

SOD1 変異を有する筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治験の実施

<報道概要>

徳島大学病院脳神経内科、北海道大学病院脳神経内科、東邦大学医療センター大森病院脳神経内科、京都大学医学部附属病院脳神経内科は、SOD1（注 1）変異による筋萎縮性側索硬化症（ALS）成人患者さんに対する低分子干渉 RNA（ALN-SOD）の脊髄腔内投与による治験（ALN-SOD-ALS-2351）（注 2）を実施しています。

ALN-SOD は、米国に本社を置く Regeneron Pharmaceuticals, Inc. 及び Alnylam Pharmaceuticals, Inc. が開発した治験薬です。ALN-SOD は脊髄内に定期的に投与され、運動ニューロンの損傷の原因となる脳と脊髄の SOD1 を減らすように設計されています。

今回の治験では、安全性、忍容性及び生物学的効果を評価します。

◆ SOD1 変異による ALS について

ALS は進行性の神経変性疾患で、四肢の筋力低下、呼吸筋麻痺などを急速に來し、発症からの生存期間が 3～5 年と非常に短いのが特徴です。日本には 1 万人の患者さんがいるとされ、そのうち 5～10% が遺伝性であり、家族性 ALS とも呼ばれています。日本の家族性 ALS で最も多いのは SOD1 変異を有する ALS 患者さんで約 30% を占めます^{*1}。これは家族歴のない孤発性 ALS 患者も含めた全体の 1～2% に相当します。

◆ 本治験で対象となる被験者及び概要

- ・ 治験対象は、遺伝子検査で SOD1 変異を認めた成人 ALS 患者さんです。
- ・ 1 ヶ月間のプラセボ対照クロスオーバー段階においては、患者さんは 2:1 の割合で無作為に割り付けられ、脊髄内投与により 1 日目に ALN-SOD（実薬）、29 日目にプラセボ（薬効成分のないお薬）投与されるか、1 日目にプラセボを投与して 29 日目に ALN-SOD を投与されます。その後、オープンラベル段階（参加者全員が治療群を認識している段階です）に移行し、残りの試験期間は全ての患者さんが実薬の投与を受けます。
- ・ 本治験は日本で既に開始されており、治験の段階によっては参加枠が限られる場合があります。ただし、治験の進捗に合わせて追加枠が設定される予定です。

（注 1）SOD1（スーパーオキシドジスムターゼ）とは

スーパーオキシドラジカルを分解する抗酸化酵素として機能します。細胞の酸化ストレスを軽減します。

（注 2）ALN-SOD-ALS-2351 とは

SOD1 変異を有する ALS 患者さんに対する治験中の核酸医薬（ALS-SOD）の安全性、忍容性、薬物動態及び薬理学を評価する第 I 相治験で、国内外の複数の施設で実施されています。

施設 1: 徳島大学病院脳神経内科
Email: neuro@tokushima-u.ac.jp
URL: <https://neuro-tokushima.com/>

施設 2: 北海道大学病院脳神経内科
E-mail: pr_office@huhp.hokudai.ac.jp
URL: <https://www.huhp.hokudai.ac.jp/department/shinkeinaika/>

施設 3: 東邦大学医療センター大森病院脳神経内科
E-mail: neurology.toho@gmail.com
URL: <https://www.lab.toho-u.ac.jp/med/omori/neurology/>

施設 4: 京都大学医学部附属病院脳神経内科
Email: neuroofc@kuhp.kyoto-u.ac.jp
URL: <https://neurology.kuhp.kyoto-u.ac.jp/>

本治験に関する詳細につきましては、以下のサイトをご覧ください
jRCT 臨床研究等・治験計画情報
<https://jrct.mhlw.go.jp/latest-detail/jRCT2061240039>
ClinicalTrials.gov 治験計画情報（英語のページ）
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06351592>

◆ 参考文献

(*1) Suzuki N, Nishiyama A, Warita H, Aoki M. Genetics of amyotrophic lateral sclerosis: seeking therapeutic targets in the era of gene therapy. J Hum Genet. 2023 68(3):131-152. doi: 10.1038/s10038-022-01055-8.

お問い合わせ先

徳島大学病院脳神経内科

担当者 診療科長 和泉 唯信

電話番号 088-633-7207

メールアドレス neuro@tokushima-u.ac.jp