

難治性疾患克服研究の対象となっている 121 疾患について

主任研究者； 水澤 英洋

疾 患 名； 進行性多巣性白質脳症 (PML)

1. 初代研究班発足から現在までの間の研究成果について（特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究事業として公表したもの。なお、原則他の研究事業等に依存していないもの。）

（1）原因究明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1			
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

（2）発生機序の解明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	2002 年 水澤英洋	JC ウイルスの核内移行に必要な importin 、 の同定	
2	2003 年～ 水澤英洋	PML の診断基準を始めて策定し、全国にアンケート調査を行った。診療ガイドラインを策定した。	
2	2003 年 水澤英洋	JC ウイルスの遺伝子発現調節配列(TVR)に結合する新規蛋白 CstF を同定	
3	2004 年 水澤英洋	JC ウイルスの核内移行に VP1、2、3 が必要で、PML 小体を足場に粒子形成がなされることを発見。	

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

(3) 治療法(予防法を含む)の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1			
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1	2003年 水澤英洋	エイズ患者における抗 HIV ウイルス併用療法にて PML も改善するケースが見られた。	
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

ウ その他根本治療の開発について

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1			
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

2. 「1」以外で、国内、国外を問わず、研究成果の現在の主な状況について

(1) 原因究明について(画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

(2) 発生機序の解明について(画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

(3) 治療法(予防法を含む)の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

ウ その他根本治療の開発について

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

3.現時点において、次の事項について残された主要な課題及び今後の研究スケジュールについて

(1)原因の解明について (JC ウイルスと同定されている)

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1			
2			
3			

(2)発生機序の解明について

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1	JC ウイルスの細胞受容体	可能	2～3年以内
2	JC ウイルスの持続感染とそれから発症転化する機序	可能	7～8年以内
3	動物モデルの開発	可能	5～6年以内

(3)治療法(予防法を含む)の開発

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1	SiRNA による遺伝子治療法の開発	可能	5～6年以内
2	発症機序に基づいた根本的治療法の開発	可能	10年以内
3			

4. 重症化防止対策について

大多数の患者に対して外来通院によって症状のコントロールが可能な治療法（重症化防止のための治療法）の確立

	重症化防止のための治療法確立について解決すべき課題	5年以内に解決できる可能性	解決不可能な場合の理由	左記理由を解決していくスケジュール
1	治療奏効例と非奏効例の分析	不可能	症例数が少ない	全国レベルの患者登録制度の構築
2				
3				
4				
5				