

京都市委託事業 難病患者医療講演・相談会

多系統萎縮症の基礎知識
－病気の基本的特徴と最近の治験について－

2025年11月9日（日）13：30～16：30
ハートピア京都3階 大会議室

京都市委託事業

難病患者医療講演・相談会

講演内容

『多系統萎縮症』

日時 2025年 11月 9日(日) 13:30~16:30 (受付 13:00~)

講師 京都府立医科大学 名誉教授

京都府参与 中川 正法先生

交流会 講演終了後 14:20~

個別相談 個別相談はありません。

定員 60名 要予約 申込受付は10月15日(水)～10月31日(金)

各種感染症等拡大防止のため、定員を設けております。

参加ご希望の方は、必ず京都難病連へ電話でお申し込みください。

疾病を抱える患者さんの集まりです、マスクの着用をお願いいたします。

会場 ハートピア京都 3階 大会議室

京都府立総合社会福祉会館

〒604-0874 京都市中京区竹屋町通烏丸東入る清水町375番地

主催 NPO法人京都難病連

申込み・お問合せ TEL 075-822-2691(平日10:00~16:00)

多系統萎縮症の基礎知識

—病気の基本的特徴と最近の治験について—

京都市委託事業 難病患者医療講演・相談会

令和7年11月9日(日) 13時30分

ハートピア京都 (京都府立総合社会福祉会館) 3階

京都府立医科大学名誉教授
京都府参与

中川 正法



難病患者医療講演

▶ 開催挨拶 :

主催 : NPO法人京都難病連
代表理事 北村



▶ 講師 :

京都府立医科大学名誉教授
京都府参与 中川 正法先生

現職

京都府立医科大学 副学長
京都府立医科大学附属北部医療センター病院長
京都府立医科大学大学院医療フロンティア展開学 教授
京都府立医科大学付属病院 遺伝子診療部 遺伝相談室室長

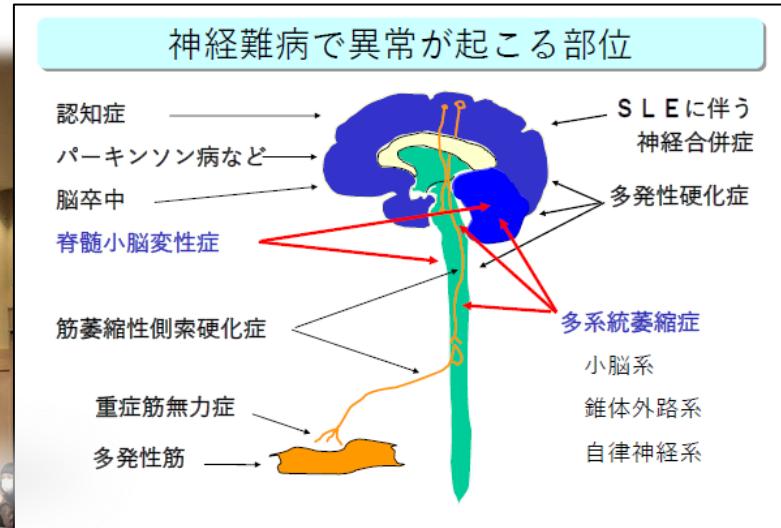
専門領域 神経内科学 臨床遺伝学

1978年鹿児島大学医学部卒業
1978年鹿児島大学医学部附属病院第三内科（井形昭弘教授）（研修医）
1980～1981年国立療養所南九州病院（神経内科医）
1982～1984年コロンビア大学（アメリカ合衆国）医学部神経学教室研究員
1987～1990年国立療養所沖縄病院（神経内科医）
1993～2002年鹿児島大学医学部附属病院第三内科（納光弘教授）（講師）
2002年10月～2013年3月京都府立医科大学大学院医学研究科 神経内科学 教授
2013年4月～京都府立医科大学附属北部医療センター病院長
2013年11月京都府立医科大学大学院医療フロンティア展開学 教授
2015年4月～京都府立医科大学 副学長



難病患者医療講演

27名参加_13：38～



多系統萎縮症 multiple system atrophy (MSA)

指定難病 17

- 小脳系、錐体外路系、自律神経系などの複数の機能系が、同時に変性病変を示す疾患。
- 臨床症状（運動失調、パーキンソン症状、立ちくらみ、便秘、排尿障害など）と頭部MRIによる画像所見から診断する。

小脳系：体のバランス・言葉の流暢性

錐体外路系：パーキンソン症状、姿勢異常、不随意運動

自律神経系：排尿障害、便秘、立ち眩み、発汗障害

- オリーブ橋小脳萎縮症 OPCA (MSA-C)
- 線条体黒質変性症 SND (MSA-P)
- シャイ・ドレーガー症候群 SDS

多系統萎縮症の治療 一薬物療法一

- 運動失調症状
甲状腺刺激ホルモン放出ホルモン (TRH)
 - 酒石酸プロチレリン (ヒルトニン®など)
 - TRH誘導体
 - タルチレリン水和物 (セレジスト®)
- パーキンソン症状 抗パーキンソン病薬
- 錐体路症状 筋弛緩薬 (筋肉の突っ張りを和らげる薬)
- 自律神経症状 自律神経調整薬 (起立性低血圧 排尿障害などに対する薬)

難病患者医療講演

～医薬品開発：臨床試験～



医薬品開発の大まかな流れ

基礎研究：2～3年 試験管レベル、AIの利用

非臨床試験：3～5年 マウス・ラット、サルなど

臨床試験：3～7年 健康成人または患者本人

申請・審査：1～2年 PMDAでの審査

販売・市販後調査

期間	2000～2004年	2005～2009年	2010～2014年	2015～2019年
非臨床試験の開始に至った確率	1/2,158	1/3,213	1/3,748	1/3,740
臨床試験の開始に至った確率	1/3,653	1/8,698	1/9,622	1/10,301
承認申請を通過した確率	1/12,888	1/31,064	1/24,553	1/22,749

臨床試験の概要

第I相臨床試験（Phase I）（安全性試験）

少人数の健康成人で少量から少しずつ「候補薬」の投与量を増やして安全性を調べる。
血液中や尿中の「候補薬」の体内動態を調べる。プラセボ（偽薬）を同時に使って比較することもある。
患者から治験を始める方が適当な場合は有効性についても予備的に調べることができる。

第II相臨床試験（Phase II）（探索的試験）

比較的少人数の患者について、有効性、安全性、投与量・間隔・期間などを調べる。
プラセボを用いるのが一般的。標準的な薬がある場合にはそれと比較することもある。

第III相臨床試験（Phase III）（検証的試験）

多数の患者について、有効性、安全性、投与法を最終的に確認する。
確認の方法は、現在使われている標準的な薬またはプラセボとの比較となる。
長期間使用したときの有効性や安全性を調べることもある。
試験を偏りなく行うために、治験に参加する患者をどの処置に割り付けるかは、
くじを引くような方法で決め（無作為化割り付け）、さらに「二重盲検法」が採られることが多い。

以上の3つのステップを行った上で、「薬」を開発している製薬企業が国（厚生労働省）に申請する。

国（厚生労働省）の厳正な審査をパスし、承認されることによって初めて、「候補薬」が「薬」となり、保険収載される。

難病患者医療講演

～多系統萎縮症の治験①～

多系統萎縮症の治験①

ルンドベック・ジャパン株式会社

2025年6月26日 プレスリリース

東京都港区虎ノ門
四丁目1番17号 神谷町プライムプレイス

E-mail : yuok@lundbeck.com
Tel : 070-7538-5301
www.lundbeck.co.jp



ルンドベック社はボストンで開催 International MSA Congressにおいて、多系統萎縮症の進行に関するパイプラインデータと重要な知見を発表

ルンドベック・ジャパン、「Lu AF82422」(amlenetug : アムレネタッグ) の日本での第Ⅲ相 MASCOT 試験を開始

多系統萎縮症の治験①

「Lu AF82422」(amlenetug : アムレネタッグ) はルンドベックとGenmab A/S社との共同研究により開発されたヒトモノクローナル抗体で、細胞外 α -シヌクレインの全ての主要な形態を認識し結合することにより、 α -シヌクレインの取り込みを阻害し、凝集の伝播を抑制し、MSAの進行を抑制する可能性のある抗体治療薬。

2025年2月28日付で厚労省から希少疾病用医薬品の指定を受けている。

臨床試験:

米国と日本で第Ⅱ相臨床試験が行われ、有効性のシグナルが観察された。現在、グローバル第Ⅲ相臨床試験 (MASCOT) が進行中で、日本でも試験実施が準備中。4週間ごとに点滴静注で投与。

多系統萎縮症の治験①

MASCOT 試験について

MASCOT (NCT06706622) は、第Ⅲ相、介入、ランダム化、二重盲検、並行群間、プラセボ対照試験に、任意の非盲検継続試験を加えた形で、北米、欧州、アジア、オーストラリアで実施されます。

患者さんを高用量または低用量の amlenetug またはプラセボのいずれかに無作為に割り付け、72週間投与する二重盲検期間と、試験に登録されたすべての患者さんに amlenetug による治療を提供する非盲検継続期間です。

本試験の目的は、MSA 患者さんにおける amlenetug の有効性、安全性、忍容性の評価です。

難病ネットワークインフォメーションHPなどより

難病患者医療講演

～多系統萎縮症の治験②③～

多系統萎縮症の治験②

9月15日】SCD・MSA医療講演会・相談会『令和7年度医療講演会・相談会』

■ 開催日時 2025年9月15日（月・祝）13:00～16:30

■ 場所 【会場】品川きゅりあん 7階 イベントホール/
【オンライン】Youtube Live 動画配信

■ 内容

【医療講演会】13:00～14:00

講師 辻省次先生（東京大学 医学部附属病院 脳神経内科 名誉教授
国際医療福祉大学 特任教授）

第Ⅱ相試験で高容量ユビキノール1500mg/日投与の有効性が示された

現在、第Ⅲ相試験を準備中

多系統萎縮症の治験③

多系統萎縮症

JRCT2031250249

多系統萎縮症 患者を対象にYA-101の安全性、忍容性、薬物動態及び有効性を評価する二重盲検、プラセボ対照、多施設共同、第Ⅱ相、用量漸増試験

東京都 男性・女性 30～

多系統萎縮症

JRCT2021240058

多系統萎縮症 患者を対象としたTEV-56286の多施設共同、二重盲検、無作為化、プラセボ対照、並行群間第2相試験

宮城県、千葉県、東京都、神奈川県、新潟県、岐阜県、兵庫県 男性・女性 30～

これら2治験はともに第Ⅱ相試験

難病治験ウェブHPより <https://nanbyo-chiken.nibn.go.jp/>

難病患者医療講演

～多系統萎縮症のリハビリテーション～

多系統萎縮症のリハビリテーション

- ① 廃用症候群の回復および予防
- ② 筋力増強による協調運動やバランス改善
- ③ 活動による覚醒レベルの改善
- ④ 反復訓練による協調運動の改善
- ⑤ 弾力帯やおもり負荷による協調運動やバランスの改善
- ⑥ 低周波刺激などの物理療法による筋の収縮能の改善
- ⑦ 後頭部への経頭蓋磁気刺激による失調症状の改善
(非保険適応)
- ⑧ 足底板を使用した歩行時のバランス能の向上

III

協調運動やバランス能へのリハビリテーション

1 筋力増強

仮に筋力が正常であってもさらに増強訓練をすることにより、筋の共同収縮能力の向上をはかることができ、ふらついた時のふんばりがきくようになり、バランス能力の改善がみられます。



2 反復訓練

四肢では、抵抗が少ない反復運動を繰り返すことで、細かい運動を行なうことができるようになります。反復訓練は協調運動障害でも効果が期待されます。



3 弾力帯やおもり負荷

運動するとき、四肢に弾力帯^{*A}を巻いたり、おもり負荷をすると、筋・腱・関節などにある固有受容覚^{*B}を刺激し、協調運動の改善がみられることがあります。とくに、小脳からの刺激出力部分の失調に、効果があるとされています。



* A…弾力帯：弾力性のある布製の帯(緊縛帶)。

* B…固有受容覚：手や足を動かしたときに、直接認知することができる筋肉内にある筋紡錘などの感覺装置。

両足首におもり負荷をし、腰部には弾力帯も装着

4 活動による覚醒レベルの低下の改善

小脳からの情報と大脳辺縁系^{*A}が関連して機能を活発にさせるといわれており、小脳の活動を活発にすることで低下ぎみだった覚醒レベルが上がります。そして、運動を遂行するのに必要な注意力や集中力が出てくると推測されています。

* A…大脳辺縁系：本能的行動・情動・自律機能・臭覚をつかさどる部分。



5 低周波刺激

下肢の筋へ20Hz位で痛みを感じない程度の低周波刺激を与えると、歩行のばらつきが一時的に改善されることがあります。正常な人の例ですが、3ヶ月間にわたり間歇的に低周波刺激を筋に与えると、筋力と筋量が20～30%増加したという報告もあります。この方法は、筋力を増強するとともにバランス能の改善にも役立つと考えられています。



6 反復経頭蓋磁気刺激

磁気刺激装置で後頭部に繰り返し磁気を与えると、小脳から大脳への連絡路を刺激して、運動失調症状を改善するといわれています。また覚醒レベルを上げているのではないかという報告もあります。



(全国レベルで只今確認中)

機能回復運動

ここでは、家庭でも安全に行なうことができるリハビリテーションの一部をご紹介します。
毎日続けて行なうことが大切です。

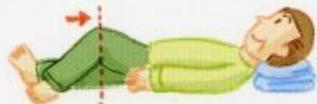
—厚生省(現厚生労働省)特定疾患「難病のケア・システム」調査研究班の編集による脊髄小脳変性症から一部改訂—

基本姿勢



足の動きを見やすくするため、
頭を高くする。

運動 1



①膝を曲げながら、思うところで止める。
2~3度同じところでとめる練習をする。



②膝を伸ばす。(左右交代)

運動 2



①膝を深く曲げて立てる。



②膝を外へ倒す。



③膝を起こす。



④膝を伸ばす。(左右交代)

*しっかりとした支えの横棒をセットしておく

運動 3



①椅子に腰かけ、両手を伸ばして支えにつかまる。



②両足をできるだけ手前(椅子の下)に引く。



③体を前に倒し、足に重心をかける。



④膝を伸ばし、支えを引き下げて立ち上がる。



⑤上体を上に曲げる。



⑥ゆっくりと膝と腰を曲げて腰かける。



⑦上体を起こす。



⑧足を前に出す。

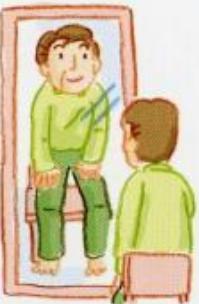
運動 4



床の上にいくつかの点を書き、
かかとでその点を次々に指す。
(左右交代)

もっと身近なリハビリテーション

できるだけ座ったり立ったりする時間を増やしましょう。座ったり立ったりするときには鏡を利用して、身体の位置や動きを目で確認しながら意識して行なってください。また立ち上がるときは、手すりを使わないようにしましょう。手すりを使用したとしてもあまり力をかけないようにしたいものです。



鏡の前で立ち上がる
立ち上がったら、片方の脚から片方の脚へ体重を移動させるバランスの練習を行いましょう。



立ち上がってバランス訓練
片方の下肢をゆっくりと前後に踏み出す練習。



支えを使って片方の脚だけで立ってみましょう。



文字を書いたり、食事動作の練習もしましょう。



脊髄小脳変性症のリハビリテーションでは、自分がどのような姿勢でその動作を行なっているのかをつねに意識することが重要です。また、これらの練習を一日数回に分けて毎日行なうことも大切です。姿勢や位置関係など、自分の持っている感覚のす



手すりや平行棒などを使った歩行訓練。

しゃがみこみ立ち上がり
手にあまり体重をかけずに、ゆっくりと膝の曲げ伸ばしを行いましょう。

爪先立ち
姿勢をまっすぐにして背伸びをしましょう。

嚥下訓練

食事の前に、首や肩、舌・口などを動かすことで飲み込みやすくなります。



首を回す
ゆっくりと左右に首を回したり、前後に首を曲げましょう。



肩の上げ下げ
両肩をすばめるようにして上げてから、ずっと力を抜いてみましょう。



喉の訓練
手で喉仏を触りながら、ゴクンと飲み込みを行ない、喉仏が一番上がったところで数秒間止めてみましょう。



舌を動かす
舌を出したり、引っ込めたり、左右の口角をさわってみましょう。



押し運動
机や壁などを強く押しながら一瞬息を止めた後に「ア」「エ」「ウ」など声を出してみましょう。



のどのアイスマッサージ
氷で先を冷やしたスプーンや割りばしの先にガーゼや綿花を巻いて、水をひたして冷蔵庫で凍らせたものを口の中に入れ、舌根部や奥舌などを軽くなでるように刺激してみましょう。

難病患者医療講演

多系統萎縮症の病状の見通し（予後）

1) 各病型で異なり一概にはいえない。

- ・皮質性小脳萎縮症

進行は非常に遅く、生命予後も極めて良好

- ・MSA：とくにOPCA

進行が著しく速く、数年で寝たきりになることもある。

起立性低血圧（立位・坐位で血圧低下）

呼吸器感染症・排尿障害による尿路感染症

睡眠時無呼吸・突然死：NPPVの導入

2) 一般的に失調性歩行のため転倒しやすい。

転倒・骨折を契機にベッド上安静となり、病像の悪化を見ることがある。

日常生活のちょっとした工夫

- 出来るだけ今まで通りの生活スタイルを保つ
- 家族内での役割の大切にする
- 家族内での会話を大切にする（病状についても話し合う）
- 家の中で転倒しないように廊下などを広く使えるようにする
- 廊下などに歩幅に合わせて横線を引いておく
- 廊下、トイレ、お風呂に手すりをつける
- 食事の時は、ゆっくりと楽しく食べる
- お箸が使いにくい時はスプーンなどを早めに使用する
- 衣類は着脱しやすいものにする
- 病状日記をつけて自分の調子の良い時間帯を知っておく
- 体が動きやすい時間帯に体操などをする
- 主治医とのコミュニケーションを充分に

難病患者医療講演

コミュニケーション障害支援機器

神経・筋疾患のコミュニケーション障害に対応する
支援機器を 障害の状態や生活にあわせて選択する

障害者総合支援法の対象

保健師、言語療法士、作業療法士、看護師、医師との連携

- ▶ 精神的なストレスが、非常に体の動きを悪くします。
- ▶ ですから介護する側も時間的な余裕、気持ちの余裕が大事です。
- ▶ 102歳のお母さんを70歳の娘さんが殺害したとありましたが、絶対自分で溜め込みます、他人に家の中に入ってくれるのは嫌だと言う方いらっしゃいますが、そういう事を言っていてお互いが潰れてしましますので、是非、いろいろな介護保険なり、ヘルパーさん、いろいろな事を使っていろいろな人の手助けを、するようにしてください。

介護者の対応の基本

- 多系統萎縮症の病気の特徴を充分に理解して頂く
早く動きたくても動けない
急に身体が動かなくなる
精神的なストレスが身体の動きを悪くする
- 常に時間と気持ちと余裕をもって患者さんと接する
- 出来るだけ患者さん本人にしてもらうように“見守る”
着替え、食事、入浴など
- ただし、患者さん本人が“しんどそう”な時は手助けする
- 介護を1人で背負い込まないようにする
介護保険などの活用、保健所への相談

難病患者医療講演

～14：10



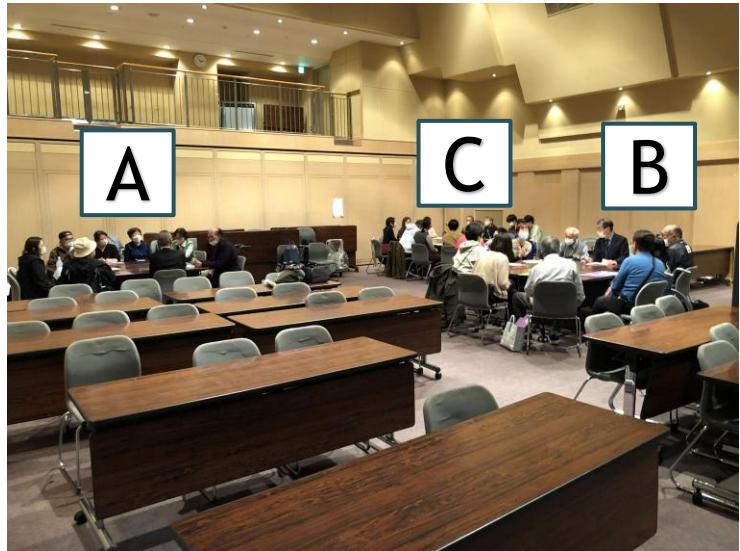
少しづつ候補の薬が出てきます。
諦めずに希望を持って毎日の療養
に務めていただければと思います。

The screenshot shows the homepage of the National Spinal Cord and Brain Atrophy MSA Friends' Association. The top navigation bar includes links for spinal cord and brain atrophy, event information, and the association's friends' group. There is also a text size adjustment slider, a support button, a join button, and a login button. Below the navigation, there is a graphic of several people with Japanese text overlaid: "ある あさらざ あきらめず". A message below the graphic states: "全国脊髄小脳変性症(SCD)・多系統萎縮症(MSA)友の会はあなたと同じ病気の患者・家族の集まりです。". The footer contains contact information: address (〒170-0004 東京都豊島区北大塚2-7-2), phone number (電話: 03-3949-4036), fax number (FAX: 03-3949-4112), and a website URL (<http://homepage3.nifty.com/jscda/page01-scd.htm>).

多系統萎縮症の研究は
世界中で精力的に行われています。
希望を持って毎日の療養に努めましょう！

難病患者・家族交流会

25名参加_14：40～



ABCの3グループに分けて交流会を実施。
中川先生には順番にグループを回っていただきました

