

エリスロマイシンによる筋強直性ジストロフィー治療

医学系研究科 神経内科学

助教 中森 雅之



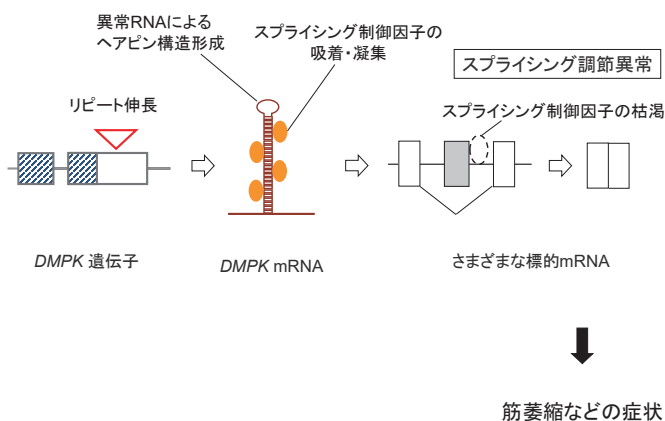
▶ 特徴・独自性

筋強直性ジストロフィー（MyD）は成人で最も多い筋ジストロフィーで、日本では1万人以上が罹患している。進行する全身の筋力低下のため、多くの方が寝たきり状態となる難病であるが、有効な治療法はなかった。

MyDではDMPK遺伝子の3塩基繰り返し配列が異常に伸長しており、そこから転写される異常なRNAがヘアピン構造をとり、スプライシングを制御する因子を凝集して、正常なスプライシング調節機構を阻害している。中森研究グループは、肺疾患などすでに他疾患で広く用いられているエリスロマイシンが、こうした異常RNAによるスプライシング制御因子の凝集を抑制する効果を有し、モデル動物においてMyDの病態を改善することを明らかにしている。

▶ 社会実装と実用化への可能性

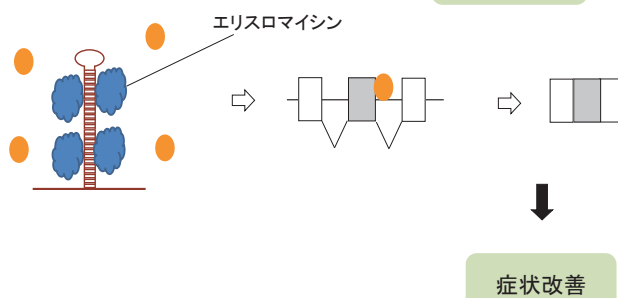
エリスロマイシンは、慢性閉塞性肺疾患（COPD）などで長期内服療法が行われており、その高い安全性が示されている。同グループでは、COPDで実際使用されている量に相当するエリスロマイシンをモデル動物へ経口投与することで、MyDでみられる症状の改善を認めている。このことは、治療法がなかった難病であるMyDに対し、①経口投与で有効、②安全性が高い、③安価な治療法が開発されたことを意味する。また既存の薬剤ですでに他疾患に使用されている量で効果を示すことから、通常の新薬のように長期にわたる安全性試験などの必要がなく、早期のMyDへの臨床応用が期待される。現在、大阪大学神経内科学が主体となって医師主導治験を開始している。



筋強直性ジストロフィー（MyD）の病態

エリスロマイシンによるスプライシング制御因子凝集抑制

スプライシング正常化



エリスロマイシンによるMyD病態改善への効果

特許 WO/2017/010382

論文 Annals of Clinical and Translational Neurology 2016; 3(1): 42-54

参考URL <http://www.med.osaka-u.ac.jp/pub/neurol/myweb6/group04.html>

キーワード 筋強直性ジストロフィー、スプライシング、低分子化合物