新潟大学　人を対象とする研究等倫理審査委員会　オプトアウト

①研究課題名	神経変性疾患およびてんかんの創薬標的性検証を目的とした病理学的および生化学的研究
②対象者及び対象期間、過去の研究課題名と研究責任者	
2001 年 4 月 1 日以降 2021 年 12 月 31 日までに、新潟大学脳研究所病理学分野で病理診断されたアルツハイマー病およびパーキンソン病の患者さんから 20 名程度、多系統萎縮症の患者さんから 5 名程度、筋萎縮性側索硬化症の患者さんから 5 名程度、てんかんの患者さんから 5 名程度、および中枢神経疾患を持たない患者さんから 5 名程度です。	
③概要	
新潟大学と武田薬品工業の共同研究により、凍結及びパラフィン包埋脳組織を用いて、アルツハイマー病やパーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症、てんかんの病態に伴い生じる、タンパク質や糖脂質の変化を検討します。そして、変化の見出された分子について、創薬のターゲットとして妥当性を検証し、治療薬開発につなげることを目的に本研究を計画致しました。	
④申請番号	2018-0191
⑤研究の目的・意義	超高齢化社会を迎え、認知症をはじめとした神経変性疾患患者の急増は深刻な社会問題となっています。アルツハイマー病（AD)やパーキンソン病（PD)、多系統萎縮症（MSA)、筋萎縮性側索硬化症（ALS）は患者数の多い神経変性疾患ですが、未だその発症メカニズムには不明な点も多く有効な病態進行を抑制する治療薬も存在しません。またてんかんは100人に1人の割合で発症する神経疾患で、いまだにアンメットメディカルニーズの高い疾患です。 創薬の標的分子を見出し治療薬の開発を進めるためには、患者さんの死後脳を用いて創薬標的候補分子やその機能に関与する分子の解析をすることは極めて重要なステップです。 具体的に本研究では、新潟大学と武田薬品の共同研究により、創薬標的として検討を進めている分子の発現やその経路に関わる分子の発現変化を検討します。 本研究の目的は、免疫染色、生化学的解析（ウェスタンブロットおよびLC-MS)などを用いて創薬標的分子およびその周辺分子の発現解析を行うことで、治療標的としての妥当性の検証を行うことです。本研究の結果は、将来的にはADやPD、MSA、ALS、てんかんの治療薬の開発に役立てます。
⑥研究期間	2018 年 10 月 05 日 ～2026 年 3 月 31 日
⑦情報の利用目的及び利用方法（他の機関へ提供される	武田薬品工業株式会社リサーチニューロサイエンス創薬ユニット、武田薬品工業株式会社薬物動態研究所に試料及び付随する臨床情

場合はその方法を含む。）	報（年齢、性別、疾患名、罹病期間、中枢病理所見）を提供し、アルツハイマー病やパーキンソン病、多系統萎縮症、筋萎縮性側索硬化症、てんかんの治療薬の開発に役立てます。提供された検体の一部は、アプライドメディカルリサーチ社、Axcelead Drug Discovery Partners株式会社に解析委託試験に供する可能性があり 、また、得られたデータを国内外のタケダグループ会社、事業提携会社や業務委託会社、規制当局、研究機関や医療機関に提供することがあります。 in situ ハイブリダイゼーション（組織や細胞において、特定のmRNAなどがどの部位でどれくらい発現しているかを調べることができる手法）のためのRNAの質の評価を検査機関である株式会社徳島分子病理研究所、Axcelead Drug Discovery Partners株式会社に外注して行います。これらの外部への提供の際も匿名性を保持し、個人情報が漏洩しないように万全を期します。
⑧利用または提供する情報の項目	病理解剖にて採取した脳組織（パラフィン包埋及び凍結）、臨床情報（年齢、性別、疾患名、罹病期間、中枢病理所見）
⑨利用の範囲	新潟大学脳研究所病理学分野及び武田薬品工業リサーチニューロサイエンス創薬ユニット、武田薬品工業株式会社薬物動態研究所、株式会社アプライドメディカルリサーチ、Takeda Development Center Americas、株式会社徳島分子病理研究所、Axcelead Drug Discovery Partners 株式会社（試料等の外部提供先）
⑩試料・情報の管理について責任を有する者	新潟大学脳研究所病理学分野 柿田明美 武田薬品工業株式会社リサーチニューロサイエンス創薬ユニット 松田　賢
⑪お問い合わせ先	新潟大学脳研究所病理学分野　柿田明美 電話：025-227-0673 FAX: 025-227-0817 e-mail: kakita@bri.niigata-u.ac.jp