

2021年10月14日

報道機関 各位

## 国指定難病「成人発症スチル病」に対する 5-アミノレブリン酸（5-ALA）投与の 医師主導治験がAMEDに採択され、スタート

2021年10月、長崎大学大学院医歯薬学総合研究科長 川上純（あつし）教授（リウマチ・膠原病内科学分野）を研究開発代表者とする医師主導治験が、日本医療研究開発機構（AMED）の難治性疾患実用化研究事業に採択され、スタートしました。

医師主導治験のテーマは、成人発症スチル病に対する5-アミノレブリン酸（5-ALA）投与の効果を調べるものです。成人発症スチル病は、いくつもの関節が痛み、皮膚の発疹、40℃に達する高熱などの症状を持つ病気で、国の難病に指定されています。

現在、治療法は限られており、半数以上の患者さんは関節の痛みなどの症状が長期化する傾向にあることから、日常生活に不可欠な動作が不自由になり、生活の質の低下を招いています。ほとんどの患者さんはステロイド薬を内服されており、ステロイド薬の長期服用により、糖尿病や動脈硬化、骨粗しょう症などを併発することもあります。このように既存治療では効果が不十分な患者さんにとって、新たな治療薬の研究、開発が強く求められています。

この病気に対する5-ALAの効用については、既に動物実験レベルで抗炎症作用や組織障害抑制作用に期待が持てる結果を得られ、治療薬の候補になりうると考えられたことから、日本医療研究開発機構（AMED）の難治性疾患実用化研究事業に応募、採択されました。今後、3年にわたり、総額3億円の予算で研究開発が進められ、治療薬としての承認を目指します。

5-ALA製剤は機能性表示食品として広く用いられ、一般的な安全性が高いため、新たな治療薬として開発できれば、ステロイド薬投与の減量や中止も期待できます。

研究開発代表者の川上純教授は「5-ALAを成人発症スチル病のスタンダード治療薬にしたいと考えており、医師主導治験に全力で取り組みます」と、この研究にかける意気込みを語っています。