

# 神経難病をクスリで治す — 薬物開発の現況と近未来への展望

企画 本誌編集委員会

## 特集の意図

「難病」は治療法が確立していない疾患群であるが、神経変性疾患の領域では、それぞれの疾患の原因蛋白が明らかになったことと並行して、モノクローナル抗体、核酸医薬が次々と開発されている。新薬候補の治験も進行中であり、不治の病から治療ができる疾患へと期待が集まる。多発性硬化症や視神経脊髄炎スペクトラム障害など、神経免疫疾患に対する新薬開発もめざましいものがある。2020年の幕開けに、代表的な神経疾患の成立機序仮説と、それに対応する薬物の作用機序、これからの展望を把握しておきたい。

## 特集の構成

- 1. 筋萎縮性側索硬化症における創薬開発の現状と展望 (漆谷 真)** 筋萎縮性側索硬化症では原因遺伝子の同定や iPS 細胞を用いた病態解析が進展し、複数の治療薬候補の治験が進んでいる。病態解明の現状を踏まえ、肝細胞増殖因子、ペランパネル、メコバラミン、ロピニロール塩酸塩、ボスチニブなどの治療薬開発の展望をまとめる。
- 2. アルツハイマー病 — 臨床試験の現状と展望 (玉岡 晃)** アルツハイマー病治療薬における多数の臨床試験をまとめ、開発の現状を概観する。また、抗アミロイド療法、抗タウ療法などの治療薬開発のアプローチを解説し、早期の治療開始に向けた戦略についてバイオマーカーも含めて詳述する。さらに aducanumab が米国食品医薬品局に承認申請されることについても触れる。
- 3. パーキンソン病治療薬開発の現状と展望 (望月秀樹)** パーキンソン病治療薬の主流である L-DOPA をはじめ、ドパミンアゴニストや MAOB 阻害薬、免疫療法、核酸療法など新規治療薬の開発の現状と将来的な疾患修飾薬の展望について解説する。また、剤型をアコーディオン型にするなどの最新の工夫など、ウェアリングオフやジスキネジアといった治療上の問題についての対策についても触れる。
- 4. 多発性硬化症疾患修飾薬のいま (久富木原健二, 中原 仁)** 多発性硬化症 (MS) について国内外で承認されている疾患修飾薬についてまとめたいうえで、現在開発中の抗炎症薬、髄鞘再生薬、免疫療法について解説する。多様な病態を示す MS においては患者ごとの病態や社会背景に応じて適切な医療を施す必要があり、正確な疾患修飾薬の把握が求められる。
- 5. 視神経脊髄炎スペクトラム障害治療の展望 (中島一郎)** 視神経脊髄炎スペクトラム障害の治療薬として、現在日本では rituximab, eclizumab, tocilizumab/satralizumab, inebilizumab の4種類のモノクローナル抗体製剤が開発中である。これらの特徴および臨床試験の経緯を解説し、将来の治療法の展望を述べる。