

とやま SCD・MSA 友の会機関誌

当会 HP でバックナンバー
を閲覧できます
http://toyama-scd.net/

発行人 北陸障害者定期刊行物協会
富山市今泉 312 番地
編集人 とやま SCD・MSA 友の会
富山市北代 2-2
TEL 090-1393-9056
頒価 50 円(会費を含む)
発行 2026 年 3 月 27 日

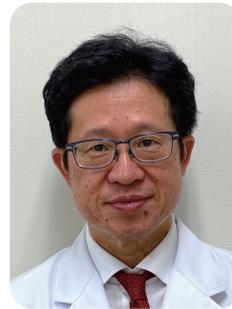
HSK 増刊 わかち 第 59 号

定例総会記念 医療講演会のご案内

SCD・MSA の「今」と「これから」 ～日々の対策から最新治療まで～

講師

富山大学 学術研究部医学系 脳神経内科
准教授 **中根 俊成** 先生



(なかね しゅんや)

香川大学医学部卒業後、長崎大学第一内科、米国メイヨー・クリニック、徳島大学神経内科、国立病院機構長崎川棚医療センター、熊本大学、日本医科大学を経て 2023 年 4 月より富山大学脳神経内科
所属学会: 日本神経学会(災害対策委員)、日本神経免疫学会、日本神経感染症学会、日本神経治療学会対策委員) など

2026 年

日時 **5 月 10 日(日)**
13:30 ~ 15:00

会場 **サンシップとやま**
6F 601 研修室



ご案内

私たちの病気にもようやく治験の募集や海外での新薬開発のニュースが聞かれるようになりました。患者や家族としては、その新薬が使えるようになった時を、できるだけ今の体調に近い状態で迎えたいものです。

中根先生からいただいた講演テーマを見て「今」は治らない病気だけれども、「これから」は治る病気になっていく時代に入りつつある、というお話だと期待しています。

なお本号後半の講演録、「『なおる神経難病』をめざして」(連絡協議会ニュース)を予習として読んでおくことをお勧めします。

- お元気ですか? 治験のススメ「LuAF82422 臨床第三相試験に参加して」……………2
- はじめまして「私は未だ受け入れていないのかもしれませんが」……………3
- 3/8 田畑裕明衆議院議員と懇談、厚労省陳情の紹介議員を依頼……………4
- 要望項目「付随して発生する傷病」に関する資料……………5
- ワンポイントリハビリ№ 12.13 近畿 SCD・MSA 友の会ニュースより)……………6~7
- 4/12 お花見交流会のご案内(富山県中央植物園)……………8
- 連絡協議会ニュース№ 13(総会、医療講演会講演要旨)……………9~24

お元氣ですか

会長 山崎 信代

過ぎしやすいこの時期を

楽しみましょう



みなさま、如何お過ごしでしょうか。

今年は午年、60年に一度巡ってくる丙午も数か月すぎましたね。この冬はスポーツの祭典が続き声も枯れる程に応援しています。目標に向かい、ひたすらにトレーニングをして数分間に最高のパフォーマンスをする選手の姿に涙を流す事もありますね。

大会前に大きな怪我をしながらも痛み止めを使用し競技に出場、世界で未だ誰もしていない滑りをするシーンは記憶に残りました。

今回の冬季オリンピックでは、国籍に関係なく勝者に温かい拍手をするなどメダルの色を問わず選手同士の熱い信頼と友情を見てメダルよりも信頼・友情が重いと感じました。

日常生活は気候変動、災害の激甚化、感染予防と気の抜けない様子ですが正確な情報を把握し備えていきましょう。

来月には県立植物園での桜の花見です。

ジェットコースターの様な気温変化に負けず

皆さん、一緒に「春よ来い、早く来い」

治験のススメ (臨床第三相試験に参加して)

Y・S

会員のSさんが確定診断を受けたのは2024年の2月。多系統萎縮症でした。「この病気を調べてみたら、自分が大変なことになったことがわかり…今後のことがわからなくなりました。毎夜、毎夜、不安に駆られ泣きだしてしまうことが多かったです。」と会報わかち52号で当時の心情を綴っています。

そのSさんが一念発起して治験に挑戦し、その経験を寄稿してくれました。

LuAF82422 とは何か

ヒトモノクローナル抗体で、原因物質である α シヌクレインにマークをつけることで除去する薬です。

治験に参加しようと思いつき行動を起こした頃の心境

確定診断された時は二相試験が終わった頃で、良好な結果が得られたと報じられていたので続報を待っていました。三相開始が分かったのが2025年の2月末でした。

治療薬・治療法がないMSA患者である私の希望でした。JRCTで更新されているのを見て、病気で落ち込んだ気分が徐々に上向きになり、妻と義両親に相談しました。

治療法がない中でこのタイミングで治験があるなら行こう！と後押ししてくれました。義両親に長男と長女を面倒見てもらって治験に妻と行く事になりました。

会社にも、治験の件いちかばちか賭けてみたいと申し出たところ、勤務時間を短縮して休みをとりやすくしてもらいました。

また、主治医に相談しどこで行なっているか調べてもらいました。

三相の治験はこれ以外にないこと、有力な治療法になりうる事、この機会を逃すと数年間は治験がない事から治験を受けようと思いました。

治験とは

新しい薬や医療機器が国(厚生労働省)から「薬」として認められるために、健康な人や患者さんを対象にヒトで安全性(副作用)と有効性(効果)を科学的に調べる臨床試験のことです。

第三相試験では、多くの患者に対し、既存の治療法と効果を比較して最終確認を行います。

治験先を探す

主治医に実施場所を調べてもらって、通えそうな病院を絞り込み、かたっぱしからTELしました。しかし、枠が埋まっていること、その病院の患者でないこと、県外であること等さまざまな理由で断られました。TELしては断られを繰り返し、ようやく診断書持っていらしてくださいとの返事がありました。

埼玉医大は富山から5時間！

OKしてくれたのは、埼玉医科大学病院で川越の先の毛呂というところにあり、富山から約5時間の遠方です。富山から大宮駅を経由して川越駅へ、レンタカーをつかい約1時間かけようやく着く距離で無理！と最初思いましたが、とにかく行ってみる事に。

今までの病院の対応は電話の時点で県外患者には冷たくあしらわれていましたが、担当医の先生、治験事務所の担当の方はとても好意的で、遠方ですがこちらは受け入れ可能ですよとあっさり言われ、これまでの緊張や不安も吹き飛びました。

次にスクリーニング検査で、私の状態がこの治験の適用になるか否かの検査です。そして3回目の来院で治験開始となりました。

埼玉の3車線の高速道路に圧倒され、10分ほどしか乗りませんがどっと疲れます。ただ、下道だけで行くと所々渋滞に遭遇し倍以上の時間がかかりました。

今までに7回治験を受けていますが、天気に恵まれ助かっています。

冬は寒いですが雪もなく晴れることが多いので良いですが、夏は40度まで達する日もあると聞きこれからの暑さ対策が課題です。

家族の支えと職場の理解があつてこそ

妻は治験の日は夫の事に専念できるので、ゆっくり会話できる貴重な時間を過ごせています。

義両親も子育てならぬ孫育てになり、あれやこれやと考え銭湯に連れて行ったり、食

事を用意したりと奮闘してくれているおかげで、子どもたちも「いってらっしゃい！パパ頑張ってるね！」と見送ってくれるようになりました。心強いです。

家族の支えや職場の理解もあり、頑張ってる踏みとどまれていると思います。

なるべく長く仕事を続けるためにもあと約2年半ある治験を受け続けるようにしたいので、リハビリを頑張ってる身体の状態を維持していきたいと思っています。

JRCTとは

日本国内で実施される治験や臨床研究の計画・概要を登録・公開する厚生労働省の公式データベースです。患者・一般の方も、自分に合う治験や臨床研究を探す際、疾患名や薬の名前から検索・閲覧することができます。

JRCTはやや業界人向けのため、より患者・家族向けの「難病治験ウェブ」もスタートしました。



はじめまして

私は未だ受け入れていないの
かもしれない

M・N

昨年11月末に入会させて頂きました。71歳です
初めて『多系統萎縮症』という言葉
を耳にしたのは69歳の時でした。ど
こか他人事で、なぜ主人が先生の説明
に付いてくるのかわかりませんでした。
た。これからはどうなるのかもわからず、

今もわかりません。車椅子に乗って
ますが、杖デビューするにはかなりの
勇気が必要でした。
今は診察もリハビリも訪問で、お天
気さえわからない窓のない部屋で三度
目の春を迎えようとしています…
昨日まで当然のように出来ていた事
が出来なくなる…頭の中は昨日のまま
なのに動けない辛さ。私は未だ受け入
れていないのかも知れません。
主人が居なければ何も出来ない私で
すが、もう少し頑張ってみます…



3/8 田畑裕明衆議院議員と懇談

今年も国への陳情の紹介議員を依頼

わかち会が加盟しているSCD・MSA全国患者連絡協議会(以下、連絡協議会)は、今年も6月に厚労省と懇談し、患者や家族の要望を国へ届ける予定です。

田畑議員の紹介は今年で5回目

連絡協議会では2022年より富山県選出の田畑裕明衆議院議員に紹介議員を依頼し、陳情日の設定や懇談会場の確保、および担当部署との連絡調整にお骨折りいただいています。田畑議員は初当選以来、一貫して厚生労働畑を歩んでこられ、特に自民党・薬事に関する小委員会委員長であることから、私たちに関係のある新薬の開発から承認までの分野はとても詳しい議員です。

「皆さんの要望活動は万全の体制で」

訪問したのは富山市東田地方のたばた裕明富山事務所。田畑議員はあいさつで「SCD・MSAの薬の問題と厚労省としてしっかりとした医療の体制については、私の国政でのテーマだと思っている。今年度の要望活動についても万全の体制で、全国の皆さんの声が直接行政にしっかり届くよう努力したい」と述べました。

神経難病のターミナルケアも話題に

山崎会長は、懇談のなかで厚労省陳情以外の話題として、神経難病の終末期の問題を取り上げました。神経難病患者も終末期を迎えると耐えがたい苦痛に苛まれますが、今はペンタゾシンなどよく効く薬が使えない状態です。末期がん患者のターミナルケアが確立されているように、神経難病患者のターミナルケアに関する法整備をお願いしました。

また松村事務局長からは、今年の厚労省の



左から谷口副会長、山崎会長、松村事務局長、田畑議員

陳情で取り上げる要望項目の一つである「指定難病に付随して発生する傷病」をめぐる問題点について説明しました。

転倒による骨折が医療費助成の対象とならない現状がある

SCD・MSAの病態の特徴は、何といたっても転ぶということです。確定診断を受けている人で、一年間に一度も転ばなかったという人はまずおられません。転ぶときも受け身がとれないので顔面をまともに打ったり、骨折や捻挫などケガが多く、整形外科を受診することが日常茶飯事になっています。私たちの転倒によるケガはこの疾患が誘因となることが明らかなのです。

しかしその治療を特定疾患の対象としている事例は少なく、整形外科の窓口で通常の患者負担を支払っていたり、あるいは身障手帳を取得されている患者さんの場合は、よりなじみのある県単福祉医療制度の対象とされているのではないのでしょうか。

「付随して発生する傷病」が依然として正しく理解されていない

受給者証の裏面には医療費助成の対象となる治療は「(2) 指定難病と指定難病に付随して発生する傷病」との記載があるのですが、依然として正しく理解されていない現状について資料を示して田畑議員に説明しました。

(次ページに続きます)

田畑議員に示した下記資料は 2018年6月12日に全国SCD・MSA全国患者連絡協議会が実施した厚労省陳情の補足資料です。

内容は8年前の当時のものですので、現在は異なっているものがあります。例えば現在の富山県のホームページには「対象は、指定医療機関で提供された、認定になった疾病

及び当該疾病に付随して発生する傷病に関する、保険適用の医療費」と変更されています。

また、受給者証の指定医療機関の欄については、厚労省から2022年5月20日に個別医療機関名を廃止し包括的な記載とする通知(健発0520第3号)が発出され、富山県では今年度の更新時より改善されました。

項目8「難病患者が安心して暮らすことができる施策」

事例1：難病に付随して発生する傷病は指定難病医療の対象となるのは難しい

(はじめに)

当該患者である妻は3年ほど前のある時期転倒事故を相次いで起こし、整形外科医院を受診しました。窓口で受給者証を提示しましたが事務職の人にここでは使えないと言われ、以後提示していません。しかし特定疾患の受給者証には「表面に記載された疾病及び当該疾病に付随して発生する傷病」と書いてあることから、私はこの疾病の場合は転倒による骨折やねん挫も対象となるのではないかと常々思っていました。

3年前の難病法改正により、高薬価の薬剤を服用していた私たちの窓口負担が一気に増えました。病気が故の転倒事故による傷病が「付随して発生する傷病」として認められるかどうかは、この病気の患者にとって大きな問題だと思います。

(対象となる医療についての誤解)

難病医療費助成の対象となる医療について説明している富山県のホームページ(HP)では、注意事項の項目で支給対象は「認定された疾病に係る診療」というあいまいな表現です。石川県のパンフレットは、「指定難病の治療、調剤等についてのみ利用できます」と、かなり対象範囲を狭めた記載です。福井県HPは「記載されている指定難病に関して保険診療が行われた場合の医療費」とあります。

「係る」「関して」という記述を素朴に読むなら、患者や家族は受給者証に記載された病名以外は対象とならないと思いつむのではないのでしょうか。また対象となるかどうかの判断を任されている医療の側でも、難病患者をよく診ているところなら「付随して発生する傷病」への配慮はあると思いますが、そうでないところでは指定医療機関であっても、該当病名以外は対象とならないと判断することが多いのではないかと推察します。詳しくない人が諸制度を調べる場合、まず手続きの窓口である行政のHPや印刷物にあたります。そこで不正確な解釈があれば地域全体が制度を誤解して運用することになってしまいます。

一方、北陸3県が該当疾病のみ対象という印象を与える表現であるのに対し、千葉県では「付随して発生する傷病」について、以下のように医学的見地からより具体的な表現で記載されています。「公費負担の対象となる医療の範囲として、対象疾患の病態の一部とみなされる疾病又は状態に対する医療処置や対象疾患が誘因となることが明らかな疾病又は状態に対する医療処置も含まれます」

厚労省としても、「付随して発生する傷病」についての表現を、千葉県の事例のように改めることを要望します。

(難病指定医療機関についての誤解)

昨年、受給者証更新後に県から送付された文書「受給者証の交付について」の文中に、「原則、受給者証に記載された病院、薬局等の「指定医療機関」での診療や調剤等が対象となります。ただし、記載のない場合であっても…対象となります」とありました。また受給者証の注意事項4として「緊急その他やむを得ない場合には…記載されていない医療機関での診療等も…」とあります。

法に照らせば指定医療機関ならばどこでも受診できるのに、記載されたところが原則、無記載での受診はやむを得ない場合のみ、というこの書き方は不適切であると思います。具体的には医療機関の窓口担当者が、提示された受給者証を確認する際に、自院が記載されていない患者は制度を使えないとの誤解を生む恐れがあると思います。患者側も記載医療機関のみが対象と思いつんでしまいます。

この点について愛知県のHPでは、わざわざ「すべての指定医療機関で公費の適用が可能ですので、受給者証に受療を希望する医療機関名が記載されていない場合であっても、記載がないことをもって診療等を拒否することのないようお願いいたします。なお、公費対象となるのは受給者証に記載のある疾病又はそれに付随して発症した傷病に係る医療費のみです。」とありました。これは受給者証に自院の記載がないことを理由に対象外とする医療機関が多いことの証左ではないでしょうか。

この誤解を解消するために、受給者証の注意事項の記載を改善するとともに、難病指定医の講習会や医師会を通じた通知等で理解の徹底を図っていただきたいと思います。

SCD理学療法士の No. 12 ワンポイントリハビリ

SCD・MSA 全国患者連絡協議会 共同代表
近畿 SCD・MSA 友の会 会長

新保 健次

～体幹について(2)～

今回は体幹の運動についてです。おなかをへこませるなど、直接腹部にアプローチをする運動があります。体幹の筋がうまくはたっているか、効果はあるのかが確認しづらいことがあります。効果の確認方法はふらつきが減った、立ちやすくなった、歩きやすくなったなどありますが、なかなか実感しづらいのが実際だと思います。

そこで手や腕を動かす運動を紹介します。これらの運動で手や腕の動かしやすさを効果として確認していただければいいと思います。なぜ手や腕を動かすことで体幹に効果があるのか、という疑問があるかとは思いますが、例えば、手を前に挙げる動作をすると、背部の肩甲骨や背骨周りの筋肉がはたらきます。手や腕を動かすということは、体幹の筋肉がはたっているということになります。それぞれの運動で回数や時間は、集中力にまかせて行えればいいです。



左図のようにペットボトルに水を半分くらい入れて振ってみましょう。姿勢は立っても座ってもいいです。私は体重増加のためにプロテインを摂っています。その粉を溶かすときのシェーカーを利用して非利き手でこの運動を行っています。立つて行う際は必ず転倒しないようにしてください。

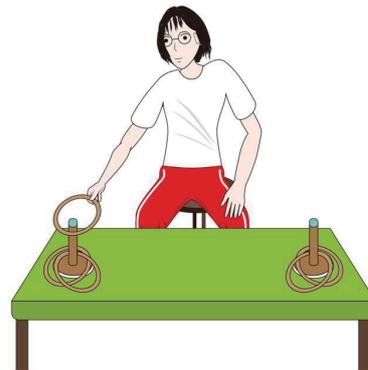
右欄の上図のようにジョギングで手を振るイメージで左右交互にリズムよく行ってください。実際私も風呂あがりに洗面台の前に立って鏡を見ながら行っていますが、はじめは身体がかたく、腕を振れば前方に balan



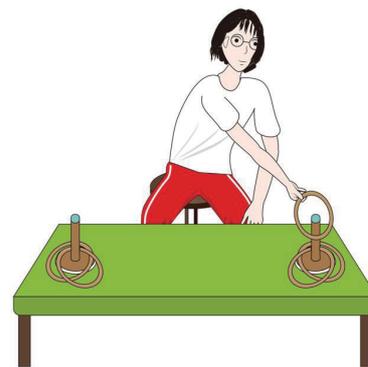
スを崩し、うまくできませんでした。顔を上げて前を見ることも難しい状態でしたが、毎日少しずつ続けていくと、今は100回ほど振れるようになりました。鏡を見ながらできるようになりました。前は洗面台、後は浴室用のいす(介護保険で購入)を置き、転倒対策を行っています。

輪投げを用いた運動を紹介します。この運動は私が病院に勤めているときにいろいろな方に行い、身体の動きがよくなるなどの効果を実感したものです。輪投げは子供の夜の店の景品にあるようなもので構いません。

輪投げを2つ、図のように置いてください。手を伸ばすと輪に届くくらいがちょうど



よいと思います。実施方法は下の図の通り、片方から1本輪を取って、取った輪を反対側に入れる、この動作を繰り返します。



・右手で取って右手で入れる
・右手で取って左手に持ちかえて入れるなど、取り方を変化させてください。図

を見ると身体の前で手をクロスする方が身体の動きが大きいことが分かります。反対側に輪を移すときに体重を移動する、輪投げを1本1本扱うために指先の運動になる、など動きやすくなるための要素が多く含まれる運動です。ぜひお試しください。

【挿絵：鳥谷晴己(3班)】

SCD理学療法士の No. 13 ワンポイントリハビリ

SCD・MSA 全国患者連絡協議会 共同代表
近畿SCD・MSA 友の会 会長

新保 健次

～動かしやすい身体づくり(1)～

我々の疾患は小脳が障害されます。小脳は身体を動かすために重要なはたらきをしています。

身体を動かすということを考えると、脳からの命令が神経を通して筋肉に伝わり、身体の動きが生じます。ここで押さえておいてほしいことは、命令するのは脳、その命令通りに動かすのは筋肉である、ということです。繰り返しになりますが、我々の疾患は小脳が障害されますので、命令するところに障害が生じます。だから身体を動かしづらくなります。実際に身体を動かす筋肉は障害されないのです。動かしづらさはありますが、動かせなくなることはありません。適切な刺激を加えて筋肉を上手にケアすることが大切です。

筋肉は伸縮性のある組織だといわれています。伸び縮みができるのです。すなわち、力を入れるときは縮み(収縮するといいます)、力を抜くときはしっかり緩むということです。「筋力を落としてはいけません」、「筋力をつけましょう」とはよく言われることです。筋力がないと身体を動かすこと、支えることができなくなるので筋力は落とさないようにする必要があります。筋力をつけるためには筋肉を縮める(収縮する)運動が主になります。筋力増強運動とよばれます。

それでは筋肉を緩める(伸ばす)運動はどうすればよいのでしょうか。下記のことを意識するといいです。

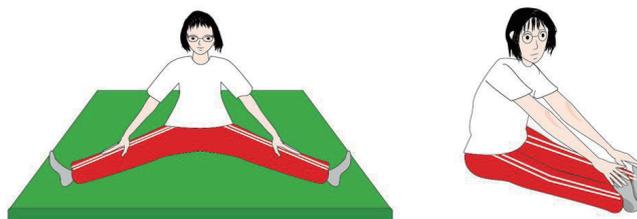
- ・リラックスできる環境
- ・ストレッチング
- ・自分で関節を動かす
- ・介助者に関節を動かしてもらう
- ・マッサージ

【リラックスできる環境】

冬場や夏の冷房下で足が冷えると、本当に筋肉が言うことを聞きません。冷やさないように意識をするというより、積極的に温めましょう。タイツをはく、カイロを貼る、レッグウォーマーを使用するなどが良いと思います。膝の裏には動脈がありますのでそこを温めるのも一つの方法です。筋肉自体も温度が高いと伸縮性が高まりますのでふくらはぎや足の裏を直接温めるのもいいかもしれません。腕も同じことがいえますので不快でなければ試してみてください。リラックスするのに不快な思いをするのは逆効果なので、不快であれば直ちにやめてください。もちろん、足湯、手湯、浴槽内で全身を温めてリラックスするのもいいです。

【ストレッチング】

ストレッチングは伸長運動といわれます。目的は筋肉を伸ばして身体がかたくならないようにすることです。方法は下の図のように足を前に出して20～30秒間姿勢を保ちます。開脚では内転筋という内股の筋肉、閉脚であればハムストリングスという太ももの裏の筋肉を伸ばすことになります。強度としては伸長感があり、痛みを感じない程度で行います。息を止めて痛みを我慢して行うのはダメです。数でも数えながら行える程度がちょうどいいです。膝が曲がっても構いません。



つま先に手が届かなくても構いません。開脚がつかれば片足ずつでも構いません。内股や太ももの裏に刺激が加わっているのであればそれでOKです。姿勢は気にしないで行ってください。

身体がかたくならない、柔軟性がある、ということは身体が動かしやすくなる、ということです。すぐに効果は表れません。少なくとも2～3週間は続けましょう。

【挿絵：鳥谷晴己(3班)】

2026 お花見交流会



2022.4.17

● 日時 2026年 **4月12日(日)**

12:15 ~ 昼食
13:00 ~ 交流会
14:30 ~ サクラ・ウメ園へ
15:30 ~ 自由解散

● 集合時間と場所

12:00 富山県中央植物園内
ドリアスホール

● 参加費 お1人 **100円**

- * 主催側でおいしいお弁当を用意します。
- * 植物園の入場の際、身障手帳を提示すると本人と付添いの2名分が無料となります。(70歳以上はどなたも無料)

● 申し込み

- * 氏名、連絡先、身障者手帳の有無など、メールまたは電話でご連絡ください。

この事業は、公益信託富山ファーストバンク社会福祉基金のご協力をいただいています。



2024.4.14

木の香漂うドリアスホールで交流会



とやま SCD・MSA 友の会 (わかち会)

会長 山崎 信代

事務局長 松村 茂

連絡先(郵便物) 〒930-0103
富山市北代2-2 松村茂方

連絡先(通信)
電話 090-1393-9056 (山崎)
メール info@toyama-scd.net
ホームページ http://toyama-scd.net

<年会費(2000円)・寄付金はこちら>

ゆうちょ銀行 三二八 支店
口座番号 0495915 とやま SCD・MSA 友の会

編集後記

- 治験体験記を寄せてくれた S さんは5時間かけて埼玉医大へ。STEMカイマルに参加した M さんは信州大だった。なぜ北陸で神経難病の治験がないのか。医療講演会で講師に質問したことがある。
- 返ってきたのは「専門医が少ないからです」。そういえば厚労省の運動失調症研究班にも北陸の施設は見当たらない。
- 富山大学の脳神経内科は2005年にでき、代々脳血管障害の専門医を育ててきたと聞く。とはいえ SCD・MSA の治験先が富山に、せめて金沢にあれば参加したいという患者は多いと思う。(S・M)

SCD・MSA 全国患者 連絡協議会ニュース

No. 13

発行人 脊髄小脳変性症(SCD)・
多系統萎縮症(MSA)全国
患者連絡協議会 事務局
連絡先 東京都豊島区北大塚2-7-2
TEL 03-3949-4036
scdmsa_renaku_info@googlegroups.com

連絡協議会は全国各地の患者会とともに治療薬開発や難病制度の改善をめざし、患者会同士の交流や連携をすすめます

2026
年度

連絡協議会 第7回総会 を開催 加盟17団体から20団体へ



↑総会はオンラインで各地の加盟団体と繋りました

2025年11月1日～2日、SCD・MSA 全国患者連絡協議会の総会および医療講演会が開催され、会場の大阪府堺市のビッグ・アイ(国際障害者交流センター)に、北は北海道、南は九州から加盟団体の代表らが集いました。

4年ぶりに対面で開催

これまでの総会は、2021年11月の大阪市のドーンセンター(男女共同参画・青少年センター)以来コロナ禍のなかで完全オンライン形式が続き、じつに4年ぶりの対面による開催となりました。

1日目の午後からは総会と全国交流会、2日目は「なおる神経難病をめざして～治療法開発の最前線」をテーマに医療講演会が行われました。この講演会はオンラインで各地の加盟団体会員も参加しています。



↑医療講演会の会場



総会・医療講演会の進行を担当した大浦なおみ氏(近畿SCD・MSA友の会)



医療講演会講師の高橋祐二先生(国立精神・神経医療研究センター病院 特命副院長、脳神経内科診療部長)

共同代表挨拶

共同代表 新保 健次

ようこそ大阪にお越しくださいました

共同代表の新保でございます。本日で第7回の総会を実施できる運びとなりました。

今回は手のひらパートナープログラムの助成が得られ、対面での開催が可能となり、北海道から九州までおよそ30名の方々が大阪府堺市にある国際障害者交流センター、ビッグアイで集うことができました。助成金の獲得や、このような場を作るのに尽力いただいた酒井事務局長をはじめ、関係者のみなさまには本当に



感謝申し上げます。そしてみなさま、ようこそ大阪にお越しくださいました。可能な範囲で、大阪を満喫してください。

SCD・MSA全国患者連絡協議会は国へのはたらきかけが重要です。現在の加盟団体数は活動報告にあるように、20団体であります。年々加盟団体数が増え、国に訴えかける声が大きくなってまいります。このような機会を通じて大きく、さらにしっかりと声を上げていければいいと思っております。

明日は10時から国立精神・神経医療研究センター病院より高橋祐二先生をお招きし、「なおる神経難病」をめざして、という主題で医療講演会を実施いたします。近年、新薬の候補になるような名前をいくつか耳にします。一日も早い新薬誕生を願います。どんな話があるか楽しみに聞きましょう。

それではこの総会が円滑に進行するように、よろしくお願いいたします。また総会終了後、交流会、懇親会を通じ、みなさまと対面で親睦を深められることを楽しみにしております。

要点

2025年の活動報告

1. 国への働きかけ

- 1) 新薬治験・承認では従来の「ロバチレリン」に加え、「ステムカイマル」「トリロルゾール」「ユビキノール」など複数の薬剤を要望書に明記できるようになりました。長く停滞していた新薬開発が現実味を帯びてきており、患者団体としては国・製薬会社・研究者に患者の声を届けることがいっそう重要になってきました。
- 2) 治験の進め方についても、患者の視点から意見を出していく必要があります。そのためにも、私たち自身がセミナーや学習会へ積極的に参加し、学んでいくことが重要です。
- 3) 更新手続きの簡素化では、国レベルの「ワンストップ化」はほぼ実現しました。しかし自治体間で差があるため、引き続き国による指導を要請するとともに、各患者会が

ら当該自治体へ働きかけることにもチャレンジしたらどうでしょうか。

2. 各地の友の会の活動支援

宮城県で新たに患者会が結成されました。愛媛と宮城の交流会では、連絡協議会事務局がZoomサポートを担当しました。エリアミーティングは1月にオンラインで開催しています。



活動報告を担当した松村茂氏(とやまSCD・MSA友の会)

3. 医療講演会の普及

加盟団体主催の医療講演会について、他地域の患者・家族が参加できるよう、依頼があれば協議会として案内を行っています。昨年は石川と東京で開催されました。

4. 組織活動～事務局機能の強化を

幹事会は4回開催しました。加盟団体は愛媛・宮城・鹿児島が加わり20団体となりました。

協議会ニュースは例年通り、総会と厚労省陳情を中心に2回発行しました。財政面では初めて助成金を確保し、対面で総会を開催できたことは大きな前進です。

事務局機能の強化は喫緊の課題です。事務局の1人は後期高齢者で大きな手術を控えており、もう1人も体調を崩しています。このままでは事務局機能が停止する可能性があり、増員が急務です。

なお代表・事務局会議は完全オンラインのため全国どこでも参加が可能です。また幹事の方以外でも協力いただける会員がおられましたらぜひご紹介ください。

要点

2026年の活動計画

SCD・MSA 全国患者連絡協議会は2018年発足、2025年には20団体となりました。患者の思いを共有し、連携して活動を進めます。

SCDの新薬開発では、バイオハイブンの「トロリルゾール」が米国FDAに承認申請されました。リプロセル社の「ステムカイマル」も第Ⅲ相治験を省略して申請準備中です。MSAではLuAF82422が第Ⅲ相治験を実施中で、ユビキノールも治験準備が進んでいます。これまで芳しくなかった私たちの創薬が進展しており、リハビリ等に取り組みつつ、国への要望活動を続けます。



活動計画を担当した
酒井祥吉氏(近畿
SCD・MSA友の会)

1. 国へのはたらきかけ

概算要求前に厚生労働省へ要望を提出。内容は各患者会から意見を募ります。

2. 各地の友の会の活動

各地の加盟団体と連携を深め、活性化を図り、患者会の声を活動に反映させます。

3. 医療講演会

各地の患者会と協力し講演会を開催します。リモートで行う医療講演会などに参加しやすい工夫をしていきます

4. 組織活動

- (1) 総会：年1回、オンラインまたは対面で開催します。
- (2) 幹事会：随時開催します。
- (3) 未加入団体：当面オプザーバー参加してもらい、連絡協議会への賛同を促します。患者会のない地域の設立も支援します。
- (4) ニュース・ホームページ：ニュース発行とHP作成を進めます。
- (5) エリアミーティング：当面は未加盟団体も含む全国交流会として開催します。
- (6) 財政：会費・寄付・助成金の活用。助成金申請の学習会も実施します。



今回の総会、医療講演会などに手のひらパートナーの助成をいただきました。心より御礼申し上げます。

全国交流会のまとめ

* A～Eの小グループに分けて行いました

A 班



参加者の自己紹介と各患者会の情報交換をおこないました。

北海道は、道内エリアが広いと、札幌エリア・十勝エリア・旭川エリア・釧路エリアと4エリアに分かれて活動を行っているとのことでした。出会いカフェなどの交流会を行っているとのことでした。役員の後継者問題が、悩みとのこと、なかなか引き継げる人が少ないということでした。

青森は、会を立ち上げて、19年間会長として引っ張ってきたという経験のお話がありました。今は2年ずつで会長は引き継いでいき、事務局は健康者が引き受けながら現在22年目になっているとのことでした。難病連に加盟し県内を6地域に分けて活動しているとのことでした。

宮城はまだ立ち上がって、間もない状態で、今のところは会としては会費等の徴収は行わず、Webで寄付を募って運営資金を調達しているとのことでした。

愛媛は、以前に会を行っていた方が退いた後空白期間があり、再開している状態で今は四国には愛媛しか立ち上がっていないが、四国他県からも交流会には参加して下さる方もいるので、徐々に四国全県に会を広げていきたいと思っているというお話でした。

参加者のお話では、どこも会員拡大・交流会や集まりのやり方や、会費・会場の確保や費用などの工面、役員になってくれる人の勧誘など共通した悩みがあることがわかりました。

地域の特色など、なかなか普段ではわからなかったことを、直接お顔を見ながらお話しできとても良い機会になりました。時間があっという間に過ぎてしまい、お話がもっとゆっくり出来たらよかったなと感じながらの交流会でした。(文責・大浦なおみ)

B 班

B班では自己紹介を交えながら地元の交流会について意見交換しました。

交流会は患者会の命

地域によって交流会の開催の仕方は大きく異なります。北海道は広く一か所に集まることが難しいため、札幌・旭川・十勝に地区会があります。青森では複数の支部があり、代表や事務局がきめ細かく活動しているとのこと。青森の角田さんは「交流会は患者会の命」と強調されました。

全国友の会(東京)では参加者が60人ほどになるため、自己紹介だけで時間が過ぎてしまうとのこと。そこで事前・事後アンケートをGoogleフォームで行い、話したい内容を把握しているそうです。



ハイブリッド交流会の難しさ

コロナ禍でオンライン交流会が普及しましたが、現在は対面の良さも見直され、ハイブリッド形式の需要が高まっています。福岡の石田さんからは「一人で運営するのは難しい」との声がありました。Zoomの案内、入室管理、初心者サポート、ハウリング対策、進行などを一人で担うのは負担が大きく、役割分

担が必要ですが、地方では役員不足が共通の悩みです。

友の会のHP(ホームページ)を作りたい

LINEグループの活用はどこでも進んでおり、新しい会員が挨拶すると盛り上がります。とやま・わかち会では40～50代の入会が増えており、ほぼ全員が「わかち会のHPを見た」と回答。「脊髄小脳変性症 富山」のキーワード検索で上位に表示されることが大きいようです。

福岡や福井でもHPを作りたい・復活させたいとの声がありました。現在はHP作成ソフト「ワードプレス」などブログ感覚で作成でき、スマホ対応のデザインも選べます。広告のないレンタルサーバーを使い、複数の方が更新できる仕組みを作っておくことが継続の鍵のようです。(文責・松村茂)

C 班



C班は北海道、富山、福井、大阪、熊本から参加のメンバーで交流をしました。

はじめに自己紹介も兼ねて病気の診断に至るまでの状況を話し、他のメンバーから質問をしあいながら進行了ました。

労働のことでは障がい者枠で神経難病を一緒にされるのは違う、そう言うところを訴えていかないと社会参加できないといった意見がありました。

また電動車いすの使用は、歩行能力は下がったけれど、自分の思うように動けるため、QOLとしては上がった、コンビニへ独力で買い物ができるなど、活動範囲が広がったという前向きな意見がありました。

福井の下坂さんは都合により参加が遅れま

したと言っていました。車いすで福井県からビッグアイまで独力で来られた、とのこと。新大阪から在来線の乗り継ぎが大変でした、一般の方々に助けてもらいましたと言っていました。その行動力にびっくりしました。頑張っ外に出ることでこの病気の社会認知がされるのかな、と感じました。その行動にリスペクトしかありませんでした。

病気の進行に気持ちがついていけないことがあり、現状を受け入れてくれる患者会が必要である。お互いの問題を分かち合えること、遺伝のこと、あきらめざるをえないことが増えてきたこと、などが共有できる。

社会への訴えかけとして保健所などに協力を仰いで、地域で実施される交流会などで発言できる機会をもらう、学校で講演するなどが意見として出ました。また患者会の中でボランティアの必要性を訴えていくことが大切と思う。でないと今後患者会が成り立たなくなっていく現実がある、若い会員獲得については、ホームページの充実が大事との意見がある。

発症の年齢、状況、性別などそれぞれの環境は異なっていました。お互いの抱えている不安、困りごとは痛いほど分かち合えました。遠く離れた場所でも、同じ病気で悩みを持ち、頑張っているのだなと感じることができ、「ひとりではないんだ」ということが実感されました。遠方から大阪まで来ていただき、直接話げできたことで距離感が縮まった、そんな風に思いました。(文責・新保健次)

D 班

D班は、リハビリの徹底と家族との深い対話となりました。

リハビリの重要性を参加者全員の共通認識とし、その徹底を最優先課題として、日々の生活における具体的な課題と解決策について掘り下げた話し合いが行われました。

・生活の質の向上とリハビリの徹底

参加者全員が、「病気の進行を緩やかにし、生活の質を維持するため、リハビリは最も重要な日課である」という認識を共有しました。

その成功例として、プールへ定期的に通うことが挙げられました。水中では転倒の心配がなく、身体に負担をかけずに運動できるため、自分に合った理想的なリハビリ環境であるという実感や、対面で交流することの重要性も改めて共有されました。



・転倒リスクへの具体的な対策

参加者が直面する深刻な問題は「転倒が多く、反射動作の遅れから受身が取れず、顔や頭部を強打してしまう」ことでした。これに対し、医療・福祉の観点から、怪我のリスクを減らすための「安全な転び方(受身)」を習得するリハビリ(例:お尻から転ぶ訓練)を重点的に行うことの重要性が強く提言されました。

また、頭部保護の具体的な対策として頭部保護帽の着用が推奨され、現在では公費申請が可能であること、またデザインが豊富でTPOに合わせて選べるため、気分転換や心理的な負担の軽減にも繋がると感じられます。

・家族の理解と自立支援

ご家族の強い心配から生じる、外出や旅行の制限という問題が浮き彫りになりました。家族の心配は理解できるものの、障害があっても自由に活動したいという自立への強い願いが表明されました。この課題を乗り越えるためには、まず家族間で「具体的に何を心配しているのか」を徹底的に話し合い、福祉サービスや自助具といった「具体的な対策(ハード面)」によって、ご家族の心配事を解決できるかを検討することが不可欠であると考えます。障害の有無に関わらず、好きな時、好きな場所、好きな人へ会いに行けるようにするには日頃からお互いの気持ちに寄り添う

オープンなコミュニケーションこそが、自立を制限されない生活を送るための鍵ではないでしょうか。(文責・大泉美枝子)

E 班

E班は若年性発症者を対象として当事者3名(全国から1名、近畿から2名)、宮城から家族の方が1名(お母様が患者様であり、気管切開をしており現在は自宅療養中)、熊本から世話人の病院で働いておられる現役の理学療法士(以下PT)の方が1名の計5名で交流会が行われました。自己紹介から始まり、その後は財政面での会話がメインとなっていきました。宮城は発足して日が浅いため、事務所を持っておらず近畿と全国については事務所を設けているため、交流会参加、入会についての連絡は各事務所に来るという内容でした。宮城・熊本では事務所を設けていないため、患者会に関する問い合わせは宮城では幹事の方、熊本ではPTさんの個人携帯に入ってくるという仕組みになっているそうです。



会費については、近畿・全国では交流会や会報発行のために全会員から徴収しているが、宮城・熊本では一風変わった方法で徴収をしていました。宮城では、交流会に参加した人に対し、一律の参加料を回収することで、また熊本では、ホームページにスポンサー広告を載せることで金銭面を工面しているそうです。短い時間でしたが、同じ境遇の若者たちと交流できてとても有意義で楽しい時間を過ごせました。(文責・大浦正司)

2026年度 SCD・MSA 全国患者連絡協議会 役員

(総会後の異動や名称変更等を反映しています)

役職	氏名	所属団体	
共同代表	中村 元子	全国 SCD・MSA 友の会	
	新保 健次	近畿 SCD・MSA 友の会	
副代表	坂本 紀美恵	いしかわ SCD・MSA 友の会	
	下坂 真之	福井ハレバレ会	
	水上 真一	島根ひとまる会	
	小川 奈穂	長崎 SCD・MSA アジサイ会	
事務局長	丸山 裕美	全国 SCD・MSA 友の会	
	丸山 拓巳	全国 SCD・MSA 友の会	
	松村 茂	とやま SCD・MSA 友の会	
	重松 美生恵	東海 SCD 友の会	
会計	大浦 なおみ	近畿 SCD・MSA 友の会	
	酒井 祥吉	近畿 SCD・MSA 友の会	
	会計監査	石田 和宏	福岡 SCD・MSA 友の会
		林 猛志	北海道であい友の会
幹事	大澤 真寿夫	北海道であい友の会	
	林 猛志	北海道であい友の会	
	角田 憲勇	青森 SCD・MSA 友の会	
	大柳 文行	青森 SCD・MSA 友の会	
	宮崎 滋	みやぎ SCD・MSA 友の会	
	菅野 友里絵	みやぎ SCD・MSA 友の会	
	清野 東至	山形 SCD・MSA 友の会	
	中村 元子	全国 SCD・MSA 友の会	
	丸山 裕美	全国 SCD・MSA 友の会	
	長谷川 篤	新潟 SCD マイマイ	
	山崎 信代	とやま SCD・MSA 友の会	
	松村 茂	とやま SCD・MSA 友の会	
	坂本 紀美恵	いしかわ SCD・MSA 友の会	
	松本 蘭	いしかわ SCD・MSA 友の会	
	下坂 真之	福井ハレバレ会	
	永善 政伸	福井ハレバレ会	
	岳沢 桂	長野 SCD・MSA 友の会	
	竹内 孝士	長野 SCD・MSA 友の会	
	重松 美生恵	東海 SCD 友の会	
	新保 健次	近畿 SCD・MSA 友の会	
	大浦 なおみ	近畿 SCD・MSA 友の会	
	水上 真一	島根ひとまる会	
	前田 啓子	岡山 SCD・MSA 友の会	
	千葉 和子	ひまわり友の会ひろしま	
	羽原 邦子	ひまわり友の会ひろしま	
	金山 哲也	愛媛 SCD・MSA 友の会	
	弓 清治	福岡 SCD・MSA 友の会	
	石田 和宏	福岡 SCD・MSA 友の会	
	小川 奈穂	長崎 SCD・MSA アジサイ会	
	手島 明	熊本 SCD・MSA 友の会	
	津崎 美保	鹿児島 SCD 友の会 SCD スマイルクラブ	
	入尾野 教恵	鹿児島 SCD 友の会 SCD スマイルクラブ	

規約より

第9条(幹事) 各地区の SCD・MSA 患者会から幹事を選出する。
各地区 2名以内とする。

第10条(代表および副代表) 幹事の互選により 共同代表、副代表を選出し、事務局長、事務局員、会計及び会計監査を幹事会において選任する。

第11条(任期) 任期については、2年とし、再任を妨げない。



第7回総会 閉会挨拶

共同代表 中村 元子

今日は第7回全国SCD・MSA患者連絡協議会の総会にご参集いただきありがとうございます。今回、体調不良により、急遽オンライン参加となりました。共同代表の中村です。

今日では20団体が加盟する全国組織となりましたが、いまだに患者会がない県や未加盟の患者会も多くありますし、何にも増して医療・介護関係者への知名度が不十分だと思っております。

何処に居ても、誰も取り残されることなく同じ水準の医療・介護・福祉サービスなど、正しい情報のもとに得られる『暮らし易い社会づくり』『患者・家族にとつて優しく頼れる場所である患者会』であるよう、共に活動して行きたいと思っております。

余談ですが、この協議会の前身である準備会の発足以前より、献身的に熱血をもって活動してくださり、全国的な繋がりが必要を唱えておられました、全国SCD・MSA友の会の監事でもいらつした吉村治氏が10月中旬に逝去されました。生前をご存知の方もおられるかと思いますが、この場をお借りしてお知らせさせていただきます。

みなさまのご協力のもと、無事に総会が終えられましたことに感謝いたします。

SCD・MSA 全国患者連絡協議会とは

2014年に各地の患者会の間で全国組織を作ろうという機運が高まり、数回の会議を経て2018年6月、正式に発足しました。全国各地の友の会が思いを一つにして、治療薬開発や難病制度の改善を国に働きかけるとともに、友の会同士の連携や交流をすすめています。

連絡協議会へのご寄付のお願い

連絡協議会の団体会費は、各地患者会の財政負担にならないように会員数×100円(年間)としています。厳しい財政状況のため、活動内容にご賛同いただけましたら、是非、下記口座にご寄付をお願いいたします。

銀行名 : ゆうちょ銀行

口座名義 : SCD・MSA 全国患者連絡協議会

記号 14030 番号 69381611

連絡協議会 医療講演会

*この記事は全国SCD・MSA友の会ニュースNo.279より転載させていただきました。

「なおる神経難病」をめざして ～治療法開発の最前線～



国立精神・神経医療研究センター病院
特命副院長、脳神経内科診療部長

高橋 祐二 先生



大阪府堺市 ビッグ・アイ (国際障害者交流センター) 大研修室 1.2

(図1)

核酸医薬 Nusinersen (スピラザ)

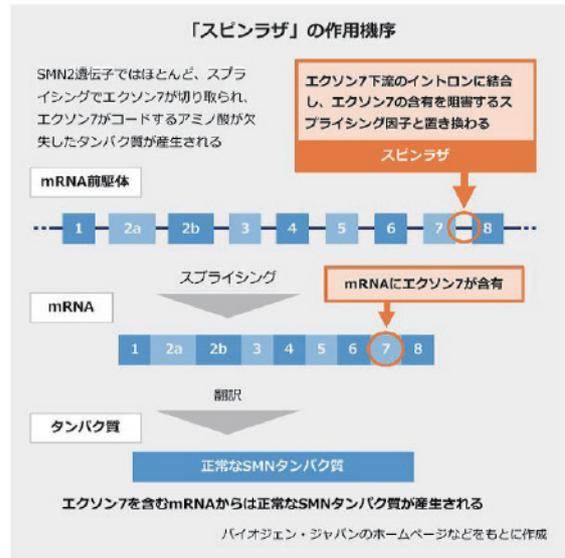
神経難病に対する 革新的治療法の実現

近年、治らない病気の代表であった神経難病に対し、革新的な治療法が次々と登場しています。核酸医薬、抗体医薬、生物学的製剤、遺伝子導入といった最新のテクノロジーを使った治療法が、既に保険診療として提供されています。



最も顕著であり、ある意味ゲームチェンジャーとなったのが、核酸医薬の「スピラザ」という薬です。小児の脊髄性筋萎縮症 (SMA) に対する治療薬です。

SMAは、生後半年頃から全身の筋肉が動かなくなり、1年で寝たきりとなり呼吸ができなくなるという極めてシビアな難病で、SMN1という遺伝子が欠損する病気です。人間はもともとSMN2という非常によく似た遺伝子を持っていますが、SMN2はエクソン7番目の部分が切り取られて抜けてしまうため、まともに機能しません(図1)。そこに蓋をし、切断されないようにすると、SMN1とほぼ同じ分子が生成されます。したがって、蓋をする薬を作れば回復するのではないか、という発想で開発されました。

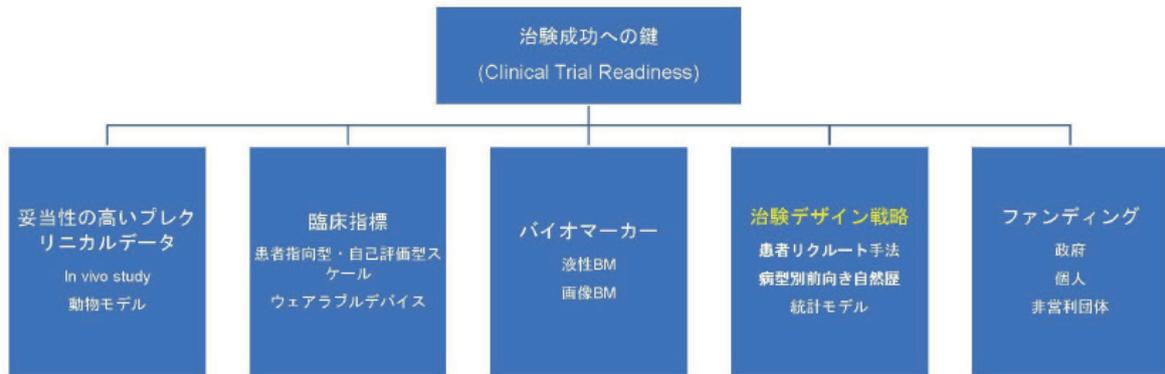


治験では、実施途中から患者側が実薬であるか偽薬(プラセボ)であるかわかってしまうほど、実薬が明らかに効いている顕著な効果が出ました。

さらに、無くなったSMN1遺伝子を補えば良いという考えから、「ゾルゲンスマ」という薬が開発されました。これは遺伝子をそのまま体内に入れる遺伝子導入治療です。

SMAでは通常、発症後約20か月で92%の患者さんが人工呼吸器につながります。しかし、「ゾルゲンスマ」による治療を行った方全員が、この期間を過ぎても人工呼吸器を

(図5) SCDの治験成功への「鍵」



Ann Clin Transl Neurol. 2021 Jul; 8(7): 1543–1556改変.

利団体) 特に、効率良く、しかも効果が検証しやすい形の治験をデザインすることが非常に重要です。

また、何も治療しなければ疾患がどう変化するかを示す前向き自然歴も重要です。これがわかれば、治験の結果を検証しやすくなります。そのために疾患レジストリが必要になります。

創薬の成功には、被験者のリクルートや計画作成に使う、あるいは、どこにどのくらい患者がいるか、現在どのような状況かという市場調査の情報が治験をデザインするうえで重要です。もちろんレジストリを活用した疾患研究自体も重要ということで、疾患レジストリは世界的に盛んに行われています。

日本ではJ-CATがあり、各国のレジストリとの国際的な連携が積極的に行われています。

J-CATは、①必要な臨床情報を伴う患者の登録、②遺伝子検査・抗体検査による病型確定・診断制度向上、③研究基盤の構築・利活用の推進、④病型ごとの自然歴確立・診断未確定例の原因究明をして、治療に繋げていきます(図6)。

現在3654名の方に

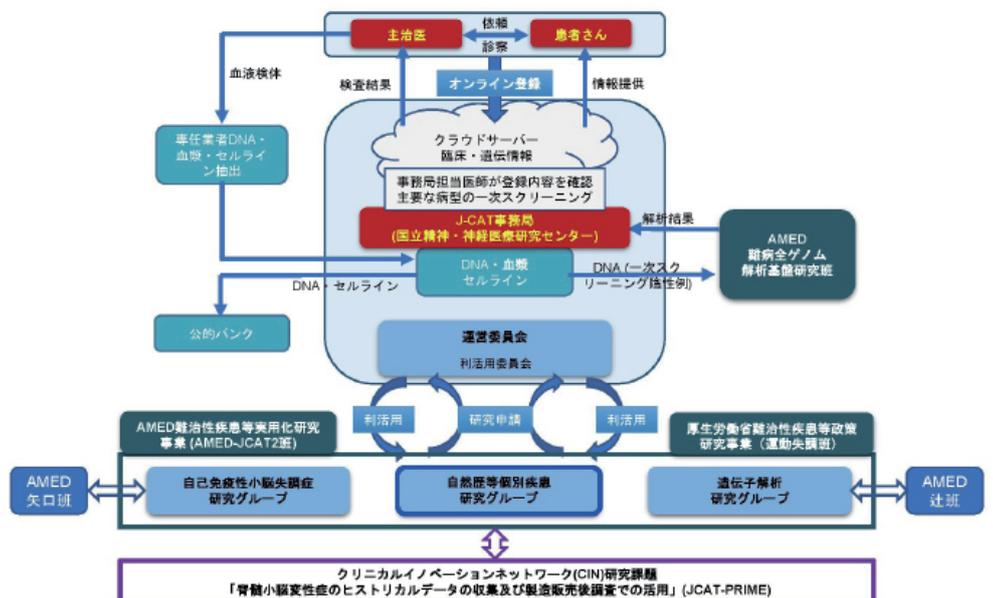
登録いただき、研究基盤をなしています。特に、まれな疾患の治療研究において企業に貢献できる可能性があります。

J-CATの前向き自然歴研究は三つのフェーズに分けています。①厳密な評価基準に基づくJ-CAT PRIME、②電話インタビューによるFARS-ADL調査、③現在準備中のスマホアプリで入力できる形のJ-CAT eProによる調査です。

J-CAT PRIME

企業・大学等・行政(産学官)連携で行っており、J-CATに登録されているSCA6、31の方が対象です。かなり厳密な手順(プロトコル)に従った前向き自然歴研究で、

(図6) J-CAT研究体制



薬の市販後調査に活用可能な信頼性の担保されたデータとなります。

特にSCA 31は日本にしかない病型のため国際的な自然歴が全くなく、我々が明らかにするしかありません。

FARS—ADL

SCDではSARAで治験の評価を行いますが、熟練した脳神経内科医が対面で診察して取得するスコアのため、新型コロナのようなことがあると進捗が止まってしまう。また、生活の質(QOL)の改善にどれだけ影響するかが不明だという批判があります。やはり日常生活動作(ADL)の状態を直接評価し、QOLの改善を確認する指標が重要であるということで、FARS—ADLが開発されました。この指標を活用し、①音声、②嚥下、③食物のカットと食器の取り扱い、④着替え、⑤衛生、⑥転倒、⑦歩行、⑧座位、⑨膀胱機能について電話インタビューを行っています。

このプロジェクトには既に300人近い方が参加しておられ、半年に1度、インタビューにお答えいただいています。現在、3年間継続してご協力いただいている方が86人いらっしゃいます。

結果を経時的に見ることで、前向き自然歴のデータが取れてきています。来院せずに電話で答えられるという簡便性を活かし、多数例の調査に基づく精度の高いデータを出していきたいと思っています。

ただ、電話インタビューであるゆえの問題点もあります。構音障害のある患者さんは、電話インタビューに答えること自体のハードルが高い、というのが一番大きな問題です。また、電話がかかってくる時間帯に在宅している必要がありますが、電話が繋がらないこともあります。

J—CAT ePro

さらに簡便な方法を模索し、電話インタビューの手順をそのままスマホで回答する、J—CAT eProというアプリを開発しました。

このアプリは、J—CAT登録者だけが参

加できるため、個人情報登録する必要がないのでセキュリティ面でも安全です。現在、NCNPの患者さんに実際に使用してもらっています。大体は対面診察との差異はありませんが、アプリの使い方に慣れていない方もいらっしゃるのが課題ではあります。

脳神経内科医が行う対面での評価と患者さんご自身で入力される場合に食い違うのが構音です。

脳神経内科医が「大体聞き取れる」と評価した場合でも、患者さんとしては全然しゃべれていないとされていて、点数を悪くしてしまう、ということがわかりました。ご自身は非常に困難を感じていらっしゃるということを改めて感じましたが、逆に言えば、患者さんが気にされているほどは聞き取れないわけではないということになるのかもしれない。

この辺のズレをどうするかということは今後の課題ですが、アプリで得たデータは、治験を設計する際に参考にするといった使い方をするので、ざっくりとした形でもたくさんの方に参加していただくことを目標に、2026年度以降、本格的に進めていきたいと思っています。

SARAとの相関関係では電話インタビューのほうが明らかに良いことがわかっていますが、多数の患者さんを対象にするには費用がかさむことが課題でもあり、アプリと相互補完的に進めていきたいと考えています。

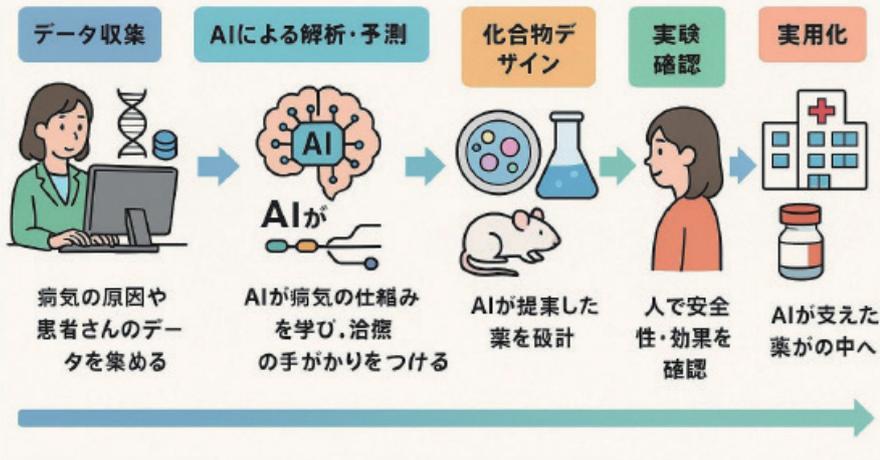
AI創薬

創薬開発の最前線では、人工知能(AI)の活用が進んでおり、創薬に革命をもたらしつつあります。2024年のノーベル化学賞は、タンパク質の構造を解析・予測するAIであるAlphaFold2の開発に貢献した研究者に贈られました。

タンパク質の構造というのは非常に複雑なのですが、AlphaFold2は、この構造をほぼ正確に予測できます。創薬ターゲット分子の弱点を特定し、機能を抑えるか、または逆に活性化するかということを想定できます。これは創薬にとって極めて重要な情報で、創薬

治療法開発の最前線～AI創薬～

AI創薬パイプライン



ChatGPT5_20251030

開発の速度を飛躍的に高めることが期待されています。



AIは、ターゲットの同定→創薬分子の設計(AlphaFold2)→臨床試験→市販後調査という流れで活用されています(図7)。

まずは、たくさんの患者さんからデータを収集する。ここが創薬において極めて重要です。

そしてAIを活用し大規模なデータを解析する、さらにAIが創薬シーズを見つけ出して化合物のデザインを提案してくれる、これを臨床試験に生かしていくという流れが、創薬研究の最前線です。

NCNPでも、創薬開発を目的とした産学

官連携研究開発が2020年度から2024年度まで動いていました。

アカデミアグループが患者さんの生体分子を網羅的に解析したオミックスデータを集め、企業が創薬に活用できるデータベースを作りました。NCNPのバイオバンクには患者さんの髄液や血漿を保管しており、これまで多くの方にご協力いただいて蓄積してきました。これを活用し、オミックス研究を進めてきました。

オミックス研究は、タンパク質や脂質といったものを網羅的に調べてデータを取るもの

です。例えば、1万以上の種類のタンパク質のデータから患者さんと健常の方との比較を5年間行い、創薬開発の基盤を整えてきました。これを使用し、SCD・MSAを対象としたAI創薬の研究が2025年8月から開始されています。

YouTubeで視聴可能

この医療講演会は会員限定です。外部への配信を禁じます。なお予告なく配信を終了することがあります。



質疑応答

Q 治験期間は。

A 患者さんお一人の治験のフォローアップ期間は、半年から1年程度です。患者さんは順次エントリーしていくので、全患者さんのフォローアップが終わるまでには、全体で3年程度の期間が想定されます。

Q J-CAT登録者が治験対象になりやすいか。

A J-CATの登録が治験参加の直接的な条件になることは現時点ではありません。しかし、治験の計画を立てる上で、J-CATの情報は非常に役立ちます。

特に、まれな疾患では企業に対して積極的な情報共有が必要になってくると思います。

Q 登録情報の変更、更新について。

A 転居などで主治医が変わった場合、患者さん本人やご家族から現在の主治医に相談のうえ、情報を更新することが重要です。J-CAT事務局に連絡すれば変更が可能です。

Q 遺伝性疾患の治療効果が孤発性に適用できるか。

A その治療の作用機序によって2パターンあります。

①遺伝子変異そのものに作用する治療(例:ポリグルタミンの凝集を防ぐ「L-アルギニン治療」など)は、その原因を持つ患者のみが対象となります。

②病態全般の抑制に作用する治療薬(例:グルタミン酸による神経毒性を抑制する「トロリルゾール」)であれば、SCD全体に使える治療薬になり得ると考えられます。

病態そのものを抑制する治療が開発されたら状況は相当変わってきます。開発された後は、いかに早期診断、早期治療開始できるかという次のフェーズの研究が進んで行くことになると思います。

ただ、どの時点をもって発症とするかという問題もあります。例えばALSでは同じ原因を持っていても発症年齢に開きがあります。20歳の時点で変異を持っているとわかった時に、年間2千万円くらいかかる治療をすぐに始めるべきなのか。変異を持っているも70歳まで発症しないかもしれないし、30歳で発症するかもしれないという、判断がつかない状態で治療を始めるのかどうかという議論が始まっています。

この場合は、バイオマーカーが指標になってきます。症状が出ていない段階でも、マーカーが上がってきた時点で発症していると考え、治療を開始するという時代がそのうち来ると思います。SCDでも同様です。

Q 早期治療の経済的負担軽減のために、難病認定・助成の重症度分類(現在3以上が認定基準)の見直しが必要。脳神経内科医側での議論はあるか。

A ゲームチェンジャーとなる治療薬が開発・確立されることが先決であり、そこにかかってくる話だと思います。この治療薬によって確実に進行を抑制できるというエビデンスが確立されれば、早期に抑制した方が医療費の抑制にも繋がるという議論が可能になり、話は変わってくると考えられます。

Q リハビリについて。

A 有酸素運動の重要性が再認識されています。患者さんの状態に合わせた強度で行うことがポジティブな効果をもたらします。息切れが強くない程度の強度で、毎日継続できるレベルで行うことです。

継続のコツはハードルを上げすぎず「もうちょっとやりたい」という気持ちを明日に残す程度で止めることです。

編集後記

●いつもならコンパクトに収まる総会特集号が16ページになりました。

●高橋先生の講演。とくに前半の「難病の原因に直接働きかける薬で実用化されたものもあり、私たちの治験もいくつか始まっている」というお話にはとても勇気づけられました。

●しかし効果があっても1年程度の治験期間では顕著な成績が表れにくく、なかなか承認されないこと。また他の先生からは、研究のために私たちが提出している臨個票のデータを使いたいと国に申し出ても、入手するのに1年以上かかるとも聞きました。これではいけません。それだけ新薬が遅れます。

●今年もまた厚労省への要望活動を行います。一日も早く新薬を使えるように、安心して療養できるように、患者や家族の切実な思いを届けます。みなさんのお声を連絡協議会までお寄せください。(S・M)