

# 名医に学ぶセミナー

日時：平成28年7月6日（水）17:30～19:00

場所：医学教育図書棟3階 第2講義室

## ミトコンドリア病治療薬開発の最前線

久留米大学医学部 小児科・教授

古賀 靖敏先生

今回の「名医に学ぶセミナー」は、我が国を代表するミトコンドリア病研究および同疾患治療薬開発の第一人者でおられる古賀靖敏教授をお招きしました。ミトコンドリア病は、未だ治療法が確立していない希少難病疾患であります。古賀教授は、脳卒中様発作を特徴とするMELAS型ミトコンドリア病に対するL-アルギニン療法を開発し、医師主導臨床試験でその効果を確認されました。また、現在は、ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウム治療法の医師主導治験、およびミトコンドリア病の新規バイオマーカーの体外診断薬臨床試験を行っております。自ら発見された基礎研究成果を臨床試験および治験でその効果を確認されておられまして、我が国を代表する臨床研究医でいらっしゃいます。本講演では、これまで一貫して取り組んでこられましたミトコンドリア病治療薬・診断薬の開発から臨床研究の成果につきましてご紹介いただきます。

皆様のご来場をお待ちしております。講演抄録は、以下のとおりです。

ミトコンドリア病は、ATP合成の一次的・二次的異常によりエネルギー不全を来し、種々の症状を来す希少難病である。世界でも治験で適応症獲得した薬剤は一剤も存在しない。本日の講義では、1. 脳卒中様発作を来すMELASに合併する血管内皮機能不全の発見とL-アルギニン治療法開発、2. ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウム（PA）治療法の開発（first in human、AMED採択課題、医師主導治験）、3. 新規バイオマーカーとしてのGDF15の体外診断薬開発と薬価収載に向けて、という内容で進めたいと思う。希少疾病治療薬開発にご理解いただければ幸いです。

担当：分子生理学分野 富澤（内線5050）