

令和元年6月8日

療育研修会

演題：筋疾患治療の進歩

講師：独立行政法人 国立病院機構 南九州病院

統括診療部長 園田至人 先生



「プロフィール」

昭和61年 鹿児島大学医学部 卒業
昭和61年 鹿児島大学付属病院 第三内科入局
平成12年 英国Oxford 第学 分子医学研究所 留学
平成13年 国立療養所 南九州病院 神経内科医長
平成21年 国立病院機構 南九州病院 臨床研究部長
平成29年 国立病院機構 南九州病院 統括診療部長 現在に至る

「学会等」

日本内科学会 総合内科専門医 ・ 日本神経学会 専門医、指導医
大学医学部 臨床教授

筋疾患の多くは遺伝子の疾患であり、筋ジストロフィーはその中の大部分を占めている。

Duchenne 型、Becker 型発症の原因は蛋白ジストロフィンであると判明してから30年以上の年月が過ぎた。当初は治療に直結すると大きな期待が寄せられたが、現在も完治する治療方法は見つかっていない。しかし、着実に研究は進歩している。そこで今回現時点での治療研究についてお話ししたいと思います。

筋ジストロフィー遺伝子により発症する。その病態は車に例えると①設計図（遺伝子）の異常→②設計図の異常により部品（例えばジストロフィン）に不備が生じる→③故障する（筋肉の崩壊）→④動かなくなる（筋力低下）と表現することが出来る。

現在①～④のそれぞれの段階での治療法が研究応用されつつある。まず④の筋力低下に対しては他の動力を駆使して動きやすくしてくれる治療として HAL が考案されている。これは筋電図を感知し動力を開始することで随意運動を補助してくれる医療機器である。現在リハビリに應用されている。③に対しては筋肉の崩壊するスピード以上に再生を促すことが出来れば治療法となり得る。これには抗マイオスタチン療法が検討されている。マイオスタチンは筋肉形成を抑制する因子で、その働きを阻害することで筋肉量の増加が期待できる。②に対しては不備な部品を交換できれば良い。つまり再生医療（iPS 細胞）により正常の機能をもつ部品（筋肉）にすることができれば治療可能となる。①に対しての対策は遺伝子治療である。現在、期待されている遺伝子治療は Duchenne 型を Becker 型へ変化させる方法（エクソンスキッピング、リードスルー誘導）が期待されている。また近年は遺伝子そのものを操作して完全に治癒させようとするゲノム編集（CRISPR-CAS9）も試みようとしている。

上記以外、筋ジストロフィーのタイプ別では GNE ミヨパチーへのシアル酸治療や福山型筋ジストロフィーや筋強直性ジストロフィーに対するアンチセンス核酸治療等が考案され現在研究が進んでいる状況です。20年前には有効な治療法はないとされた筋ジストロフィーだが、必ず治療法は確立されると言える時代になったと感じる事が出来る。

今後の研究の進歩を期待し、1日も早く患者さんのもとに朗報を届けられることを願っている。

療育研修会実施状況

鹿児島県 支部

参加数 80 名

実施場所 BWリゾートホテル鹿児島リゾート



実施を終えて

(参加者の感想等 具体的に)

今日までの筋ジストロフィーについての研究が今ほどまで
進んでいるのか、今までの様な臨床試験が
行われているのか、又これからの治療方法、及び
最新の研究についてわかりやすく説明がありました

(実施担当者としての感想・反省等)

多くの会員及び一般の方も参加して頂き
大変有意義な研修会になった。

