

多系統萎縮症 医療講演 質疑応答【令和7年11月9日】

質疑応答は一般的な内容ですので、個々の病状に応じて治療や指導内容等は異なります。
ご自身のことについては、主治医の先生によくご相談ください。

Q1: プラセボについて簡単に教えてください。

A: 新薬の効果を調べる際、実薬（本物の薬）の比較対照として使う有効成分を含まない偽薬のことをプラセボといいます。例えば白いカプセルの薬があった場合、見かけ上は実薬（本物の薬）と全く一緒で、内容物には、極端に言えば砂糖や、味もしない、無味無臭の物質が入っています。

新薬を国に医薬品として認めてもらうためには、プラセボと実薬を使って調べる治験が必要になります。理由は、人間は気持ちが高まると脳から色々な『いい物質』が出るので『これは効く薬だ!』と思って飲むと、偽薬でも20%ぐらいの人に効きます（これをプラセボ効果といいます）。そういう誤差（プラセボ効果か本当に効いているのか）がないように、必ずプラセボ（偽薬）と実薬の見分けをつかなくして、飲んでいる方も、処方している医師も、どちらかわからない状態で投与して調べることが必要になります。

※治験とは⇒厚生労働省ホームページ

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/fukyu.html>

治験情報⇒難病情報センターホームページ <https://www.nanbyou.or.jp/>

Q2: シヌクレインについてもう一度、教えてください。

A: 脳細胞の中の『 α シヌクレイン^{あるかあ}』は誰でも持っている物質ですが、この『 α シヌクレイン』が、たくさん蓄積し凝集して固まることで多系統萎縮症を発症します。

治療は、この『 α シヌクレイン』を少なくする（排除するなり、増えないようにする）ことと考えられています。また、まだ細かいことはよくわかっていませんが、1個の神経細胞から隣へと広がっていくので、『 α シヌクレイン』に薬（抗体）をくっつけると、他の神経細胞に広がらなくなるのではないかと、進行を予防できるのではないかと、ということが考えられています。

『 α シヌクレイン』がたまっても神経細胞は死んでいないので、『 α シヌクレイン』がなくなれば、機能が復活する可能性があることもいわれています。

Q3: 講演のなかで『 α シヌクレイン』は、みんなの体の中にも普通にあると言われましたが、他の臓器では何か役割があるものなののでしょうか。それとも、一時的に作られ消えていくものなののでしょうか。

A: 病気ではない人の体の中で『 α シヌクレイン』が、どのような働きをしているのかは、まだよくわかっていません。しかし、多系統萎縮症の患者さんのように塊を作って、たまることはありません。加齢にともない少しはたまりますが、神経症状（病気）を起こすようなたまり方ではありません。凝集体でたまり、細胞に塊を作ることで、この病気を起こすのですが、なぜ『 α シヌクレイン』が塊をつくるのか、色々な研究がされていますが、まだ十分にはわかっていません。

Q4:『ユビキノール』は α シヌクレインを減らすお薬ですか。

A: そうです。

Q5:『アムレネタッグ』はどのようなお薬ですか。

A: 『アムレネタッグ (薬)』が『 α シヌクレイン』という物質を取り囲むようにひつつくことで、『 α シヌクレイン』を閉じ込めて、『 α シヌクレイン』が隣の細胞に広がるのを防ぎ、増えないように出来るのではないかとわれています。

※参考:講演資料スライド10「タイトル:多系統萎縮症の治験①」参照

Q6:現在、治験を実施中の薬は『ユビキノール』と『アムレネタッグ』の2種類ですか。

A: 第Ⅲ相試験(患者さんの人数を増やして実施する試験)を実施または準備されているのは、この2種類です。他にも講演資料スライド15「タイトル:多系統萎縮症の治験③」に記載の2種類で実施していますが、まだ第Ⅱ相試験(少人数の患者さんで実施する試験)なので、もう少し時間がかかると思います。

※試験について:講演資料スライド8「タイトル:臨床試験の概要」を参照

Q7:『セレジスト』というお薬も「 α シヌクレイン」を減らす効果があるのですか?

A: 『セレジスト』は、神経細胞を保護する薬で、『 α シヌクレイン』を減らせる薬ではありません。神経細胞はストレスに非常に弱いのですが、『セレジスト』という薬は、脳の神経細胞を保護して様々なストレスに対して強くするような効果があります。

『ユビキノール』や『アムレネタッグ』とは、作用が全く異なります。

Q8:多系統萎縮症の患者は、『 α シヌクレイン』が神経細胞に蓄積しているというお話しでしたが、体の他の部分に『 α シヌクレイン』が蓄積し、別の病気になることはありますか。

A: それはありません。

Q9:多系統萎縮症の患者でも『 α シヌクレイン』が神経細胞に蓄積することだけが問題になるのでしょうか。他の部分にも蓄積して問題になることはないのでしょうか。

A: 調べると皮膚の細胞にも少したまっていますが、多系統萎縮症以外の症状が出るほど『全身にはたまらない』といわれています。神経細胞は、『 α シヌクレイン』がたまる等のストレスに非常に弱く崩れやすいので、症状が出やすいのではないかとされています。

例えば、アルツハイマー病は『アミロイド』という物質が脳内にたまり、神経細胞の働きが鈍くなり、認知機能が低下します。この『アミロイド』は、腸にもたまっているのですが、症状はほぼ出ません。それは、神経細胞が、非常に多くのエネルギーを使うこと、ストレスに対して非常に弱いことで症状が表に出やすいためではないかといわれています。

Q10:多系統萎縮症の進行速度にかなり個人差があるのはなぜですか？

A: 個人差が出る理由は、『 α シヌクレイン』がどれだけたまっているか？どこにたくさんたまっているか？たまるスピードはどうか？等、他にも様々な要素が絡み合っているので申し上げるのが難しいです。

Q11:医師から突然死、特に睡眠時のリスクについて説明を聞きました。この場合、呼吸が止まり、心臓が止まるのか、心臓の動きをコントロールする自律神経がおかしくなり心臓を止めてしまうのか、教えてください。

A: 直接的に、心臓の動きが悪いわけではありません。脳の真ん中あたりにある『^{のうかん}脳幹』は、『呼吸をする』『心臓を動かす』等の自律神経の中核になりますが、その障害がすすみ、突然死が起こるのではないかとされています。多くの場合は、心臓が先に止まるので、眠ったように亡くなります。呼吸が先に止まる方もおられますが、呼吸が先に止まると、チアノーゼといって顔が紫色になったりします。朝、いつまでも起きてこないと思って見に行くと、亡くなっていた等、心臓が止まることの方が多のような印象があります。

Q12:病気の進行速度が、最初に速くて、一定のところまで進行した後に緩やかになることはありますか。常に一定の速度で進行するのでしょうか。

A: 進行速度は患者さん一人ひとりで違います。進み方は一直線ではなく、安定している時期から、ある時、急に悪くなるなど、階段状になります。全ての患者さんが同じスピードで進行することはありません。まれに兄弟で発症された方がおられますが、一人は進行が速く、一人はゆっくりだった方や、ほぼ一緒だった方もおられ様々です。

Q13:医師から声帯閉塞による突然死(窒息による死亡)のリスクを避けるために手術を受けた方がよいと説明を聞いていますが、受けたほうがいいのでしょうか。

A: 手術に踏み切れない方も多いですが、喉頭気管分離術は、呼吸障害（声帯閉塞による窒息）や誤嚥（食べ物や唾液が気管に流れる）による肺炎で亡くなる等の思わぬ死亡リスクをかなり減らせますので、手術をすすめることはよくあります。

Q14:以前、入院した時に、半年に1回は耳鼻科を受診して^{こうとうきょう}喉頭鏡検査を受けて声帯の閉塞（声帯の動き）を確認した方がよいと言われました。現在入所中の施設では、もっと長い期間をあけて実施するのでよいと言われるのですが、どれぐらいの頻度で受けた方がいいのでしょうか。

A: 声帯は呼吸に合わせて閉じたり開いたりしますが、動きが悪くなり開かなくなると窒息しますので、喉頭鏡検査で直接声帯を観察して確認します。どのぐらいの間隔で検査をするかというのは、3~6か月に1回ぐらいはしたほうがいいかなと思いますので、主治医の先生とよくご相談ください。声帯の動きがどんどん悪くなっている場合には、^{こうとう}喉頭気管分離術をされるのがいいと思います。

Q15: 遺伝性はないと聞いていますが、心配しなくてもいいでしょうか。

A: 遺伝性は非常にまれなことです。あまり心配されなくてもよいと思います。 α シヌクレイン遺伝子に異常があったという家族例は、日本でも数家系のみで、世界的にみてもほとんどありません。

Q16: 多系統萎縮症でパーキンソン症状が強い『MSA-P』のタイプで『胃ろう』の手術を受ける人がいると聞きましたが、どのような手術でしょうか。

A: 『胃ろう』とは、お腹に小さな穴を開けて管を胃まで通し、栄養を直接胃に入れる方法で、お腹に穴を開ける手術が必要になります。多系統萎縮症の患者さんの中でパーキンソン症状が非常に強い「MSA-P」というタイプの方がおられて、パーキンソン病の薬が効く方がおられます。口から飲んだ薬は空腸（小腸の中央部分）で吸収されるのですが、その吸収が悪くなってきた方に、『胃ろう』から空腸までチューブを入れて、薬を空腸に直接・持続的に少量ずつ入れて症状がよくなる方がおられます。その治療のために『胃ろう』が必要になります。

Q17: 直接、空腸に薬を投与する治療は、レボドパが全く効かなくても出来るでしょうか。

A: レボドパはよく効くけれど、症状が安定しない、症状の波が大きい等の方に適応があり、レボドパが全く効かない方は対象になりません。

中川先生からのメッセージ

実感は難しいかもしれませんが、研究は確実にすすんでいますので、あきらめずに過ごしていただきたいと思います。『これからどうなるんだろう？』と考えてしまうかもしれませんが、『今出来ること』『今日したいこと』を出来る範囲で実現して欲しいと思います。患者さんも、ご家族も、私（先生）自身も、みなさんも、『自分の人生をどうしたいか？』を深刻になりすぎずに考えて、話してみる、メモに書いてみる等して、希望をもって生活できればと思っています。