイド
SMA診療相談可能施設 脊髄性筋萎縮症（SMA）の診療について相談可能な施設が検索可能です

Source URL: *https://www.loadtest.pro.novartis.com/products/zolgensma/moa*