

厚生労働科学研究費補助金
難治性疾患等克服研究事業（難治性疾患克服研究事業）
分担研究報告書

ミトコンドリア病に対するピルビン酸ナトリウム治療法に関する研究

研究分担者 但馬 剛 広島大学医歯薬保健学研究院 助教

研究要旨

ミトコンドリア脳筋症患者 3 例に対し、ピルビン酸ナトリウム治療の臨床研究を継続中である。KSS の 1 例は心機能悪化のため中止となった。現在 CPE0 と Leigh 脳症症例で研究進行中である。

A．研究目的

ミトコンドリア病においては、現在までのところ治療根拠に基づいた有効性の認められた治療法はない。しかし、近年ピルビン酸ナトリウムの有用性が示唆されており、臨床上的の使用経験の報告もみられる。本研究ではミトコンドリア病の生命予後を改善するため、ピルビン酸ナトリウムによる治療の有用性を評価・確立する。

B．研究方法

ミトコンドリア病患者に対し、ピルビン酸ナトリウムを経口投与する。効果について、血液ガスや乳酸・ピルビン酸値などの検体を用いた検査結果および脳波、心機能などの生理検査、NMDAS/NPMDSを用いた全般改善度のスコアリングにより評価する。

（倫理面への配慮）

本試験では、世界医師会による「ヘルシンキ宣言」及び厚生労働省「臨床研究に関する倫理指針」（平成20年7月31日全部改正）を遵守する。

本試験で用いる薬物は試薬であり、薬剤として承認されたものではない。試験に参加することに、従来の治療と同等もしくはそれ以上の治療が受けられることが期待されるが、一方で薬物の副作用による健康被害が及ぶ可能性がある。その際は研究終了後でもすみやかに適切な処置と治療をもって対応する。試験の実施に際し、担当医師は倫理審査委員会で承認の得られた同意説明文書を被験者に渡し、文書及び口頭による十分な説明を行い、被験者の自由意思による試験への参加についての同意を文書で得る。

C．研究結果

現在研究遂行中である。本年度は昨年度から継続中の2例に加え、Leigh脳症の1例が新規に参加した。昨年度から継続中のKSS1例が心機能低下のため中断した。CPE01例、Leigh脳症1例で研究続行中である。CPE0症例に関しては、脳症様エピソードが3 - 4回/年から1回/年への減少が認められた。

D．考察

CPE0の1例で脳症様エピソードの回数に減少を認めたことが有意な事項かどうか今後さらに検討を進めていきたい。心機能低下のため中断例が存在することから特に心負荷に対しては考慮する必要がある。

E．結論

ミトコンドリア病に対するピルビン酸ナトリウム療法の効果については、さらに症例を集積し包括的に評価する必要がある。心機能を維持していく方法についても検討を要する。

F．研究発表

1. 論文発表
無し
2. 学会発表
無し

G．知的財産権の出願・登録状況
（予定を含む。）

1. 特許取得
無し
2. 実用新案登録
無し
3. その他
無し

