

## 特集の意図

---

ドラッグ・リポジショニング (DR) の手法と 2004 年の薬事法改正により、アカデミアによる新薬開発が可能となった。現在の医師主導治験ではほとんどがこの手法を用いており、偶然に予想外のものを見出すことから始まり、近年では iPS 細胞や人工知能を用いた革新的な手法が登場している。神経疾患における DR の新時代とも言える現状を、創薬の最前線から報告する。

## 特集の構成

### 1. 序 (桑原 聡)

**2. ドラッグ・リポジショニングによる脳神経疾患治療薬開発の可能性 (齊藤 聡, 猪原匡史)** DR により、薬剤の開発期間の短縮や開発費用の削減が可能となる。ただ、投与量、評価項目の設定や製薬企業との調整など課題も多い。DR の全容について、著者らによる医師主導治験を例に挙げて概説する。

**3. ALS 治療薬候補としてのロピニロール塩酸塩 (高橋慎一, 他)** iPS 細胞を用いた中枢神経系の病態解析と、治療薬を迅速にスクリーニングする DR を組み合わせることで創薬に大きな恩恵をもたらすと期待される。ALS とその治療薬候補としてのロピニロール塩酸塩の医師主導治験をもとに解説する。

**4. パーキンソン病治療薬 — アマンタジン・ゾニサミド・ダブラフェニブ (岡本智子)** DR の先駆けとも言えるアマンタジン、ゾニサミドがパーキンソン病 (PD) 治療薬へ応用されるに至った経緯やその作用機序などを紹介する。さらに近年 PD 治療薬として期待されているダブラフェニブの現状にも言及する。

**5. アルツハイマー病のドラッグ・リポジショニング (猪原匡史, 齊藤 聡)** 老年期の患者においては薬剤の副作用出現率が高く、既存薬の DR はアルツハイマー病のような疾患における新たな治療法開発においても有用である。現在、抗アミロイド、抗タウといった視点から開発が進んでおり、その課題とともに今後を展望する。

**6. 新規な自閉スペクトラム症中核症状治療薬の開発 — 臨床試験, 脳画像解析, 遺伝子解析の統合的アプローチ (山末英典)** オキシトシン経鼻剤により、対人相互作用の指標や社会性に関連する脳領域が賦活する。自閉スペクトラム症の中核症状に対する有効性について、自験例を中心に解説する。

**7. 人工知能創薬とドラッグ・リポジショニング (田中 博)** 理論的方法やモデルに基づいて有効性や毒性を予測する非学習的アプローチとしての「ビッグデータ創薬」と、既承認薬を帰納的に学習し、与えられた疾患に対して有効な標的分子などを推論する学習的アプローチとしての「人工知能創薬」に分類し、体系的に解説する。