

「前頭側頭葉変性症の病態解明に基づく disease-modifying therapy の開発」
Development of disease-modifying therapy for FTLN based on the molecular pathogenesis:
From pathogenesis to therapeutics.



祖父江 元

名古屋大学大学院医学系研究科
神経内科
教授、医学博士

1975 年名古屋大学卒業。1981 年名古屋大学大学院医学系研究科修了。(PhD, 神経内科学)。1995 年名古屋大学医学部神経内科教授, 2002 年より名古屋大学大学院医学系研究科神経内科教授。2009 年 4 月～2012 年 3 月名古屋大学大学院医学系研究科長・医学部長。

SOBUE, Gen, MD, PhD

Professor, Department of Neurology,
Nagoya University Graduate School of Medicine

1975 Graduated from Nagoya University School of Medicine.
1981 Ph.D. degree in Neurology from Nagoya University Graduate School of Medicine. 1995 Professor, Nagoya University School of Medicine. 2002 Professor, Nagoya University Graduate School of Medicine. 2009-March 2012 Dean, Nagoya University School of Medicine/ Nagoya University Graduate School of Medicine.

■ 研究内容

前頭側頭葉変性症 (FTLD) は非アルツハイマー型認知症の多くを占める疾患であるが, 診断・治療の研究は十分に進んでおらず, 有効な治療法もない。

我々は, これまで筋萎縮性側索硬化症 (ALS) や球脊髄性筋萎縮症 (SBMA) を代表とする運動ニューロン疾患の自然歴解析, 分子病態解析, モデル動物の作成やそれに対する治療法開発を行い, 特に SBMA に関してはリユープロレリン酢酸塩の医師主導治験を手掛け, 世界に先駆けて神経変性疾患に対する病態抑止療法の開発に成功している。

近年 FTLD は TDP-43 や FUS といった疾患関連分子の発見により ALS と同一スペクトラム上に位置する疾患と考えられるようになっていく。そこで我々は運動ニューロン疾患における実績を応用し, FTLD を対象とした自然歴・病理学的解析, 動物モデルを確立・解析し病態を分子レベルで解明し, 病態関連分子を同定すると共に, 患者剖検脳を用いた生化学的解析を展開し, 早期診断に用いることのできるバイオマーカーおよび病態抑止効果を有する治療法の開発を目指している。

■ Research works

FTLD is the second most common early-onset dementia. The etiology of the disease remains unclear and there is no effective therapeutics for the disease so far.

We have previously aimed at elucidation of pathogenesis and therapy development for motor neuron diseases, including ALS and SBMA. We have conducted clinical research on the natural history and biomarker, investigated the molecular mechanism, established the disease-model animals, and developed the therapeutics in these motor neuron diseases. Especially for SBMA, we developed disease-modifying therapies by performing animal studies and conducting a multi-centric clinical trial of androgen deprivation therapy.

Recent developments in the research of FTLD and ALS delineated that these disorders are in the same disease spectrum. The aim of our research project is to develop FTLD animal models, clarify the molecular pathogenesis of FTLD, and identify therapeutic target molecules. We will also conduct clinical researches on the natural history of FTLD as well as pathological analysis of postmortem brain. Our final goal is to develop biomarkers for early diagnosis of FTLD and therapies which enable to modify the disease course of FTLD.