

# 神経難病新聞

No.21

## 当院薬剤部の神経難病への関りと薬剤について

国立病院機構とくしま医療センター 西病院  
薬剤部長 板野 亨

### 1. はじめに

神経難病には、重症筋無力症（MG）、多発性硬化症（MS）、筋ジストロフィー、視神経脊髄炎（NMO）、筋委縮性側索硬化症（ALS）、慢性炎症性脱髄性多発神経炎（CIPD）、ギラン・バレー症候群などがあり、今まで治療が難しかった難病も、近年、様々な新薬が製造販売承認されて、症状をコントロールできる薬剤も増えてきています。それに伴い、薬剤師も、以前と比較して関わる業務も増加してきています。

するアンチセンス核酸であり、ジストロフィン mRNA 前駆体のエクソン 53 に結合し、エクソン 53 をスキッピングすることでアミノ酸読み取り枠を回復させ、機能的なジストロフィンタンパク質を発現させることにより、デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する作用を示すと考えられています。

その他の高額医薬品では、筋委縮性側索硬化症のリルゾールや、多発性硬化症のインターフェロンベータ 1a、オフアツムマブなどがあります。

### 2. 薬剤業務について

これらの医薬品では、調製方法が特殊な薬剤や、投与スケジュールが複雑な薬剤、納品に時間を要する薬剤、冷所保存のため温度管理が必要な薬剤があり、非常に高額な薬剤が多く、管理すべき点が様々あります。オナセムノゲン アベパルボベクなど、薬剤によっては、薬価が1患者あたり1億円を超す薬剤も存在し、在庫管理には非常に注意しなければならぬ薬剤もあります。また、筋委縮性側索硬化症などの症状緩和のための麻薬についてもガイドラインを遵守し適切な保管管理も十分に行っていかなければなりません。更に、血漿分画製剤のグロブリン製剤についても神経難病では多く使用され、長期間のロットナンバー管理も義務付けられています。

### 3. 当院で取り扱っている薬剤

当院でも高額医薬品を取り扱っています。ビルトラルセンは、エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィーの薬剤で、デュシェンヌ型筋ジストロフィーの原因遺伝子であるジストロフィンのエクソン 53 を標的と



写真：日本新薬株式会社ウ

ェブページ（ビルテブゾ®

点滴静注 250mg）より

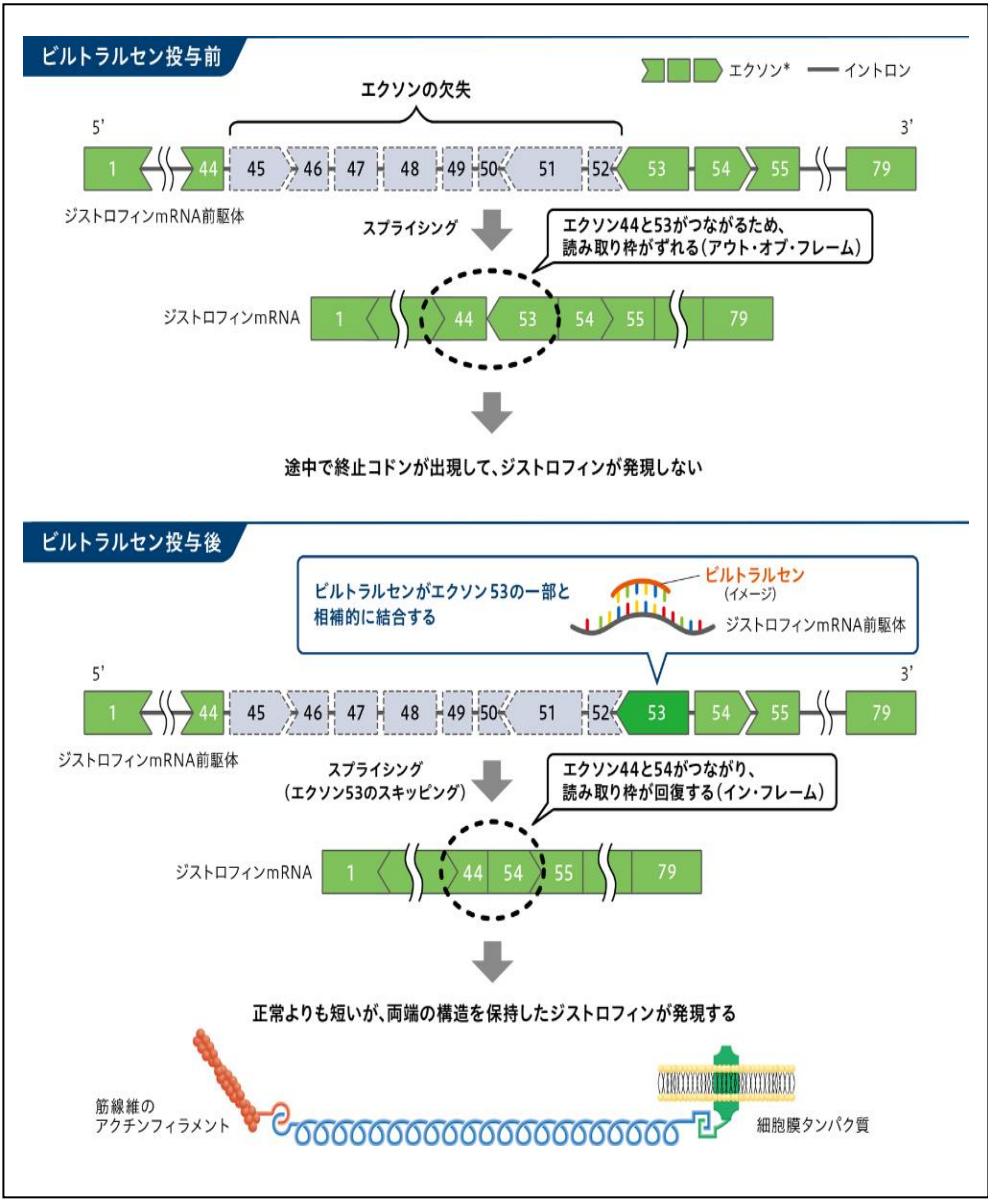
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬のビルトラルセン



薬剤の調製クリーンベンチ



充填後のビルトラルセン



ビルトラルセンの作用機序  
(日本新薬のホームページから引用)

4. 話題の新薬

最近の薬剤では、メコバラミンの筋注薬剤が製造販売承認されました。

メコバラミンは、筋萎縮性側索硬化症（ALS）における機能障害の進行抑制の薬剤です。作用機序としてメコバラミンは、活性型ビタミンB12でありホモシステインからメチオニンを合成するメチオニン合成酵素の補酵素として働きます。ホモシステインは神経変性に関わると考えられており、メコバラミンは、ホモシステインによる神経変性を抑制すると考えられます。また、メチオニンとアデノシンの縮合によりS-アデノシルメチオニン（SAM）が生成し、タンパク質のダメージの修復時にメチル基供与体として働きます。メコバラミンはSAMを介して神経変性を修復すると考えられています。



筋萎縮性側索硬化症治療薬のメコバラミン

写真：エーザイ株式会社ウェブページ（[ロゼバラミン筋注用25mg](#)）より

5. 最後に

現在、医薬品を開発していくにあたり、多大な時間が費やされています。今後 iPS 細胞を利用した開発により、製造販売されるまでの時間が大幅に短縮され、様々な薬剤が開発されることを期待いたします。引き続き薬剤師も、薬剤関連の業務を中心とした神経難病に関わっていきたいと考えています。

**【編集後記】**  
今月は薬剤部に執筆をお願いしました。今回の記事を読んで、安心して薬が使えるという「当たり前」の背景には薬剤師の方々の日々の努力と何代にも渡って築いてきた信頼があるのだと感じました。これからは薬剤師さんの説明をしっかりと聞きたいと思います。

右のチラシは、来年1月26日の講演会案内です。記事にもある「ロゼンバラミン」について、徳島大学の和泉教授が講演されます。映画の上映もあるので是非お越し下さい。

<健康寿命推進課係長 T.T.>

