

# HoRC-MSA ニュースレター

## 多系統萎縮症に対する臨床試験・治験

多系統萎縮症(MSA)に対する新規治療の開発のため、国内外では様々な臨床試験・治験が実施されています。国内で実施されている臨床研究・治験については、HoRC-MSA ニュースレター Vol. 8(2018年12月)でご紹介をしました。今回は、海外で実施中のものを含め国内外の臨床試験・治験をご紹介します<sup>1)</sup>。

### 1. コエンザイムQ10

東京大学を中心にコエンザイムQ10の治験が実施されています。家族性MSAにCOQ2変異が見いだされたことをきっかけとして、コエンザイムQ10がMSAの病態機序の緩和に有効性である可能性が示されています。治験では120例の投与が終了し結果解析中、と今年の日本神経学会で報告されています。

### 2. 間葉系幹細胞自家移植

間葉系幹細胞を髄腔内に投与した臨床試験がアメリカで実施され、2019年に結果が報告されています<sup>2)</sup>。この治療は忍容性が良好ですが、高用量での痛みを伴うことが報告され、過去のデータとの比較で増量するほど有効とする結果が出ています。

### 3. アルファ・シヌクレインを標的とした治療

PD01A及びPD03Aというアルファシヌクレイン(MSA)の脳内に蓄積する物質を標的とするワクチン療法の第I相臨床試験が2020年に報告されています<sup>3)</sup>。30例のMSA患者に投与され、安全性と忍容性が良好であったと報告されています。

### 4. その他の薬剤

その他の薬剤として、セロトニン再取り込み阻害薬であるフルオキシセチンをMSAに対する対症療法としての有効性と安全性を評価した臨床試験(MSA-FLUO試験)も2021年に報告されています<sup>4)</sup>。残念ながら、症状評価スコアの合計で、プラセボに対するフルオキシセチンの優位性を示すことができませんでした。

### 5. 最近の報告

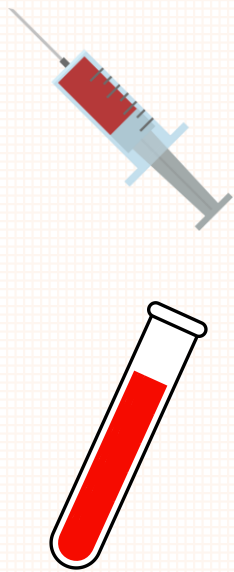
最近、Verdiperstatというミエロペルオキシダーゼ酵素阻害剤の有効性を検討した第III相臨床試験(M-STAR試験)の結果が2021年9月に報告されています<sup>5)</sup>。これは二重盲検並行群間試験で、合計250人のMSA患者にVerdiperstat 300mg、600mgまたはプラセボが投与されました。結果としてVerdiperstatとプラセボの症状評価スコアの変化に統計学的な有意差は認められませんでした。

### 参考文献・資料

1) 神経治療 36:354-358, 2019. 2) Neurology 93:e77-87, 2019. 3) Mov Disord 35:1957-1965, 2020. 4) Mov Disord 36:1704-1711, 2021. 5) <https://www.Neurologylive.com/View/msa-therapy-verdiperstat-fails-primary-end-point-mstar-trial>.



## 研究へのご協力お願い



皆様にはこれまで多系統萎縮症(MSA)の症状を中心に情報収集のご協力をいただき、誠にありがとうございます。MSAの研究や治療方法開発はまだ発展途上ですが、このHoRC-MSAでは今後、症状に関わる情報に加えて、患者さんの血液や脳脊髄液を用いた適切な診断および評価指標を確立すべく、さらなる研究に取り組んでいきます。

これまでのMSAの治療薬開発の研究(治験)では、細胞や動物実験レベルでは効果的といわれた薬剤でも、MSA患者さんを対象とした場合に、有効性を証明することができずにいました。その原因のひとつには、有効かもしれない薬剤の効果を評価できる適切な指標(バイオマーカー)が不十分であった可能性が指摘されています。私たちは、患者さんの血液や脳脊髄液の中にあるタンパク質などのうち、MSAの病状に関連して変化するものを候補として、バイオマーカーの確立を目指しています。

それぞれ通院、入院している病院の担当の先生方から、研究用の血液や脳脊髄液の採取について相談があった際には、できるだけご協力をいただけましたら幸いです。

どうぞよろしくお願いいたします。

## 調査へのご回答のお願い

HoRC-MSAへの参加希望の「意向調査」の返信をいただいた方には、研究説明同意文書とスクリーニング調査票をお送りしています。「同意書」の提出のない場合は、参加する方の承諾が得られていないということになりますので、調査研究を進めていくことができません。HoRC-MSAに参加をご希望の方で、もし同意書が未提出でお手元にある方は、返信用封筒に入れて事務局へお送りください。

登録済みの方には、適宜所定の調査票をお送りする予定としています。こちらにもご協力をお願いします。

時々、転居などのためにこちらから発送した書類が届かずに返送されてくる場合があります。住所変更、通院先が変わったとき、お亡くなりになられた時など、何かありましたら、同封の「変更用紙」にてお知らせをよろしくお願いいたします。



### HoRC-MSA事務局

〒060-8638 札幌市北区北15条西7丁目  
北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野  
神経内科学教室(北海道大学病院神経内科)

TEL 011-706-6028 FAX 011-700-5356

URL <http://neurology.med.hokudai.ac.jp/~neuro-w/horc-msa/>



## 質問・ご意見等募集

HoRC-MSAでは、みなさまのご意見やご質問を募集しています。お寄せいただいた内容は、個人情報に留意しつつ、HoRC-MSAの取り組み・運営の参考にさせていただきます。

〒060-8638  
札幌市北区北15条西7丁目  
北海道大学大学院医学研究院神経病態学講座  
神経内科学教室 HoRC-MSA事務局

## 編集後記

ひと頃に比べて新型コロナウイルスの感染者数は少なくなりましたが、まだ普段の生活や受診、リハビリテーションなどに制約のある日が続いています。感染症対策には気を付けつつ、来年になったらもう少し過ごしやすい日常が戻ってくるのではないかと期待しています。みなさまもどうぞよい新年をお迎えください。(HoRC-MSA事務局)