2026年11月3日　全国SCD・MSA友の会 主催　医療相談会 配布資料

MSA・SCD 治験・新薬情報

多系統萎縮症（MSA）・脊髄小脳変性症（SCD）に関する主な治験・研究開発情報をまとめました。
治験は一般に第Ⅰ相→第Ⅱ相→第Ⅲ相の順に進み、その後、承認審査が行われます。
「募集終了」は参加者の募集が終わった状態で、試験そのものの終了とは限りません。
※ SCDは疾患全体の呼び名、SCAはそのうち主に遺伝性の脊髄小脳失調症を指します。

◆ MSA（多系統萎縮症）

薬剤名	対象疾患	薬の働き・投与方法	進行段階・募集状況	備考
ユビキノール (MSA-01／CoQ10)	MSA	細胞のエネルギー産生を助ける（経口）	第Ⅲ相 **募集中**	jRCT2031250696 患者登録などの参加条件あり
エムルソルミン (TEV-56286)	MSA	異常なタンパク質の固まりを防ぐ（経口）	第Ⅱ相 **継続試験のみ募集中**	主試験：募集終了 継続試験：主試験終了者のみ
YA-101	MSA	神経の炎症を抑えることを目指す（経口）	第Ⅱ相 募集終了	jRCT2031250249 主な結果は2027年初めに公表予定
アムレネツグ (Lu AF82422)	MSA	異常なタンパク質に働きかける抗体薬（点滴）	第Ⅲ相 募集終了	jRCT2021240061 参加者向けの継続投与あり
ONO-2808	MSA	神経を包む膜をつくる細胞の働きを助ける（経口）	第Ⅱ相の主要部分終了 第Ⅲ相計画	jRCT2041230153 募集終了
ION464 (BIIB101)	MSA	病気に関係するタンパク質を減らす（髄腔内投与）	海外第Ⅰ相 募集中	国内開始未定
ATH434	MSA	鉄の働きを調整し、異常なタンパク質の蓄積を抑える（経口）	海外第Ⅲ相 準備中	国内開始未定

◆ SCD（脊髄小脳変性症）

薬剤名	対象疾患	薬の働き・投与方法	進行段階・募集状況	備考
ロバチレリン (KPS-0373)	SCD	小脳の働きを高めることを目指す（経口）	第Ⅲ相 募集終了	jRCT2011250017
VO659	SCA1・3等	異常な遺伝子情報の働きを抑える（髄腔内投与）	海外第Ⅰ/Ⅱ相 募集中	国内開始未定
S233107	SCA3	新しい治療薬候補（髄腔内投与）	海外第Ⅰb/Ⅱa相 欧州試験終了	国内開始未定
ステムカイマル	SCA3・6	細胞を用いた再生医療製品（点滴）	第Ⅱ相終了 承認申請中	2026年6月、国内で製造販売承認申請
ARO-ATXN2	SCA2	病気の原因となるタンパク質を減らす（髄腔内投与）	海外第Ⅰ相 募集終了	国内開始未定
IB1001 (N-アセチル-L-ロイシン)	SCA6	細胞のエネルギー代謝を助ける（経口）	海外第Ⅲ相 募集中	国内開始未定
トロリルゾール	SCA	神経伝達物質の働きを調節（経口）	海外第Ⅲ相終了 米国承認審査中	2026年10月 FDAが再申請を受理 審査目標：2027年初め

◆ 研究（治験とは別枠）

薬剤名	対象疾患	薬の働き・投与方法	進行段階・募集状況	備考
HAL（腰タイプ）	SCD・痙性対麻痺・ALS・筋疾患	歩行を支援するロボットを用いた研究	臨床研究 募集中	jRCTs022250051／東北大学病院

参加を検討する方へ

・「募集中」でも病型・年齢・症状・通院条件などにより参加できない場合があります。
・エムルソルミンの継続試験は主試験を終えた方に限られ、新規の患者募集ではありません。
・「国内開始未定」は国内実施の決定を意味しません。治験の利益とリスクは主治医にご相談ください。

情報源：jRCT・ClinicalTrials.gov・欧州CTIS・開発企業発表・米SEC（2026年10月25日確認）。募集状況は変更される可能性があります。