



成果を発表する川崎  
医大の砂田芳秀教授

# 苦節20年 治療薬承認

## 「タウリン」ミトコンドリア病に

ドリンク成分としておなじみのタウリン——が、難病「ミトコンドリア病」の治療薬として初めて承認された。効果を突き止めた研究の中心となつたのは、川崎医大（倉敷市）のグループだった。研究開始から約20年かけて、ようやく難病患者への福音にたどり着いた。

### 川崎医大・砂田教授ら研究

ミトコンドリア病は、細胞の中でエネルギーを作り出すミトコンドリアの働きが低下することで起きる。

色々なタイプがあり、その中で脳卒中に似た発作を何度も起こす「MELAS」という型が最も多い。患者の脳は発作の度に傷ついていき、発作が起き始めてからの余命は平均16・9年とされている。

2000年に太田成男・現順天堂大大学院客員教授らがMELAS患者の遺伝子異常とタウリンの関わりを報告した。川崎医大神経内科学の砂田芳秀教授らはこの報告に注目し、02年から臨床研究を開始。12年に

厚生労働省の研究事業に採択され、翌13年から医師主導治験を始めた。

砂田教授らは患者数の把握から始め、全国調査で約

300人の患者がいることを確認した。ここから治験対象者を絞り込むのが大変だったという。

結果を科学的に検証するには、患者の条件をできるだけそろえる必要がある。約300人から遺伝子異常のタイプや発作の回数、本人の希望などであるいかにかけた。途中で病状が変わってしまい、残念ながら検証から外した候補患者もいた

という。

最終的に全国10医療施設の10人に協力を得、1年間にわたりタウリンを1日9～12g飲んでもらった。

すると服用中の1年間、一度も発作がなかつた6人

を含め、計8人で服用前と比べ1年間の発作回数が半分以下になつた。

砂田教授は「発作以外の症状への効果や、効く人と効かない人の違いはどこにあるのかなどまた不明な点が多い。ですが、薬で発作を減らせば患者さんの寿命が延び、生活の質も大幅に改善するでしょう」と話す。  
(中村通子)

