

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（フェーズII終了）

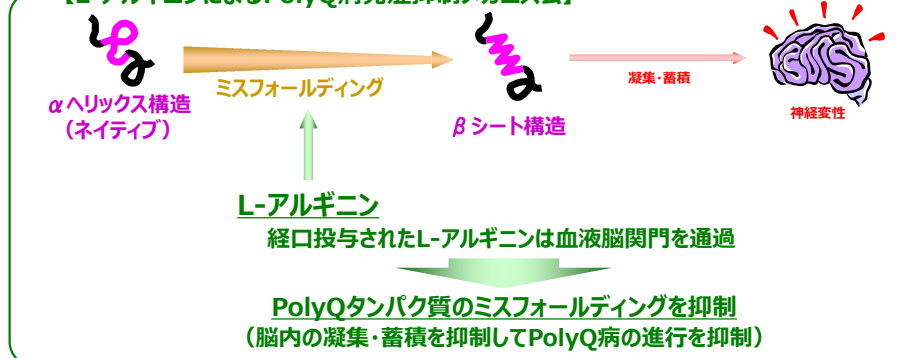
【異常タンパク質による神経変性疾患発症メカニズム】



発明の概要

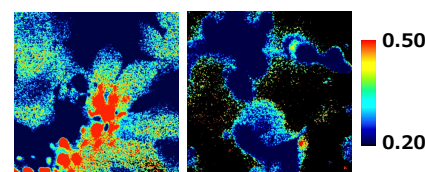
L-アルギニン：PolyQタンパク質のミスフォールディングを抑制し、脳内での凝集・蓄積を減少

【L-アルギニンによるPolyQ病発症抑制メカニズム】



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

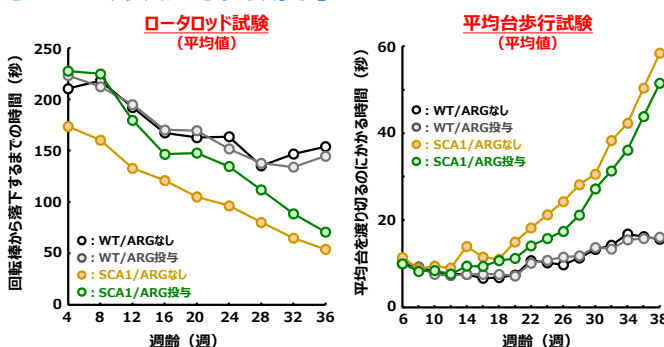
Brain 2020, 143, 1811-1825

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

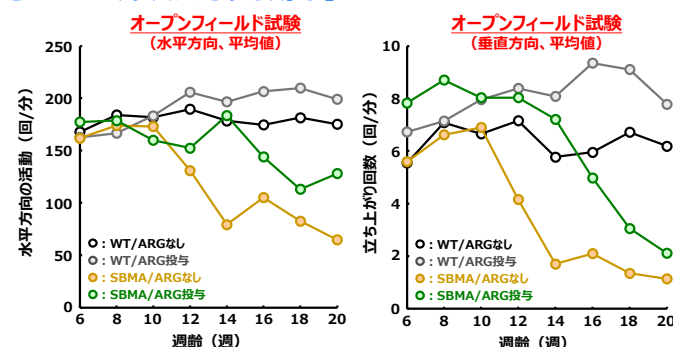
【SCA1マウスに対する効果】



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
URL） www.jst.go.jp/chizai/

