

# AMED理事長賞

## オキシトシン経鼻剤による自閉スペクトラム症中核症状への初の治療薬開発：脳画像／ゲノム解析の応用

### <受賞者>

山末 英典（浜松医科大学医学部 精神医学講座 教授）

### <功績>

山末氏は、脳画像指標や表情・視線・声色など臨床的意義の高い指標の定量的評価法を用いて、経鼻投与オキシトシンの自閉スペクトラム症（ASD）治療効果の実証と効果発現機序の解明を進めた。その解析結果を基に、ASDの中核症状の初の治療薬としてオキシトシン点鼻剤の新規製剤の開発を推進中である。

### <概要>

ASDは100人に1人程度と高頻度に認められ罹病期間が長いこと社会的影響が大きく、治療法の確立が強く求められている。オキシトシン<sup>脚注</sup>は他者との信頼関係を築きやすくする効果などが報告されており、ASD治療効果の可能性が期待されている。

山末氏は、多施設検証試験を含む複数の自主臨床試験を主導し、ASD中核症状へのオキシトシン経鼻剤の有効性と安全性を検証した。その解析により、オキシトシン経鼻剤の有効性を示す上での課題を抽出した。1回1噴霧の経鼻投与で有効なオキシトシン製剤を産学連携により開発するなど、剤形や用量・用法、臨床試験デザインの改善や評価方法の新規開発などの対策を積み重ね、早期第II相試験を開始した。さらに、患者の脳機能画像の解析や動物実験により、オキシトシンがASD中核症状を改善するメカニズムの解明も推進中である。

**オキシトシン：** 脳下垂体から分泌されるホルモンで、従来より分娩促進や乳汁分泌促進作用が知られている。一方で男女を問わず脳内にもオキシトシン受容体が分布しており、脳への未知の作用に関心が持たれている。

### <参考> オールジャパンで挑む革新的な自閉スペクトラム症中核症状治療法の開発

#### 浜松医科大学

【共同研究機関】

北海道大学

東北大学

東京大学

早稲田大学

大阪大学

名古屋大学

九州大学

理化学研究所

帝人ファーマ

#### オキシトシンの臨床効果の証明 (初の医薬品としての開発研究)



改良型オキシトシン  
経鼻製剤を開発



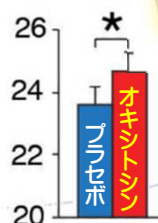
代謝・  
動態解析



ゲノム解析  
による  
効果予測



表情や声色から相手の気持ちを  
読み取る「非言語的な認知」  
機能の定量評価法を開発



#### 症状改善メカニズムの解明 (次世代治療法の研究)



マルチモダリティ脳画像  
による治療効果の解析



モデル動物を用いた  
行動薬理的解析  
分子生物学的解析

オキシトシン  
による  
ASD中核症状  
の改善