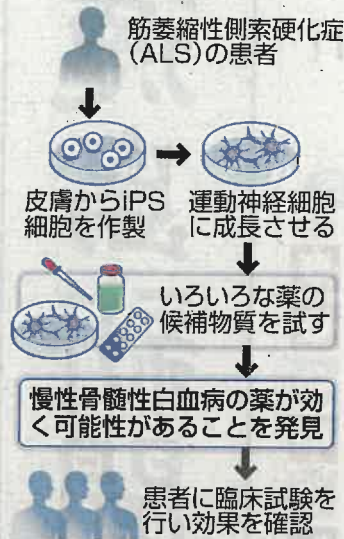


iPS創薬でALS抑制

京大チーム 白血病既存薬が効果

体が徐々に動かせなくなる難病「筋萎縮性側索硬化症（ALS）」の新たな治療法開発を目指し、人工多能性幹細胞（iPS細胞）を使って探した白血病の薬を患者に投与する臨床試験（治験）で、京大の井上治久教授らの研究チームは12日、徳島大病院などで行った第2段階の治験で病状の進行抑制を確認したと発表した。最終段階の治験実施を目指す方針を表明、根本的な治療法がないALSの新薬実用化に向け一歩前進となった。

iPS細胞を使った創薬のイメージ



治験では事前に設定した二つの主要評価項目を達成。この結果から有効性が示されたとしている。井上教授は「（薬を）早く届けるためにあらゆる努力をしたい」と話し、迅速な審査が可能な一条件付き早期承認制度「の活用も視野に、結果をさらに精査する」という。

今回は、発症後2年以内など条件を満たした患者26人を対象に、慢性骨髄性白血病の薬「ボスチニブ」を24週間投与。主要評価項目には、運動機能の度合いを示す指標を用い、ALSの既存薬の治験で使われた偽

薬のデータと比較した。その結果、今回の治験グループでは低下の抑制を確認。別の分析では、少なくとも13人で病状の進行抑制が認められた。

ボスチニブで起こりうる下痢や肝機能障害などが一部でみられたが、今回の治験特有のものはない。いずれも用法用量の調整や起こった症状の治療で対応でき、安全性に問題はないとした。

チームは、iPS細胞を使って既存薬から有望な薬を見つける「iPS創薬」という手法を採用した。患者の皮膚からつくったiPS細胞をもとにALSの病態を再現。千以上の薬を振りかけて調べ、候補の薬を選んだ。第1段階の治験では、9人中5人で病状の進行抑制を確認。2022年春から第2段階を始め