

治験センター NEWS

第 52 号 2025 年 1 月発行

今回は、腎センター内科 関根章成先生に常染色体顕性(優性)多発性嚢胞腎(ADPKD)について伺いました。

本院／分院 腎センター内科では現在以下の疾患で治験を行っています。

【常染色体顕性(優性)多発性嚢胞腎(ADPKD)】

加齢とともに両方の腎臓に多数の嚢胞(水の溜まった袋)が発生・増大し、徐々に腎機能が低下する可能性のある病気です。約 1,000 人に 1 人と最も頻度の高い遺伝性腎疾患です。以前は 60～70 歳頃までに約半数の患者さんが末期腎不全(透析や腎移植を必要とする状態)に至ると言われてきましたが、現在では唯一の治療薬であるトルバプタン(商品名：サムスカ®)で腎機能障害の進行を抑制できる可能性があります。ただし、バソプレシン V2 受容体の拮抗阻害剤であるトルバプタンは、腎集合管でのバソプレシンによる水再吸収を阻害することで水利尿作用を示すため、1 日に多量の飲水が必要となります。

そこで新たな治療薬の選択肢が強く望まれています。

* 虎の門病院、虎の門病院分院では、ADPKD に対して以下の治験を行っております。



【タミバロテン：治験名「RN-014」】

京都大学 iPS 細胞研究所の前伸一先生および長船健二先生らの研究グループは、iPS 細胞から ADPKD の病態モデルを作成することに成功し、このモデルを活用して、嚢胞形成を強力に抑制する薬剤の候補として、レチノイン酸受容体(RAR)作動薬を同定するとともに、その治療効果を複数の ADPKD マウスモデルで確認しました。そして今回の治験では、RAR 作動薬の中から、再発・難治性の急性前骨髄球性白血病(APL)の治療薬として日本で既に承認されているタミバロテンが選択されています。ヒトに対する投与経験が豊富であり、ヒトにおける安全性プロファイルは確立しているものと考えられたためです。タミバロテンは既存治療薬であるトルバプタンと異なり多量の飲水が必要ない等、ADPKD 治療における Quality of Life を改善することが期待されます。

(腎センター内科 関根章成)

虎の門病院 1 例、虎の門病院分院 21 例で実施中です。

患者さんに効果が高く安全に使用できる薬をより早くお届けできるように、皆様のご理解とご協力をお願いいたします。

問い合わせ 本院治験事務局 3400、CRC 室 3410 分院治験事務局・CRC 室 5317