

28年度

29年度

30年度

31年度以降

先駆け審査指定薬：NS-065/NCNP-01（ビルトラルセン）の開発
2017・18年度 2年連続AMED成果事例に選出

注目

希少難病のデュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象にした世界初のエクソン53スキップ薬・国産初の核酸医薬品の創製につながる

資料2-2
(別紙)

NS-065/NCNP-01の医師主導ファースト・イン・ヒューマン試験でエクソン53スキップ治療薬：NS-065/NCNP-01の効果と安全性を確認。

2015年10月、NS-065/NCNP-01が厚労省の先駆け審査指定制度対象の一つに指定。

2016年、日・米でNS-065/NCNP-01の国内第1/2相、米国第2相試験を開始。

NS-065/NCNP-01の医師主導ファースト・イン・ヒューマン試験結果を世界的権威誌のScience Translational Medicine誌に報告（AMEDとNCNPからプレスリリース）。
NS-065/NCNP-01の国内第I/II相臨床試験を日本新薬（株）による企業治験として完了。
尿中細胞を疾患筋に変換するダイレクト・リプログラミング法を確立し成果をScientific Reports誌に報告（AMEDとNCNPからプレスリリース）。今後、神経系疾患を対象にした核酸医薬品開発が加速する見込み。

医薬品条件付早期承認制度を活用し2019年9月に薬事承認申請予定。

NCNPのREMUDYを活用し、NS-065/NCNP-01の被験者全例調査による長期有効性調査を実施予定。

注目

本発見により、従来、診断不明、または身体表現性障害とされていた患者に対する免疫療法の実施が可能になり、神経障害の進行を防止することが可能になる

NCNPが新たに同定した神経難病“NINJA”

多発性硬化症（MS）の臨床診断基準（2010年版）を充たしながら、MRI画像検査で異常が認められない11症例を選択。
MRI拡散テンソル解析で大脳白質の広範な障害が証明できることを確認。抗体産生細胞の増加、血液浄化療法に対する反応性も確認され、新たな免疫性神経疾患であることが判明。

臨床的な特徴（英語記載）の頭文字を取って、本疾患をNINJA*と命名することを提唱。米国神経学会誌に論文が採択され、編集委員から好意的なコメントが寄せられた。

*Normal appearing Imaging-associated, Neuroimmunologically Justified, Autoimmune encephalomyelitis (NINJA)”

内外の医療機関から注目され、NCNP病院にNINJA疑い症例が紹介される機会が増えた。
大規模な全国調査も視野に入れて、診療を継続している。

28年度

29年度

30年度

31年度以降

豊かな情報環境によりマウスの健康寿命が延長することを発見

注目

情報環境を改善することで脳と心の病に迫る新しい健康・医療戦略「情報医学」の開拓に向けた生物学的エビデンス

- 熱帯雨林自然環境音には人間の耳に聞こえない超高周波成分が豊富に含まれるが、都市環境音にはほぼ皆無であることを発見。
- 都市空間に超高周波成分を補う〈情報環境エンリッチメント〉により、脳幹・視床下部などが活性化される現象（ハイパーソニック・エフェクト）を発見。

- 超高周波成分を環境に補う情報環境エンリッチメントの安全性と健康全般に対する影響を、マウスの寿命変化により検討。
- 自然環境音あり/なし環境でマウスを長期飼育し自然寿命を比較したところ、自然環境音を聞かせながら飼育すると平均寿命が最大約17%延長（平均寿命80歳に換算すると13歳の寿命延長に相当）。
- 最長寿命は変わらないが早死する個体が減少することから、健康寿命の延長が示唆。

情報環境と人間の脳の不整合が生み出すさまざまな脳と心の病に対する臨床応用に期待（現在、うつ病、認知症行動・心理症状、アルコール依存症に対する臨床研究実施中）

経頭蓋直流刺激(tDCS)を用いた統合失調症に対する治療効果を近赤外線スペクトロスコピー(NIRS)で予測できることを世界で初めて発見

注目

非侵襲的なニューロモデュレーションの精神疾患に対する効果を客観的な脳機能の指標で予測できる可能性

NIRSを治療効果の予測に用いることが、薬物療法を含めた医療資源の適正な使用を推進しうる

統合失調症患者における日常生活技能に対するtDCSの改善効果を、世界で初めて報告 (Narita et al. *Front Psychiatry* 2017)

統合失調症患者の精神病症状のtDCSによる改善効果の程度が、NIRSのデータにより予測できることを、世界で初めて報告 (Narita et al. *J Psychiatr Res* 2018; 科学新聞 2018.6.15)

国内外の研究者と協働し、統合失調症の認知機能へのtDCSの効果のメタ解析を実施 (投稿中)

統合失調症患者の日常生活技能に対するtDCSの改善効果に関する無作為化臨床試験を開始 (臨床研究法対応の研究プロトコールの承認を取得)

tDCSの認知症あるいはMCIに対する効果のメタ解析を実施 (Inagawa et al. *Clin EEG Neurosci* 2019)
統合失調症患者の日常生活技能に対するtDCSの改善効果に関する無作為化臨床試験の継続

無作為化臨床試験の継続
tDCSの保険収載を目指す

28年度

29年度

30年度

31年度以降



「臨界期」以降に脳の性分化が始まるという従来の説を覆し、
脳の性分化のための「臨界期」前のメカニズムを明らかにした。

脳の男性化・女性化の新しいメカニズムの発見

転写因子Ptf1aが「臨界期」前の視床下部で発現することを見出した。
Ptf1aのノックアウト(KO)マウスでは、脳の男性化・女性化がうまくいかないことを見出した。
Ptf1aのKOマウスのオスでは、「臨界期」に正常にテストステロンを受容していた。

従来は、「臨界期」に脳がテストステロンを受容するその後男性(オス)脳へと分化し、受容しないとその後女性脳へと分化すると考えられてきた。しかし、本研究により「臨界期」以前の段階で脳が「性分化準備状態」になる必要があること、そしてそのために視床下部でのPtf1a遺伝子の働きが必要となること、が明らかにされた。
つまり、脳の性分化の最初期のメカニズムを明らかにした。

Ptf1aが、臨界期前の視床下部において、いかに働き、いかにして脳を性分化準備状態へと導くのか、その分子機構を明らかにする。