L-アルギニン

～PolyQ病、アルツハイマー病治療剤開発への応用～

Department of Intellectual Property Management

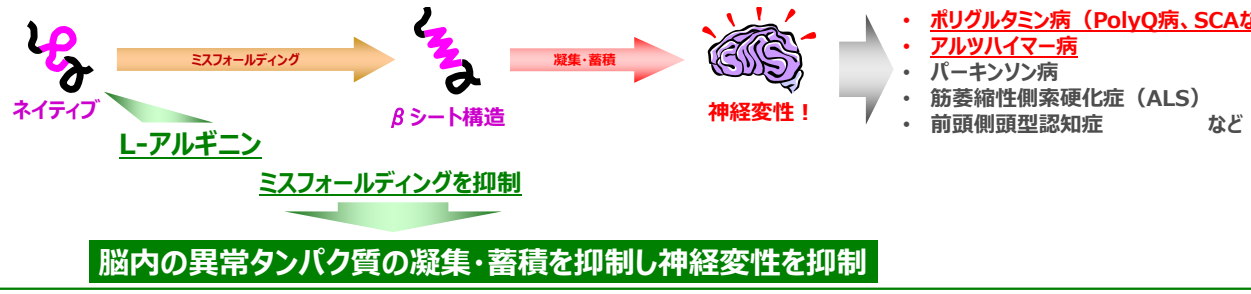
発明のポイント

ポリグルタミン（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高い抑制効果を確認

→ 脊髄小脳変性症（6型、SCA6）患者に対する医師主導治験フェーズII（PII）にて治療効果が示唆された

アルツハイマー（AD）病の原因となるアミロイドβ（Aβ）の凝集抑制及びモデルマウスで行動異常の改善を確認

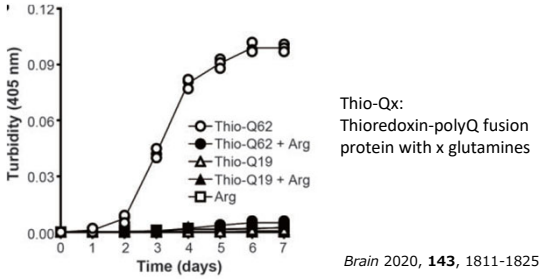
【異常タンパク質による神経変性疾患発症とアルギニンによる治療メカニズム】



- ポリグルタミン病（PolyQ病、SCAなど）
- アルツハイマー病
- パーキンソン病
- 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- 前頭側頭型認知症　など

発明の概要

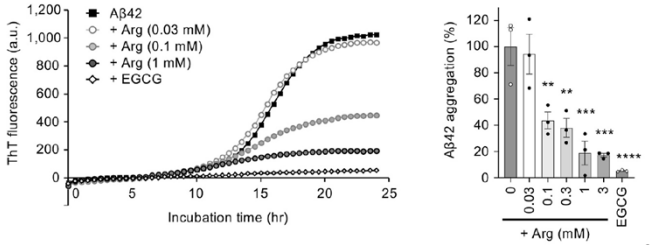
【アルギニンのPolyQ凝集抑制効果（in vitro）】



Brain 2020, **143**, 1811-1825

L-アルギニンはPolyQの凝集を抑制

【アルギニンのAβ42の凝集抑制効果（in vitro）】

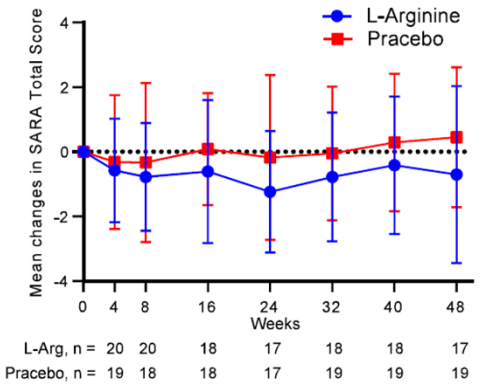


Neurochemistry International **191** (2025) 1060082

L-アルギニンは濃度依存的にAβの凝集を抑制

発明の効果

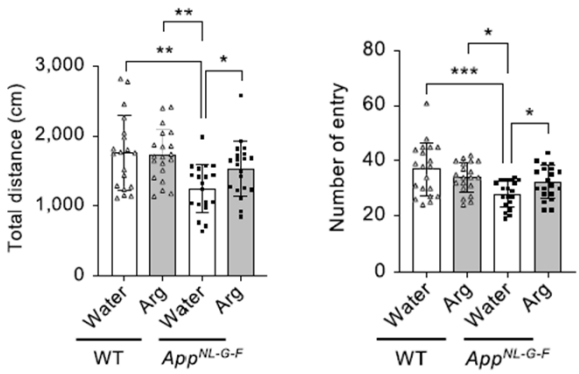
【PolyQ病（SCA6）患者に対する効果】



eClinicalMedicine 2024, **78**, 102952

PII試験においてL-アルギニン投与による治療効果が示唆されPIII試験が期待される

【AD病モデルマウス（*App*$^{NL-G-F}$）に対する効果】



Neurochemistry International **191** (2025) 1060082

モデルマウスのＹ字型迷路試験において総移動距離・アームへの進入回数ともにL-アルギニン投与による改善が認められた

想定される用途

◎ **新規PolyQ病/アルツハイマー病治療剤としての開発**

◎ **他の神経変性疾患の治療剤（進行抑制剤）としての開発**

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）
武内　敏秀（近畿大学・准教授）　他

ライセンス可能な特許

発明の名称及び番号：医薬品組成物（PolyQ病治療 WO2017/222040）
アルツハイマー病治療（出願中）

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/