

-千里ライフサイエンス新適塾-

「難病への挑戦」第55回会合

「難病領域における患者レジストリ活用の動向 ～難病プラットフォームを例に～」

講 師 山野 嘉久 (やまの よしひさ)

聖マリアンナ医科大学 脳神経内科学 主任教授

日 時 2023年9月19日(火) 18:00～20:15

場 所 千里ライフサイエンスセンタービル

講演会：6階 千里ルームA (WEB配信併用) ～19:15

懇親会：5階 Port 5 ～20:15

参加費 講演会、懇親会とも無料

定 員 会場参加80名、WEB参加200名

参加は事前申込みされた方(申込締切り9月14日)のみとし、定員になり次第締切ります。参加希望者は、当財団のホームページの「参加申込・受付フォーム」からお申込み下さい。<https://www.senri-life.or.jp>

*オンデマンド配信は予定しておりません。

コーディネーター

菊池 章 (大阪大学 感染症総合教育研究拠点 特任教授)

山下 俊英 (大阪大学大学院医学系研究科 分子神経科学 教授)

主催：公益財団法人 千里ライフサイエンス振興財団

〒560-0082 大阪府豊中市新千里東町1丁目4番2号

千里ライフサイエンスセンタービル20階

E-mail：otk-2023@senri-life.or.jp Tel：06-6873-2006

<https://www.senri-life.or.jp>

【要旨】

「難病領域における患者レジストリ活用の動向

～難病プラットフォームを例に～

山野 嘉久

聖マリアンナ医科大学 脳神経内科 主任教授
同大学 難病治療研究センター 病因病態解析部門 部門長

難病領域において患者レジストリは疫学、病態の理解、自然歴の解明など、様々な研究用途で用いられている。一方、製造販売後調査や疾患対照群、患者リクルートなど、医薬品等の開発における患者レジストリの活用において厚生労働省やPMDAも整備をすすめており、実際に開発企業が活用するケースが徐々に増えてきている。

難病プラットフォームは厚生労働省難治性疾患等政策研究事業およびAMED 難治性疾患実用化研究事業で支援を受けている研究班（以下難病研究班）に対して患者レジストリの構築支援を行ってきた。具体的にはレジストリ構築運営時に必要となる標準文書および標準データ入力システム（EDC）を提供している。また難病プラットフォームでは研究班と企業をつなぐ「企業マッチング」にも取り組んでおり、最近では、製造販売後調査や患者リクルートなど、医薬品等の開発における患者レジストリの活用事例も増えてきた。今回は、難病プラットフォームの活動について概説し、またHTLV-1関連脊髄症（HAM）を例として、難病領域におけるレジストリ活用について紹介したい。

【文献】

1. Ando H., Sato T., Tomaru U., Yoshida M., Utsunomiya A., Yamauchi J., Araya N., Yagishita N., Coler-Reilly A., Shimizu Y., Yudoh K., Hasegawa Y., Nishioka K., Nakajima T., Jacobson S., Yamano Y. Positive feedback loop via astrocytes causes chronic inflammation in virus-associated myelopathy. *Brain*, 136(9):2876-2887, 2013.
2. Araya N., Sato T., Ando H., Tomaru U., Yoshida M., Coler-Reilly A., Yagishita N., Yamauchi J., Hasegawa A., Kannagi M., Hasegawa Y., Takahashi K., Kunitomo Y., Tanaka Y., Nakajima T., Nishioka K., Utsunomiya A., Jacobson S., Yamano Y. HTLV-1 induces a Th1-like state in CD4+CCR4+ T cells. *J Clin Invest*, 124(8):3431-3442, 2014.
3. Bangham C, Araujo A, Yamano Y & Taylor G. HTLV-I-Associated Myelopathy/ Tropical Spastic Paraparesis. *Nature Reviews Dis Primers*, 1, 2015.
4. Sato T, Coler-Reilly ALG, Yagishita N, Araya N, Inoue E, Furuta R, Watanabe T, Uchimaru K, Matsuoka M, Matsumoto N, Hasegawa Y, Yamano Y. Mogamulizumab (Anti-CCR4) in HTLV-1-Associated Myelopathy. *N Engl J Med*, 378(6):529-538, 2018.
5. Yamauchi J, Yamano Y, Yuzawa K. Risk of Human T-cell Leukemia Virus Type 1 Infection in Kidney Transplantation. *N Engl J Med*, 380(3): 296-298, 2019.
6. Yamauchi J, Sato T, Yagishita N, Araya N, Hasegawa D, Tsutsumi S, Nagasaka M, Coler-Reilly A, Inoue E, Takata A, Hasegawa Y, Yamano Y. Use of cerebrospinal fluid CXCL10 and neopterin as biomarkers in HTLV-1-associated myelopathy/tropical spastic paraparesis treated with steroids. *J Neurol Neurosurg Psychiatry*, 91(3):321-323, 2020.
7. Nagasaka M, Yamagishi M, Yagishita N, Araya N, Kobayashi S, Makiyama J, Kubokawa M, Yamauchi J, Hasegawa D, Coler-Reilly ALG, Tsutsumi S, Uemura Y, Arai A, Takata A, Inoue E, Hasegawa Y, Watanabe T, Suzuki Y, Uchimaru K, Sato T, Yamano Y. Mortality and risk of progression to adult T-cell leukemia/lymphoma in HTLV-1-associated myelopathy/tropical spastic paraparesis. *Proc Natl Acad Sci USA*, 117(21),11685-11691, 2020.
8. Kamoi K, Horiguchi N, Kurozumi-Karube H, Hamaguchi I, Yamano Y, Uchimaru K, Tojo A, Watanabe T, Ohno-Matsui K. Horizontal transmission of HTLV-1 causing uveitis. *Lancet Infect Dis*, 21(4):578, 2021.
9. Wada Y, Sato T, Hasegawa H, Matsudaira T, Nao N, Coler-Reilly ALG, Tasaka T, Yamauchi S, Okagawa T, Momose H, Tanio M, Kuramitsu M, Sasaki D, Matsumoto N, Yagishita N, Yamauchi J, Araya N, Tanabe K, Yamagishi M, Nakashima M, Nakahata S, Iha H, Ogata M, Imaizumi Y, Uchimaru K, Miyazak Y, Konnai S, Yanagihara K, Morishita K, Watanabe T, Yamano Y, Saito M. RAISING is a high-performance method for identifying random transgene integration sites. *Commun Biol*, Jun;5(1): 535, 2022.
10. Sato T, Yamauchi J, Yagishita N, Araya N, Takao N, Ohta Y, Inoue E, Takahashi M, Yamagishi M, Suzuki Y, Uchimaru K, Matsumoto N, Hasegawa Y, Yamano Y. Long-term safety and efficacy of mogamulizumab (anti-CCR4) for treating virus-associated myelopathy. *Brain*, 2023.

【略歴】

1993年 鹿児島大学医学部卒業

1997年 同大学大学院内科学修了(医学博士)

2000年~2003年 米国 National Institute of Health 研究員

2003年 鹿児島市立病院 内科 医長

2006年 聖マリアンナ医科大学 リウマチ膠原病アレルギー内科 助教

2007年 同大学 難病治療研究センター ゲノム医科学部門 講師

2008年 同大学 難病治療研究センター 病因病態解析部門 部門長、准教授

2016年 同大学大学院 先端医療開発学 大学院教授

2019年 同大学病院 ゲノム医療推進センター センター長 兼務

2020年 同大学 脳神経内科学 主任教授

2021年 同大学 臨床研究データセンター センター長 兼務

現在に至る