

## 多系統萎縮症に関する研究

研究分担者 辻 省次 東京大学医学部附属病院神経内科

### 研究要旨

多系統萎縮症に対する自然歴の調査、治験を行っていく上で必要となる臨床評価尺度の標準化を行った。今後、信頼性と妥当性の検証を行い、我が国における標準的な臨床評価尺度として、治験や自然歴調査への活用を期待する。

### A. 研究目的

多系統萎縮症（multiple system atrophy, MSA）は、進行性で原因不明の神経変性疾患であり、病態の進行そのものを抑止する有効な治療法が見つかっておらず、新たな治療法の開発が強く望まれている。我々は、CoQ10 補充療法が MSA の病態進行抑制に有効であるという仮説に基づく医師主導治験を計画しており、それを背景にして、患者レジストリーの運用、臨床評価尺度の標準化、自然歴の調査を行っている。

### B. 研究方法

ISPOR タスクフォースのガイドラインに従い、多系統萎縮症統一臨床評価尺度（United Multiple System Atrophy Rating Scale, UMSARS）の日本語訳版完成作業を行った。具体的には原著者に了承を得たうえで、2 種類の順翻訳を統合する調整作業、統合した翻訳版を第三者に英訳してもらった逆翻訳作業、逆翻訳版を原著者にレビューしてもらい、日本語訳を調整する調和作業を行った。

#### （倫理面への配慮）

人を対象とする医学系研究に関する倫理指針（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 3 号）を遵守し、所属施設の研究倫理審査委員会の承認のもと行った。

### C. 研究結果

ISPOR タスクフォースのガイドラインに基づき、UMSARS の日本語訳を完成させた。

### D. 考察

これまで、公開されている UMSARS の日本語訳は 2 種類あり、日本における多施設共同の自然歴調査や治験を行う上での問題の一つになっていた。今回、日本語訳を標準化したことで、多施設共同の多系統萎縮症の臨床研究が促進されることが期待される。

### E. 結論

ISPOR タスクフォースのガイドラインに基づき、UMSARS の日本語訳を完成させた。今後、信頼性と妥当性の検証を行う。我が国における標準的な臨床評価尺度として、治験や自然歴調査への活用が期待される。

### F. 健康危険情報 なし

### G. 研究発表

#### 1. 論文発表

- 1) Walsh RR, Krismer F, Galpern WR, Wenning GK, Low PA, Halliday G, Koroshetz WJ, Holton J, Quinn NP, Rascol O, Shaw LM, Eidelberg D, Bower P, Cummings JL, Abler V, Biedenharn J, Bitan G, Brooks DJ, Brundin P, Fernandez H, Fortier P, Freeman R, Gasser T, Hewitt A, Höglinger GU, Huettelmann MJ, Jensen PH, Jeromin A, Kang UJ, Kaufmann H, Kellerman L, Khurana V, Klockgether T, Kim WS, Langer C, LeWitt P, Masliah E, Meissner W, Melki R, Ostrowitzki S, Piantadosi S, Poewe W, Robertson D, Roemer C, Schenk D,

Schlossmacher M, Schmahmann JD, Seppi K, Shih L, Siderowf A, Stebbins GT, Stefanova N, Tsuji S, Sutton S, Zhang J. Recommendations of the Global Multiple System Atrophy Research Roadmap Meeting. *Neurology*. 2018 Jan 9;90(2):74-82.

- 2) Tsuji S, Mitsui J. Letter re: A genome-wide association study in multiple system atrophy. *Neurology*. 2017 Mar 28;88(13):1296.
- 3) Mitsui J, Koguchi K, Momose T, Takahashi M, Matsukawa T, Yasuda T, Tokushige SI, Ishiura H, Goto J, Nakazaki S, Kondo T, Ito H, Yamamoto Y, Tsuji S. Three-Year Follow-Up of High-Dose Ubiquinol Supplementation in a Case of Familial Multiple System Atrophy with Compound Heterozygous COQ2 Mutations. *Cerebellum*. 2017 Jun;16(3):664-672.

## 2.学会発表

- 1) 近田彩香, 松川敬志, 三井純, 辻省次. 多系統萎縮症の自然歴・予後解析のための単施設後ろ向き調査. 第11回パーキンソン病・運動障害疾患コンgres. 2017年10月28日. 品川プリンスホテル, 東京, 日本.

## H. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

### 1.特許取得

なし

### 2.実用新案登録

なし

### 3.その他