

+ 医知創造ラボ

「治らない」が変わる 脳と神経の 最新ブレイクスルー

世界の最新論文と、日本発・世界初のiPS治療(2025-2026)

2025-2026

脳神経内科医が解説 所要 約13分

いま、脳と神経の病気で 何が起きているの？

結論

「治らない」とされた病気に3つの革命。
とくに日本発のiPS治療が、
世界で初めて承認・保険適用されました。

- この動画でわかること

3つの「革命」でつかむ、神経医療の今

1 遺伝子を狙う薬

ALS・難治てんかん・脊髄性筋萎縮症

2 失った細胞を補う再生医療

日本発・iPS細胞のパーキンソン病治療

3 打つ手がなかった病気へ

進行型MS・脳腫瘍・脳梗塞の新展開

CHAPTER

01

遺伝子を狙う「核酸医薬」

■ ① ALS(筋萎縮性側索硬化症)

26歳の女性が、 もう一度 歩き始めた

遺伝子(FUS)の異常で起こる若いALS。原因遺伝子の働きを抑える**核酸医薬**を背中から注射しました。

- ✓ 神経が壊れる勢いが大きく低下
- ✓ 1人は人工呼吸器なしで歩行・呼吸を回復
- ✓ 日本では治験段階(未承認)

+ 医知創造ラボ



神経が壊れる目印(NfL)が
大きく低下
Lancet 2025・少数例の
報告

- ① ドラベ症候群(難治のてんかん)

壊れていない「もう片方の遺伝子」を働かせて、発作を抑える

子どもの重いてんかん「ドラベ症候群」。今までの薬は発作を抑えるだけでしたが、新しい核酸医薬は**病気の原因そのもの**に働きかけます。

📄 ここがすごい

発作が大きく減るだけでなく、**言葉や行動の発達まで改善した**と報告(NEJM 2026)。

⚠️ **世界で第3相試験が進行中で、日本では未承認です。**

■ ① 脊髄性筋萎縮症(SMA)

「一回の遺伝子治療」を、 大きな子どもにも届くように

SMAは筋肉が弱っていく難病。点滴の遺伝子治療は体重などの制限が大きかったのですが、**背中から直接届ける方法**で対象を広げました。

📄 **ここがすごい**

2～18歳を対象にした比較試験で、運動機能スコアが偽治療より有意に改善(STEER, Nature Medicine 2025)。**年齢の壁**を押し広げた一回投与の治療です。

⚠️ **点滴型は国内承認済。この背中から届けるタイプは未承認です。**

CHAPTER

02

失った細胞を補う「再生医療」
— 日本発のiPS

—

■ ② パーキンソン病(iPS細胞・日本発)

減ったドパミン神経を、 iPS細胞で補う

京都大学のチームが、iPS細胞から作ったドパミン神経のもとを脳(被殻)に移植しました(Nature 2025)。

- ✓ 重い副作用・腫瘍はなし(安全性を達成)
- ✓ ドパミンを作る力が回復
- ✓ 運動症状の改善傾向(7例・初期段階)

+ 医知創造ラボ



安全に生着+ドパミン産生
日本発・京都大学
Nature 2025・7例

- ② 日本での実用化(世界初)

iPSの治療薬が、世界で初めて承認され「保険」で使えるように

日本発の「アムシェプリ」(住友ファーマ)が2026年に承認・保険適用に。
iPS細胞由来の再生医療製品としては世界初です。

⚠️ ただし、ここは正確に

当面はごく限られた施設・人数が対象で、最初の治療は2026年末ごろから。「誰でもすぐ」「完治」ではなく、少人数で改善傾向を確認した段階です。

CHAPTER

03

打つ手がなかった病気に、
新しい選択肢

■ ③ 多発性硬化症(進行型)

進行を止められなかったMSに、 初めて効く薬

再発を伴わない「進行型」のMSには、進行を抑える有効な薬がありませんでした。新しい飲み薬(BTK阻害薬)が**初めて進行を抑えた**のです。

📄 ここがすごい

6か月後に障害が進んだ人の割合を有意に減らしました
(HERCULES, NEJM 2025)。進行型MSで初の有効性です。

⚠️ 日本では治験段階で、まだ使えません。

■ ③ 脳腫瘍(IDH変異の神経膠腫)

手術後の脳腫瘍を、 ”飲み薬”で抑える

これまで「経過観察か、放射線・抗がん剤か」しかなかった、進行のゆるやかな脳腫瘍。そこに脳に届く飲み薬(IDH阻害薬)が登場しました。

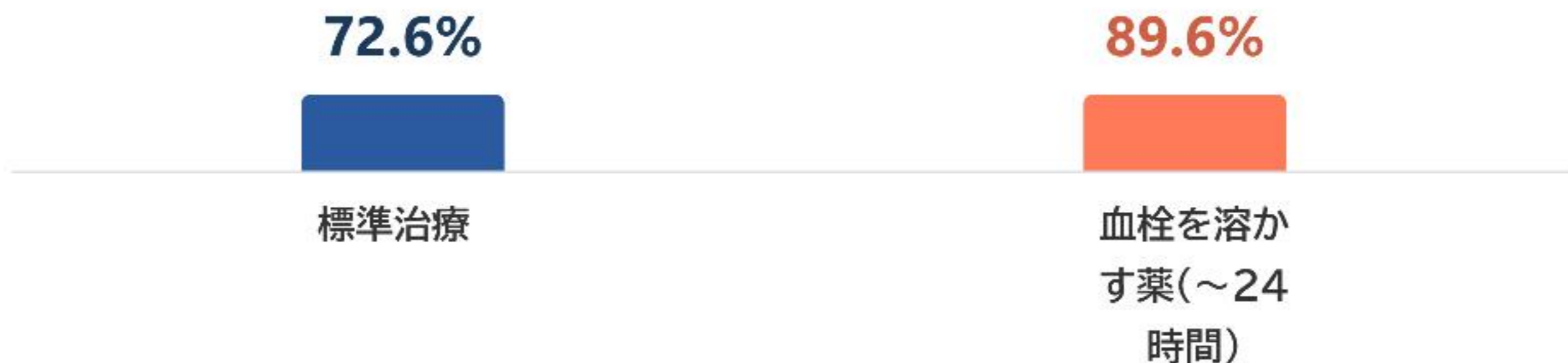
📄 ここがすごい

腫瘍の増大を抑え、てんかん発作も減りました(INDIGO, Lancet Oncology 2025)。手術後の経過を変えうる薬です。

⚠️ 米国では承認、日本では未承認です。

■ ③ 脳梗塞(後方循環)

”手遅れ”だった脳梗塞を、 最大24時間まで治療できる時代へ



90日後に自立して生活できた人の割合(EXPECTS, NEJM 2025)。※後方循環・主に軽症が対象。日本では適応外の知見です。

■ 7つの治療まとめ

何が新しい？ 日本では受けられる？

病気	何が新しいか	日本での状況
ALS	原因遺伝子を抑える核酸医薬で機能回復例	治験段階
ドラベ症候群	発作＋発達を改善する核酸医薬	未承認
SMA	背中から届ける一回の遺伝子治療	点滴型は承認
パーキンソン病	iPS細胞でドパミン神経を補う(日本発)	2026 承認・保険
進行型MS	進行を抑える初の飲み薬	治験段階
脳腫瘍	IDH変異を狙う飲み薬	海外承認
脳梗塞	治療できる時間を最大24時間へ	適応外の知見



「いつ自分が受けられる？」と思ったら

日本で使えるのは現時点でiPSのパーキンソン病治療（施設・人数限定）など一部で、多くはまだ治験・海外承認・適応外の段階です。この動画は一般的な情報提供で、診断・治療の代わりにはなりません。気になる症状や治療は主治医にご相談ください。

■ まとめ

2025-2026、神経医療の「3つの革命」

01

遺伝子を狙う

核酸医薬や遺伝子治療が、ALS・てんかん・SMAで「原因」に届き始めました。

02

細胞を補う(日本発)

iPS細胞のパーキンソン病治療が、世界で初めて承認・保険適用になりました。

03

打つ手を増やす

進行型MS・脳腫瘍・脳梗塞にも、新しい選択肢が生まれています。

+ 医知創造ラボ

役に立ったら、応援お願いします

最新の医学を、現場の視点でやさしく解説しています



チャンネル登録



高評価

参考:本動画は査読済みの医学論文(PubMed収載)に基づいています