第 2 版：2026/02/10 作成

# 多系統萎縮症に対する MSA-01 の医師主導治験について

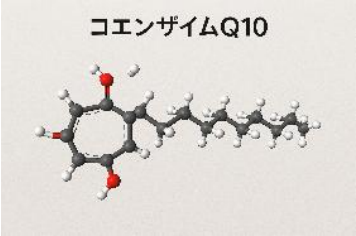
2026 年 2 月から開始しました第 3 相試験についてご案内します。

試験の詳細は
jRCT(臨床研究等提出・公開システム)
より確認できます。

## ❖試験の正式名称

多系統萎縮症に対する MSA-01 の多施設共同プラセボ対照二重盲検ランダム化第 3 相試験

## ❖試験の背景




多系統萎縮症（以下、MSA）は、体の動きや自律神経の働きが徐々に低下していく進行性の病気です。現在の治療では病気の進行を抑えることができません。ユビキノール（還元型コエンザイム Q10）は、細胞のエネルギー産生を助ける物質で、これまでの研究から MSA の症状の進行を遅らせる可能性があります。本試験では、このユビキノールを含む治験薬を「MSA-01」とよびます。

## ❖試験の目的

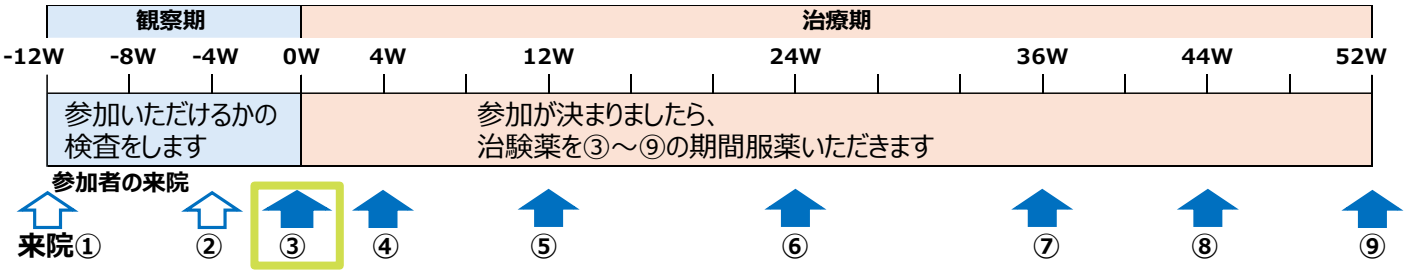
MSA-01 が MSA の進行を遅らせるかどうか、そして安全に使用できるかについて、一部の患者さんに使用いただいて確認することです。その結果をもとに、MSA-01 が将来の治療薬となるかを検証します。

## ❖評価項目

👉主要評価：運動機能の状態を「UMSARS part2」という指標を用いて点数化します。MSA-01 を 52 週間服薬した後のこの点数の変化が、MSA-01 を服薬しなかった場合と比べて、改善されているか評価します。

👉副次評価：主要評価で使用する指標とは別の 3 種類を用いて、主要評価と同じ評価をします。また、服薬途中の来院時における指標（UMSARS part2 と他の 3 種類）の変化も確認します。

## ❖試験デザイン




服薬いただく治験薬について
コンピュータシステムにより、MSA-01 もしくはプラセボのどちらかのグループに決定されます。MSA-01 のグループになる確率は 2 分の 1(50%)です。どちらを服薬いただくかは、担当医にも参加いただく方にも分かりません。

## ❖参加者について　参加者は 140 名です

**参加いただくための主な基準**　その他にも基準があるため、参加いただけるか医療機関とご相談ください

- ➤ MSA と診断された方
- ➤ 参加時点で 30 歳以上 80 歳未満の方
- ➤ 補助手段（杖、歩行器、手すりなど）を用いてもよいので歩行できる方
- ➤ 治験参加中は、CoQ10 サプリメントを休薬できる方

## ❖服薬方法・期間

参加が決まりましたら、服薬を開始いただきます。
MSA-01 を、1 日 1 回朝食後に服薬いただきます。量が多いと感じられましたら、1 日に 2-3 回に分けて服薬いただくことも可能です。服薬期間は 1 年間です。
参加を決める検査に 1～3 か月かかります。来院回数は、服薬開始後は約 7 回です。
来院時は、3 時間～4 時間をご予定ください

## ❖予測される利益/不利益

MSA-01 を服用することによって、MSA による症状の進行が遅くなる可能性がありますが、プラセボが割り当てられる可能性もあります。これまでどおり、症状に応じた治療を受けられますが（一部に制限があります）、CoQ10 のサプリメントを休薬する必要があります。服薬開始から約 7 回の通院があり、診察や検査を受けていただきます。

第 2 相試験では、MSA-01 とプラセボで全体の副作用の頻度はほぼ同程度でしたが、MSA-01 を服薬した方で、下痢・軟便、おなかの張りや不快感、心電図の変化、筋肉の検査値の上昇がやや多くみられました。多くは軽度でしたが、これまでに知られていない副作用が起こる可能性もあります。

👉主な検査内容について　詳細は医療機関にお尋ねください

| | 問診 | 運動等の評価 | 臨床検査 | 心電図検査 | 血中濃度測定 | 胸部 X 線検査 | 感染症検査 | 患者日誌 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 観察期※1 | | | | | | | | — |
| | ※1 参加いただけるか確認する主な検査 | | | | | | | |
| 治療期※2 | | | | | | — | — | |
| | ※2 治験薬服薬中の主な検査 | | | | | | | |

## ❖お問い合わせ先

レジストリー登録がこれからの方へ

レジストリーHP の案内窓口にお問い合わせをお願いします。

登録可能施設一覧｜登録可能施設一覧｜多系統萎縮症レジストリー

レジストリー登録がお済みの方へ　：

それぞれの病院で、治験に参加できると考えられる方に順次、ご連絡を差し上げます。

詳細を確認されたい場合には、レジストリー登録された施設にお問い合わせください。

「MSA-01 治験」の担当コーディネーター(CRC)にお尋ねください。

| 実施医療機関名 | 連絡先電話番号 | 受付時間 |
|---|---|---|
| 北海道大学病院 | 011-706-7600 (直通) | 平日 8:30～17:00 |
| 新潟大学医歯学総合病院 | 本試験には参加しません。 | |
| 東京大学医学部附属病院 | 03-5800-9747 (直通) | 平日 8:30～17:00 |
| 国立精神・神経医療研究センター病院 | 042-341-2712 (内線:3074) | 平日 9:00～17:00 |
| 東京科学大学病院 | 03-5803-5612 (直通) | 平日 8:30～17:00 |
| 国立病院機構 東埼玉病院 | 048-768-1161 (代表) | 平日 9:00～14:30 |
| 千葉大学医学部附属病院 | 準備中* | |
| 名古屋大学医学部附属病院 | 準備中* | |
| 京都大学医学部附属病院 | 075-751-4389 (直通) | 平日 8:30～17:15 |
| 鳥取大学医学部附属病院 | 0859-38-6946 (直通) | 平日 8:30～17:00 |
| 岡山大学病院 | 086-235-7991 (直通) | 平日 8:30～17:00 |
| 九州大学病院 | 準備中* | |
| 鹿児島大学病院 | 099-275-5553 (直通) | 平日 9:00～17:00 |

＊準備が完了しましたら、本概要を改訂し、お知らせします。

## ❖参考にした情報

- 本「治験の概要（一般の方向け）」の作成について

  欧州連合・欧州経済領域諸国（EU・EEA）における臨床試験規則(EU/CTR536/2014)に記載のある、レイプロトコシノプシス（Lay Protocol Synopsis）の説明を参考にしました。
- 第 2 相試験について

  eClinicalMedicine 2023;59:101920 に論文発表されています。