

ALS治療薬開発アップデート2025

これまで報告してきたALS世界ニュースや専門情報を中心に、現在開発中のALS治療薬について、アップデートしてみました(2025年10月22日現在)。

大まかな分類・作用のメカニズム		化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre- Clinical P I P II P III 申請	参照
神経細胞の 保護作用	脳神経のメタボリズム(代謝作用)のサポートと、酸化による細胞ストレスを大幅に減少させ、疾患の進行を抑制する	CNM-Au8: 金ナノ結晶を用いた 経口懸濁液	Clene・米国	 P II およびexpanded access program* (EAP)のバイオマーカーデータ(生存期間 延長を示唆するNfL(neurofilament light chain)低下データ)にて、2025年中に、 米国にて迅速承認(accelerated approval)に申請予定	・ALS世界ニュース[米国] Clene(クリーン社)の金ナノ結 晶CNM-Au8薬2025.1.3 ・ALS NEWS TODAY Clene eyeing regulatory submission for CNM-Au8 in ALS by year's end
	カリウム・チャンネル:Kv7.2/3 チャン ネルを活性化させ、ALS運動ニューロ ンの過剰興奮を抑える	QRL-101: Kv7.2/3 チャンネル オープナー	QuaAlis・米国	 P I 実施中。最新データ↓ QuaAlis Announces Topline Data From its Phase 1 Clinical Trial of QRL-101 Evaluating Biomarkers of ALS and Epilepsy in Healthy Volunteers	・ALS世界ニュース[米国] ALS 治療ターゲットとして大 いに期待されるカリウム・チ ャンネルー神経の過剰興奮性 の緩和 2025.2.3 MEDICINOVA、MN-166 (イブ ジラスト) の筋萎縮性側索硬化 症 (ALS) を対象とする フェー ズ 2/3 臨床試験
	炎症促進作用のある生体内物質の 抑制、抗炎症作用のある生体内物 質の促進、神経栄養因子の活性化 などによる、抗神経炎症作用及び神 経保護作用	MN-166 (イブジラス ト):経口投与可能な 低分子化合物	MediciNova・米 国、カナダ	 米国・カナダにてP II / III 患者登録が終了↓ (COMBAT-ALS) の患者登録完了及び患者 募集終了のお知らせ 2025.9.22	

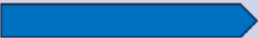
*Expanded Access Program (EAP): 代替治療薬の存在しない致死的な疾患等の治療のために人道的見地から未承認薬の提供を行う制度。Compassionate useともいわれる。

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8722&dataType=1&pageNo=1

大まかな分類・作用のメカニズム		化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre- Clinical P I P II P III 申請	参照
神経細胞の 保護作用	神経保護作用をもつ、グリア細胞の TERM2受容体の安定化・活性化によ り、神経の炎症、変性を抑制する	VHB937: 完全ヒト型 TERM2アゴニストモノクローナル抗体	ノバルティス・グ ローバル	日本を含む、グローバルP II 実施中。 2028.6月終了予定。↓ ・ A Clinical Trial to Learn About the Effects of VHB937 in People With Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS)Last Update: Oct 07, 2025 ・ 筋萎縮性側索硬化症（ALS）を対象としたVHB937の40週間にわたる第II相、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、並行群間比較試験、並びに非盲検継続試験	VHB937, a TREM2 Stabilizing and Activating Antibody Strongly Reduces Pathology After Peripheral Administration in a Broad Range of Animal Models for Neuroinflammation and Neurodegeneration
	2つの免疫調節作用をもつ、コンピ ネーション抗原製剤。炎症抑制細胞 の活性化と炎症細胞の抑制により、 神経細胞の炎症を相乗的に抑制する	COYA302: コンピ ネーション抗原製剤 (白血球の活動を規制する免疫系シグナル分子IL-2、細胞傷害性Tリンパ球関連抗原4)	Coya・米国	米国にてP II が認可↓ Coya Therapeutics Announces FDA Acceptance of Investigational New Drug (IND) Application for COYA 302 for the Treatment of Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS)	[米国]COYA302という臨床試験中の薬について 2024.4.19
	ALS抵抗性をもつ患者から見出され た抗体。様々な神経変性疾患に関 与しているUNC5C受容体タンパク 質をターゲットとしている	ATLX-1282 :抗体製剤	Eli Lilly/Alchemab・ 米国	米国にてP I 開始↓ Alchemab Therapeutics initiates Phase 1 clinical trial of ATLX-1282 and announces Series A financing extension	ALS世界ニュース[英国] 製薬企業イーライリリー、英国バイオ企業Alchemabと4億1500万ドル規模のALS治療薬開発の提携を締結
	神経線維の変異に深く関与している、 SARM1タンパク質の阻害	ASHA-624: SARM1タンパク質 阻害剤(分子内接着 阻害剤)	ASHA・米国	プレクリニカルモデルにて、神経機能の回復を確認↓ A Multi-Modal Approach to Treat Neurological Disease	2025.5.9 ALS世界ニュース[米国] 米国ALS協会、SARM1阻害剤の開発支援としてASHA社に薬剤開発グラントを授与 2024.12.4

大まかな分類・作用のメカニズム			化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre- Clinical P I P II P III 申請	参照
家族性ALS	FUS変異	FUS遺伝子変異により毒性を持った異常なFUSタンパク質の生成阻害	ウレフネルセン (jacifusen): 核酸医薬 (アンチセンスヌクレオチド)	大塚製薬 / Ionis・グローバル	 日本を含む、グローバルPⅢ実施中。 臨床試験の中間報告あり。↓ 活動・お知らせ動画のご紹介「ALSと診断されたあなたへ～「選び、ともに創る」治療と暮らし～」 2025.9.13～ 演題：ALSと遺伝 ～家族性ALSと新規治療薬～	・ALS専門情報、ALS治療薬のアップデート <2024年末> 2024.12.26
	SOD-1変異	SOD-1遺伝子変異により毒性を持った異常なSOD-1タンパク質の生成阻害：疾患の原因となる変異SOD-1のmRNAに結合し、ハサミのようにその分解を誘導し、異常なSOD-1タンパク質の産生を抑制	ALN-SOD (低分子干渉RNA (RNAi))	Regeneron 及び Alnylam・グローバル	 日本、オーストラリア、カナダ、韓国、台湾にてP I 実施中↓ First in Human (FIH) Study of ALN-SOD in Adult Participants With Amyotrophic Lateral Sclerosis Associated With Mutation in the SOD1 Gene (SOD1-ALS)	・徳島大学プレスリリース、SOD1 変異を有する筋萎縮性側索硬化症 (ALS) の治験の実施 2025_8.4 ・RNAiのサイエンス RNAi治療薬のパイオニア November 19, 2024 QurAlis' Antisense Clinical Trial of QRL-201 in ALS Advances to Dose Range-Finding (DRF) Phase With First Participant Dosed
重要機能タンパク質の回復	神経修復、軸索安定性、筋神経支配に重要な役割を果たす、STMN2タンパクの機能回復	核内SOD-1喪失により失われた、STMN2のm-RNAの適切なスプライシングを回復させ、STMN2タンパクを増加させる。	QRL-201: 核酸医薬 (アンチセンスヌクレオチド)	QurAlis・米国、カナダ、EU、UK	 米国、カナダ、EU、UKにてP I 実施中	ALS専門情報、UNC13Aの発現異常の新たな経路を発見 2025.8.24
	神経細胞が適切に情報を伝えるために不可欠なUNC13Aタンパクの機能回復	核内SOD-1喪失により失われた、UNC13Aのm-RNAの適切なスプライシングを回復させ、UNC13Aタンパクを増加させる。	QRL-204: 核酸医薬 (アンチセンスヌクレオチド)	Eli Lilly/QurAlis・米国	 新薬臨床試験開始申請 (IND) のための研究実施中	ALS専門情報、UNC13Aの発現異常の新たな経路を発見 2025.8.24
			核酸医薬 (アンチセンスヌクレオチド)	Trace・米国	 新薬臨床試験開始申請 (IND) のための研究実施中	

大まかな分類・作用のメカニズム			化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre-Clinical P I P II P III 申請	参照先
再生医療	iPS細胞由来: グリア細胞による運動ニューロン細胞死の抑制	iPS細胞から、神経グリア前駆細胞へと分化誘導された再生医療製品。グリア細胞は、成長因子の供給、毒素除去、免疫反応の調整などを通じて、ALSにおける運動ニューロンの細胞死を抑制し、その機能を保護する役割がある	iPS神経グリア前駆細胞	リプロセル・日本	 動物実験にて、グリア細胞の生着と運動機能の改善を確認	ALS専門情報、iPS細胞医療の実用化～神経変性疾患の再生医療～iPS細胞を用いたALS治療のClinical Trial Phase1が米国で認可 2025.6.24
	iPS細胞由来: 運動ニューロン前駆体の移植	iPS細胞から運動ニューロン前駆体に誘導した細胞をALS患者の脳に移植	XS-228: iPS細胞ALS cell therapy	Xellsmart Biopharmaceutical・中国、米国	 ・米国にてP I 認可 ・中国にて、2024年に早期臨床試験を実施。安全性が確認され、標準治療と比べ、疾患進行の抑制を確認	
	間葉系幹細胞 (MSC): 患者の自己骨髄	神経栄養因子 (NTF) を高レベルで分泌する、MSC-NTFに培養、患者に戻し、神経細胞を保護する	NurOwn®	Brainstorm・米国	 P III b (早期～中期ALS患者を対象) が米国で認可	ALS専門情報、ヒト自己骨髄由来間葉系幹細胞「STR03」のALSへの適応に向けた第II相臨床試験開始 2025.7.28
		神経保護作用や神経栄養作用、血液脊髄関門の安定化などを通じて、ALS の進行抑制や QOL の改善	STR03	ニプロ・日本	 P II 開始	

大まかな分類・作用のメカニズム			化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre-Clinical P I P II P III 申請	参照先
ドラッグリポジショニング(既存薬の転用)	パーキンソン病治療薬の転用 (iPS細胞技術により見出される)	・細胞外小胞内包タンパク質の病的変化の抑制 ・運動ニューロンレベルでのコレステロール合成亢進の抑制	ロピニロール	アルフレッサ ファーマ/ケイ ファーマ・日本	 P III 準備中。2020年代後半の承認をめざす。	・ ALS専門情報ALS治療薬ロピニロールは2020年代後半の実用化を目指す
	慢性骨髄性白血病治療薬の転用 (iPS細胞技術により見出される)	オートファジーといわれる不要なタンパク質を分解する働きを促進し、ALS運動ニューロンに蓄積した折りたたみ異常を示すタンパク質を減少させる	ボスチニブ	京都大学・日本	 P II 終了	2024.11.26 ・ ALS専門情報ALS治療薬のアップデート＜2024年末＞2024.12.26 ・ AMED、患者さん由来iPS細胞を用いた化合物スクリーニングにより、筋萎縮性側索硬化症の治療標的分子経路を特定 ・ ALS専門情報イステルのニューロセン ・ ス・セラピューテックス社のプライムC薬、今年中期には第三相トリアル開始
	非ステロイド性抗炎症薬・抗生剤 (ニューキノロン系、核酸合成阻害)の転用	ある特定のマイクロRNA合成を制御し、選択的に酵素COX2を阻害することにより脳神経炎症を減少させ、鉄蓄積を調節し、ALSの進行を相乗効果的に阻止する	Prime-C (セレコキシブとシプロフロキサシンの合剤)	NeuroSense・ 米国	 P III 準備中	
神経シナプスの再生		多くの神経変性疾患で優先的に失われる、グルタミン酸作動性シナプスの樹状突起から出ている小さな隆起を再生し、新しいシナプスの形成を引き起こす。	SPG302: 経口薬(錠剤)	Spinogenix・ オーストラリア、 米国	 オーストラリアにて、P II 終了。米国で新薬臨床試験開始およびEAPが認可。↓ ・ AMYOTROPHIC LATERAL SCLEROSIS (ALS) ・ ALS NEWS TODAY FDA clears expanded access program for SPG302 in ALS patients	か。2025.4.1 Regenerating Synapses – SPG302 and the Tags™ Technology Platform

大まかな分類・作用のメカニズム			化合物情報	開発企業・ 主な開発国	進捗状況 Pre- Clinical P I P II P III 申請	参照先
TDP-43凝集体	TDP-43凝集体の 解消	TDP-43凝集体生成をコン デンセート(相分離)生 物学として物理化学的に 解析し、凝集体を解消す る薬剤を開発する	コンデンセート 調節薬(c-mod)	東京田辺三菱 製薬 /Dewpoint・米 国	 動物ALSモデルにて、TDP-43の凝集 体から選択的にTDP-43を離脱させ、正 しい存在場所である核内の局在を回復さ せることを確認	ALS専門情報、TDP-43をタ ーゲットとしたALS治療薬 の開発 2025.3.24
	TDP-43凝集中間 体オリゴマー生成 の阻止	毒性の高い、TDP-43凝 集体生成前の中間体:オリ ゴマーの生成を阻止す る	低分子薬WTX- 245	WaveBreak・米 国	 神経細胞モデルにて、TDP-43の凝集を 有意に低下させ、mRNAの正常な転写 機能を回復させ、スプライシングのミスを 低下させることを確認	
	TDP-43凝集体の 解消	細胞内抗体:TDP-43抗 体をコードする遺伝子を 細胞内に導入し、細胞内 でTDP-43に対する抗体 を生成させ、TDP-43凝集 体を解消する	人由来の細胞 内抗体	Mabylon・ 米国	 複数の候補抗体について、Preclinicalモ デルを用いた評価を実施中	
動く遺伝子、 レトロラン スポソンの 抑制	自律的にゲノム挿入を繰り返し、増幅することが でき、活性化により免疫反応を通して炎症を起 こし神経細胞死を引き起こす、レトロランスポ ンLINE-1の逆転写や複製を抑制	ゲノム逆転写複 製阻害薬OBP- 601(センサブジ ン薬、TPN-101	オンコリス(日 本)、トランスポ ゾン・米国	 米国にて、P II a終了。 ・ PIPELINE TPN-101 ・ 2024 Annual NEALS Meetingにおける OBP-601のC9-ALS Phase2a試験に関する	ALS世界ニュース[米国 スイス]期待されるイントラボディ（細 胞内抗体）： 画期的な治療法 か?2025.3.1 ・ ALS NEWS TODAY Mabylon gets funding to advance human- derived antibodies for ALS ALS世界ニュース[日本、米 国]期待されるレトロトラ ンスポゾンLINE-1阻害剤 2024.2.26	
ドラッグデリ バリー(必 要な薬剤を 必要な部位 に届ける) システム	血液脳関門 (BBB)の一時的 開放	MRガイド下集束超音波 (FUS)による、マイクロバ ブル伸縮にて、特定部位 のBBBを一時的に開口、 治療薬免疫グロブリンを 透過させる	マイクロバブル/ 抗体治療薬免 疫グロブリン(い ずれもFUS照射 前に投与)	サニーブルッ ク・リサーチ・イ ンスティテュー ト・カナダ	知らせ P I 実施中。血液脳関門を一時的に開 口し、治療薬剤の投与に成功	ALS世界ニュース、[カナダ ト ロント]世界初： FUS (Focused Ultrasound、集束超音波)で、 BBB (Blood Brain Barrier、脳関 門)を一時的に開け、ALS患者の