

# L-アルギニン

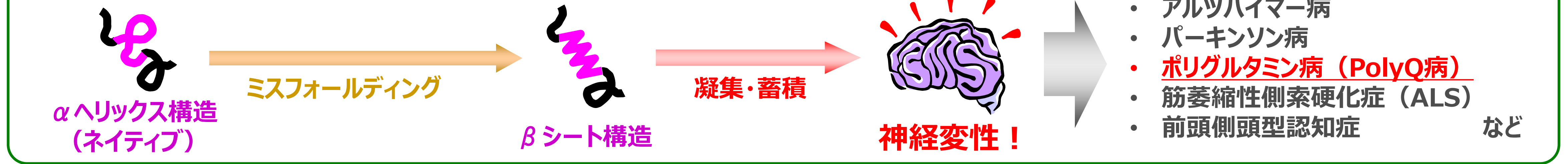
## ～PolyQ病治療剤への応用～

### 発明のポイント

ポリグルタミン病（PolyQ病）の原因となるポリグルタミンタンパク質の凝集に対し、L-アルギニンに高い抑制効果を確認

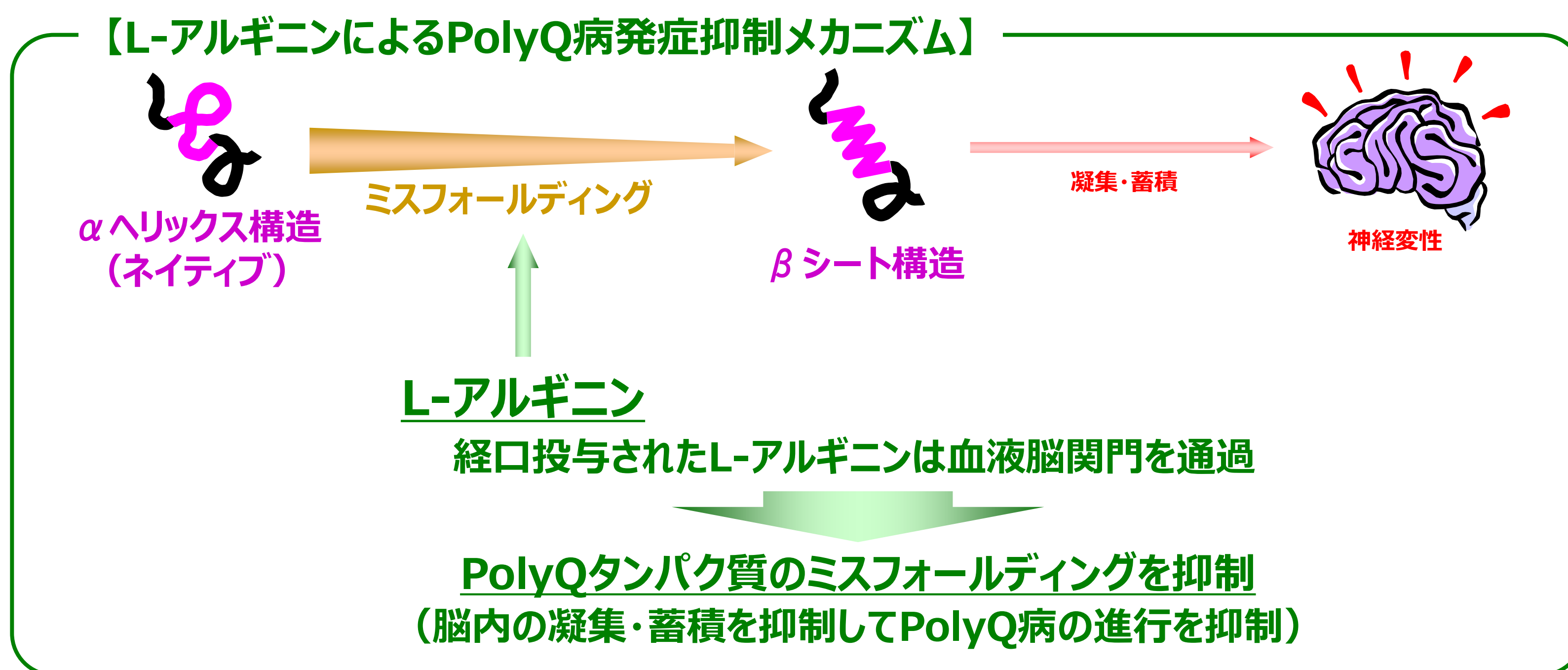
→ PolyQ病治療剤として、L-アルギニンの医師主導治験を実施中

【異常タンパク質による神経変性疾患発症メカニズム】



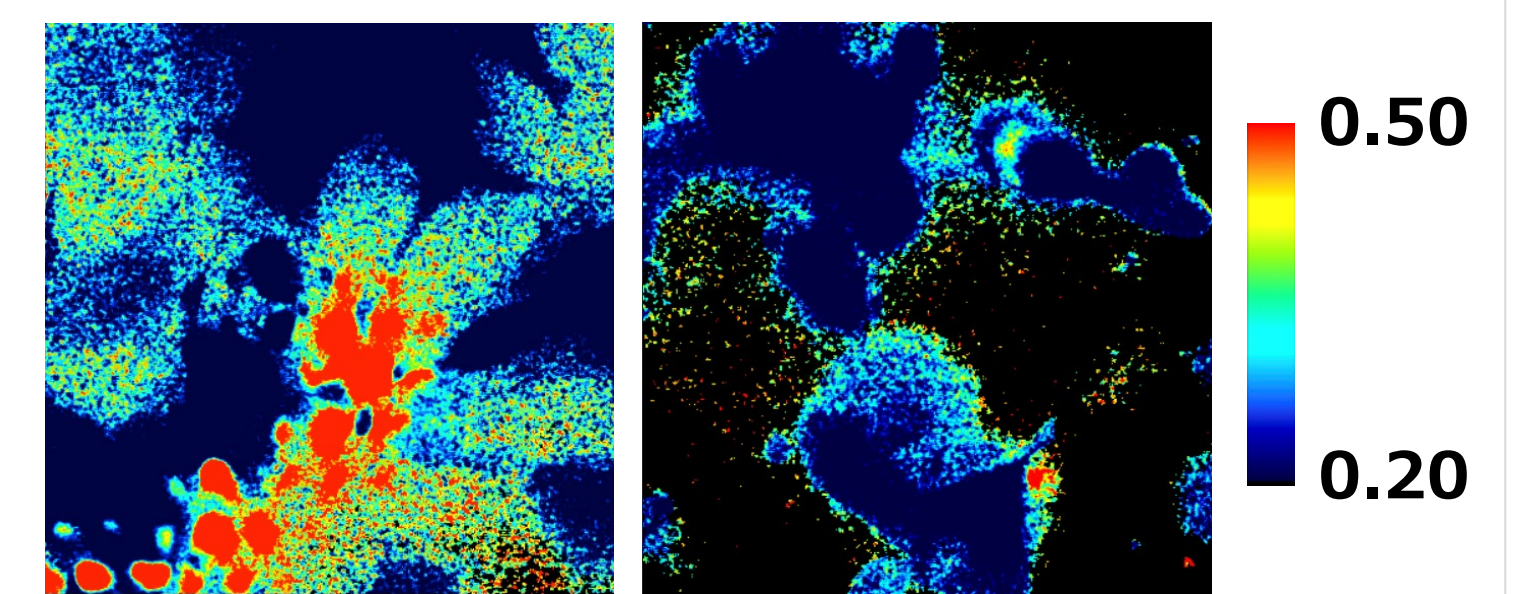
### 発明の概要

L-アルギニン：PolyQタンパク質のミスフォールディングを抑制し、脳内での凝集・蓄積を減少



Brain 2020, 143, 1811-1825

L-アルギニンによる  
PolyQタンパク質凝集・蓄積抑制効果



蛍光タンパクによるCOS-7細胞の様子  
(左：無処理、右：L-アルギニン処理後)

L-アルギニン処理により、  
タンパク質の蓄積が減少

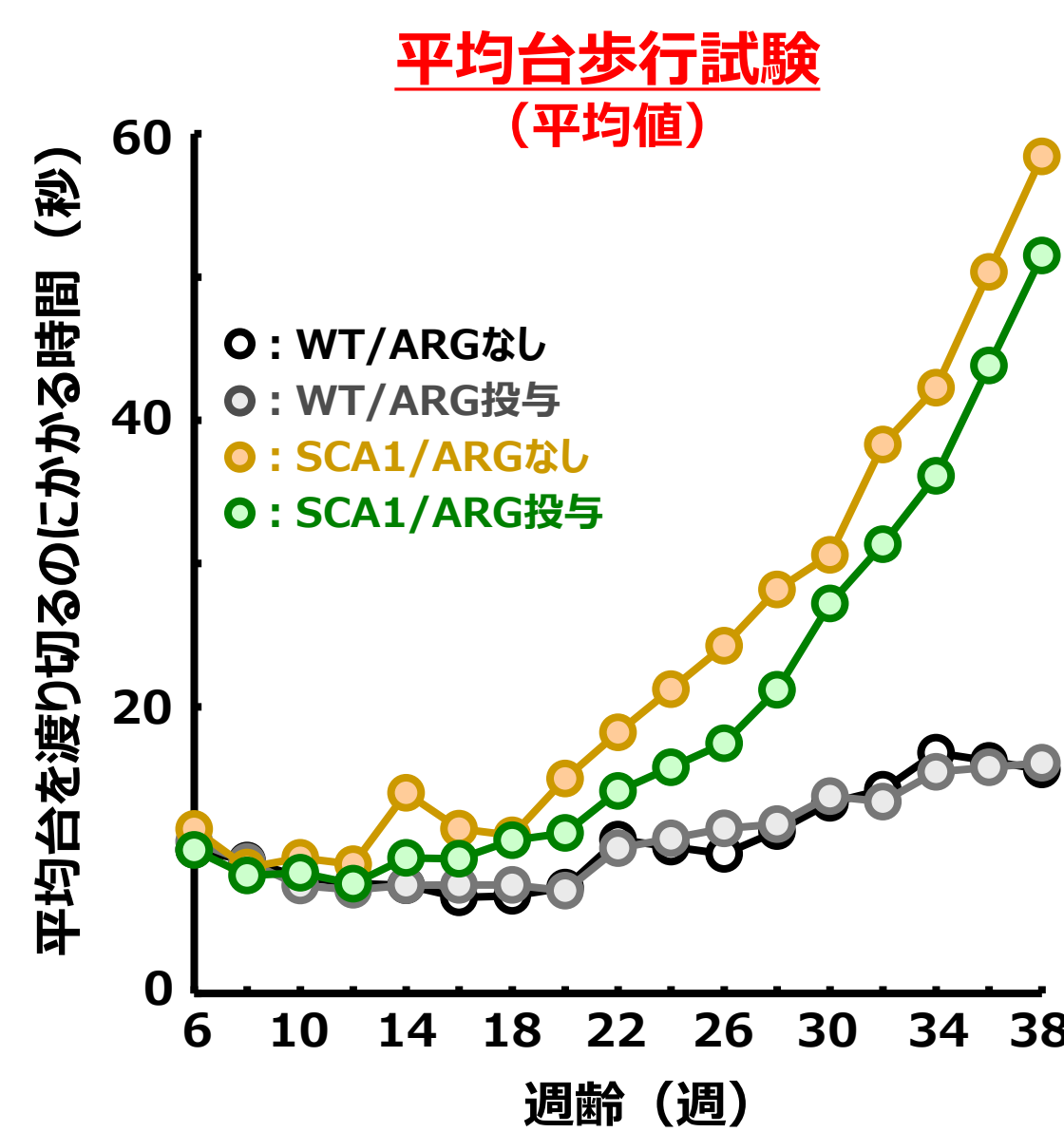
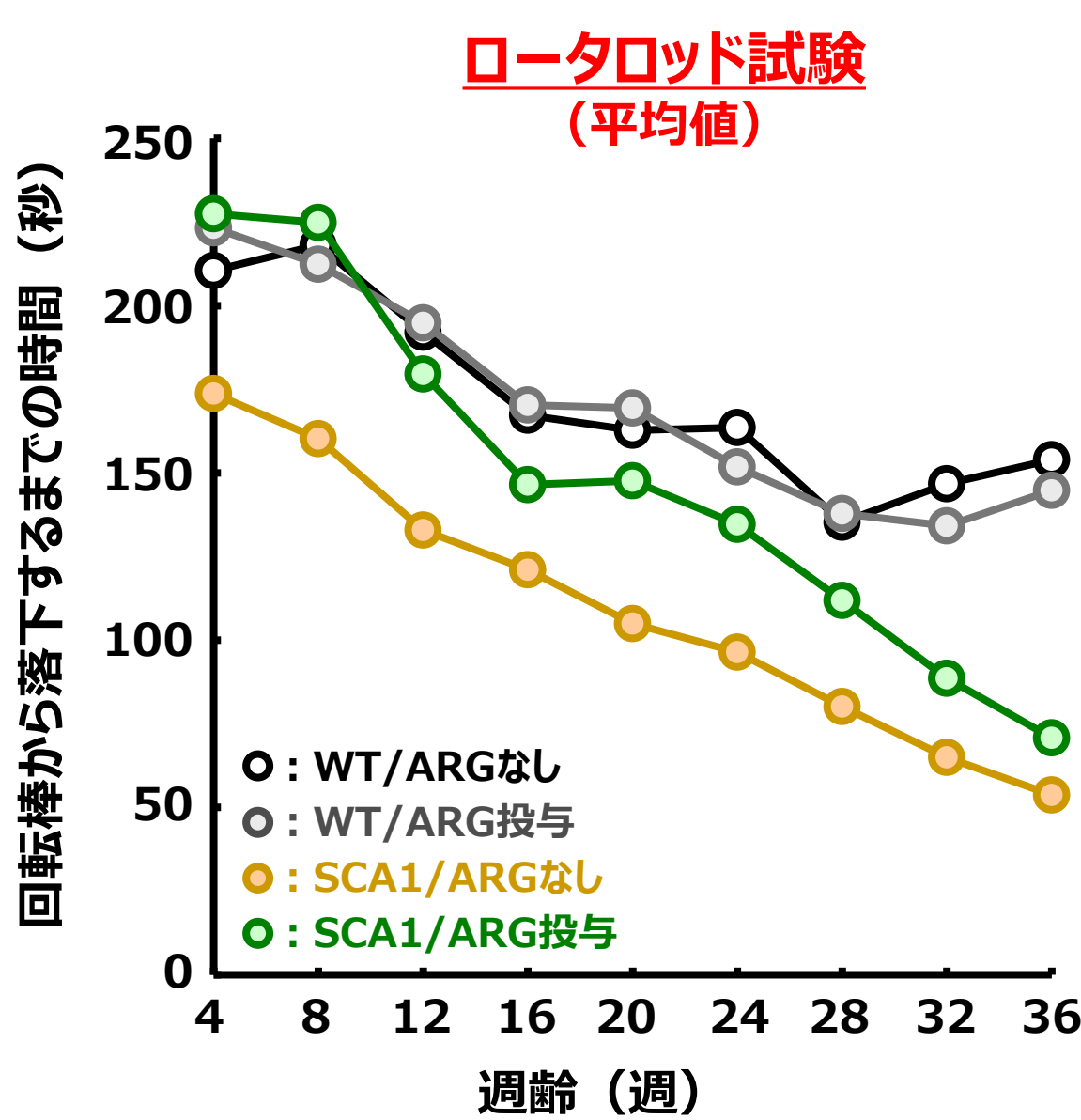
Brain 2020, 143, 1811-1825

### 発明の効果

PolyQ病に対する効果（マウスを用いた試験）

- ・ 遺伝性脊髄小脳失調症1型（SCA1）： 緩徐進行性の小脳性運動失調で、歩行時のふらつきや構音障害などの主症状あり
- ・ 球脊髄性筋萎縮症（SBMA）： 筋肉を動かすための神経が徐々に減少する神経疾患で、筋肉が痩せるなどの症状あり

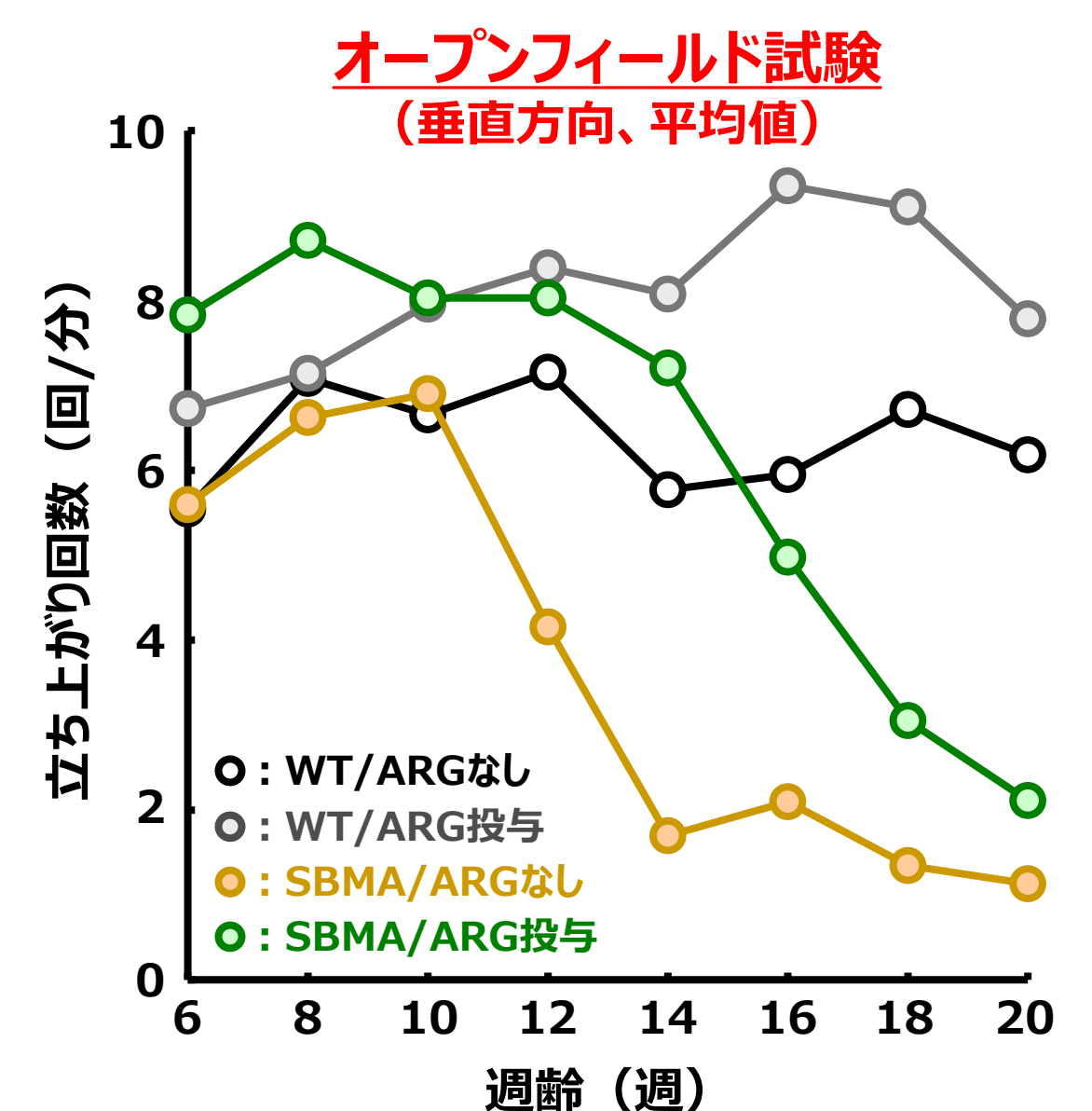
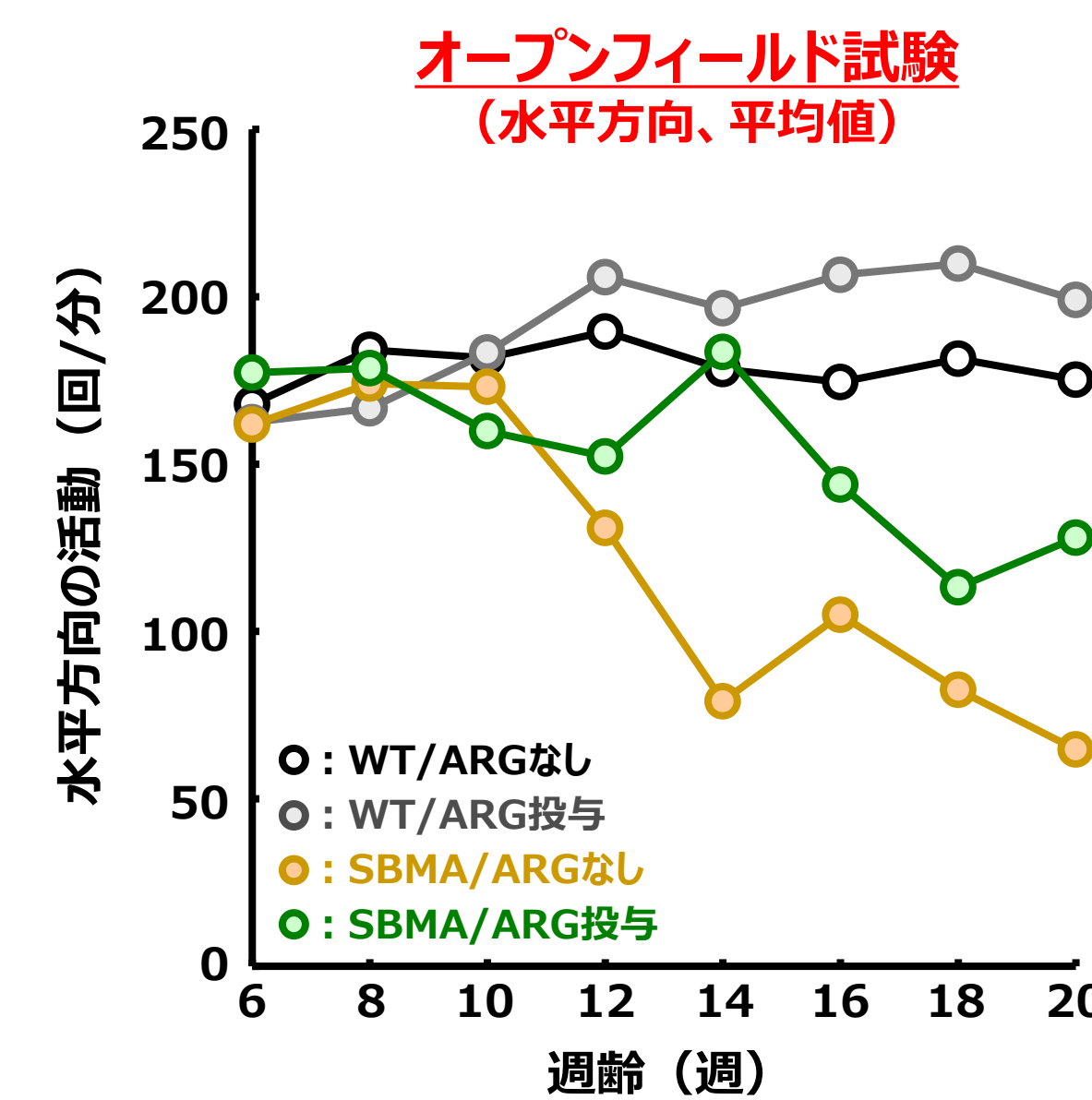
【SCA1マウスに対する効果】



Brain 2020, 143, 1811-1825

両試験において、L-アルギニン投与SCA1マウスは、  
無投与SCA1マウスに比べ、運動能力の改善を確認

【SBMAマウスに対する効果】



Brain 2020, 143, 1811-1825

両試験において、L-アルギニン投与SBMAマウスは、  
無投与SBMAマウスに比べ、運動能力の改善を確認

### 想定される用途

- ◎ 新規PolyQ病治療剤（進行抑制剤）としての利用
- ◎ 他の神経変性疾患（アルツハイマー型認知症など）の治療剤（進行抑制剤）への応用

代表発明者：  
永井 義隆  
(近畿大学・教授)

共同発明者：  
皆川 栄子  
(京都大学・特定助教) 他

ライセンス可能な特許

発明の名称 : 医薬品組成物  
国際公開番号 : WO2017222040  
連絡先 : JST知的財産マネジメント推進部 ライセンス担当  
電話) 03-5214-8486  
メール) [license@jst.go.jp](mailto:license@jst.go.jp)  
URL) [www.jst.go.jp/chizai/](http://www.jst.go.jp/chizai/)

