

ミトコンドリア病に対する長期有効性を世界で初めて証明

9年間の長期治療成績をオンラインジャーナルに掲載

研究成果の概要

ミトコンドリア病は、ミトコンドリアのエネルギー産生系酵素の遺伝的異常によって引き起こされる疾患であり、特定難病に指定されている、世界でも未だ治療法が確立されていない難治性の遺伝性進行性疾患です。ミトコンドリア病には種々の病型がありますが、最も多いのは小児期に発作性の頭痛、嘔吐、痙攣等を起こして発症する「MELAS」と呼ばれる病型です。この脳卒中様発作症状に対して適切な治療がなされないと症状は遷延し、神経後遺症をきたしますが、未だに有効な治療法は世界でも存在しません。

久留米大学医学部小児科学講座の古賀靖敏教授は、世界に先駆けて MELAS に対するアルギニンの有効性を発見、報告しました (Neurology 2002, Neurology 2005, Neurology 2006)。その後、厚生労働科学研究効果的医療技術の確立推進臨床研究事業および日本医師会治験推進研究事業の研究採択を得て、2008年12月15日から① MELAS の脳卒中様発作急性期の症状治療を目的としたアルギニンの静注試験、②発作寛解期における脳卒中様発作の予防もしくは重症度軽減のための内服試験の2つの医師主導治験を開始しました。その結果、残念ながら、医師主導治験の結果のみでは、有効性を証明できませんでした。そのため、治験エントリー患者全員の9年間の経過観察を実施し、その結果を96名のMELASの自然歴コホート研究と比較検討しました。

研究では、アルギニンの静注試験及び内服試験にエントリーした患者延べ25名全員について、その後7年間（トータル9年間）の追跡調査を行いました。その結果、アルギニンは、有意にMELAS患者の寿命を延長する事を明らかにしました。また、死亡例はあるものの、寝たきりの患者は一人もいませんでした。このことから、脳卒中様発作時のアルギニンの静注および発作緩解期のアルギニンの内服を長期に行う事で、MELAS患者の寿命を延長でき、ADL（日常生活動作）を有意に改善する事が可能となります。

この研究成果は、Journal of Neurology (in press)のオンライン版に掲載されます。

研究成果のポイント

- 研究成果をもとに、ミトコンドリア脳卒中様発作の世界初の治療薬について、厚生労働省への承認申請を目指します。
- 古賀教授が治療法を開発し用法特許を取得済みです。
- 治療薬が承認されれば、MELAS患者の寿命を有意に伸ばす事が可能となります。また、病状が安定することにより、福利厚生に寄与し、ひいては医療資源の節約に貢献できると考えられます。
- この治療法は、専門医がいない地域でも受けることが可能となります。
- 本研究は、国策事業（厚生労働科学研究効果的医療技術の確立推進臨床研究事業、および日本医師会治験推進研究事業）で行った治験研究の集大成です。

発表予定

【雑誌名】 Journal of Neurology (in press) オンライン版

【タイトル】 Therapeutic regimen of L-arginine for MELAS: 9-year, prospective, multicenter, clinical research

【著者】 Yasutoshi Koga, et al

報道解禁日

グリニッジ標準時 9月29日 0:0

日本時間 テレビ、ラジオ、インターネットは9月28日 14:00以後

新聞報道は9月28日夕刊以後の掲載

お問い合わせ

久留米大学医学部小児科学講座（教授 古賀靖敏）

TEL/0942-31-7565

FAX/0942-38-1792

E-mail/yasukoga@med.kurume-u.ac.jp

備考（用語解説）

【MELAS】

mitochondrial myopathy, encephalopathy, lactic acidosis, and stroke-like episodes

小児期に発作性の頭痛、嘔吐、痙攣等の脳卒中様発作を起こすミトコンドリア病の病型の一つ。

【アルギニン】

天然に存在するアミノ酸の一つ。