

肝細胞増殖因子による筋萎縮性側索硬化症に対する 新規治療法の開発 <難治性疾患克服研究事業>

研究代表者 東北大学神経内科 青木 正志

研究の目的

進行性の運動ニューロンの選択的細胞死をきたす神経難病の筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対してわが国で発見された神経栄養因子である肝細胞増殖因子(Hepatocyte Growth Factor; HGF)を用いた治療法の臨床応用を行うことを目的にしています。

これまでの研究の歩み

私たちはALS治療法の開発を行うために世界に先駆けてALSラットの開発に成功し、このラットでHGF蛋白の効果を確認しました。その後、霊長類(サル)でも安全性の確認を行っています。

研究成果

HGF蛋白によるALS患者さんへの臨床試験(治験)を開始するためには国の基準に従って様々な試験をクリアする必要があります。

- 1) 国際基準によるカニクイザルに対する毒性試験(安全性試験)
- 2) 治験薬の製造およびその品質・安定性の確認
- 3) 詳細な治験実施計画書(プロトコル)作成を行いました。

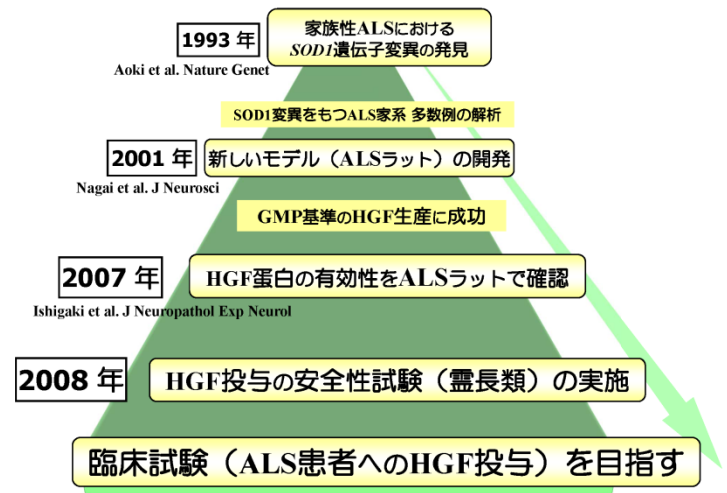
同時に治験実施機関である東北大学病院の治験実施体制強化も行っています。

今後の展望

平成23年春に治験届けの提出して審査を受け、治験(フェーズI)開始予定です。

(用語) 治験実施計画書: 治験を行う際に予め全ての計画を具体的に記載したものです。これを治験届として国(医薬品医療機器総合機構 PMDA)による審査を受け、さらに治験を実施する病院の治験審査委員会でも審査を受けます。

私ども研究グループのALS治療開発研究の歩み



ALS 動物モデル

安全性試験

蛋白生産
品質/安定性試験

体内動態試験

製剤開発
品質/安定性試験

PMDA 治験届

東北大学
治験審査委員会

ALS
第I相臨床試験

日本の研究成果を用いて大学病院主導で
日本発の医薬品開発を目指しています

研究期間 平成21年度から平成23年度