

2026年1月7日



分野：生命科学・医学系

キーワード：TGCV、医薬品開発、治療、CNT-01、トリカプリン・トリスデカノイン

希少難病『TGCV』治療の扉を開く 治療薬「CNT-01」の開発を医学部附属病院にて再開

【研究成果のポイント】

- ◆ 中性脂肪蓄積心筋血管症(TGCV)^{※1} 治療薬「CNT-01」(主成分:トリカプリン・トリスデカノイン^{※2})について、この度、厚生労働省による先駆け医薬品審査指定が国内製薬企業から承継され、大阪大学医学部附属病院において開発を再開。
- ◆ CNT-01 の主成分を含む栄養療法の効果が顕著であることが本学の研究により明らかとなっていたことから、CNT-01 の条件付き承認制度への該当性について独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と相談を開始。
- ◆ TGCV の治療体制が確立できれば、多くの患者の救命や予後の改善、社会復帰が可能になり、超高齢化社会における医療費の低減につながることに期待。

❖ 概要

大阪大学大学院医学系研究科中性脂肪学共同研究講座の平野賢一特任教授(常勤)らの研究グループが医師主導で開発してきた TGCV 治療薬 CNT-01(主成分:トリカプリン・トリスデカノイン)について、2025年12月18日、厚生労働省より国内製薬企業から大阪大学医学部附属病院への先駆け医薬品指定の付け替えが発出され、本学において開発を再開することになりました。これにより、成人発症の希少心臓難病である中性脂肪蓄積心筋血管症(TGCV)について、新たな治療の可能性を示す成果が期待されます。

図1 顕在患者数、死亡者数の増加(2024年度まで)と今後の増加見込み(2025年度以降)

累積診断数		死亡者数	
2020	336	58	
2021	491	70	前年比 20%増
2022	640	93	33%増
2023	812	120	29%増
2024	991	145	20%増
2025	1219	174	年20%増と仮定*
2026	1499	209	
2027	1844	251	
2028	2268	301	

2024年までは厚生労働省難治性疾患政策研究事業 TGCV研究班(平野班)による調査

* 日本循環器学会ガイドライン掲載の影響は考慮していない。

TGCV は、2008 年に大阪大学医学部附属病院で心臓移植を待つ患者の検査中に発見された希少疾患で、診断体制が確立した現在、顕在化する患者数が増加しています(図 1)。

研究グループはその治療薬「CNT-01」を開発しており、近年、その主成分を活用した食品での臨床試験において顕著な長期生命予後の改善を示しました。今回の本学における開発再開を受けて、研究チームは「条件付き承認制度」の活用について PMDA(医薬品医療機器総合機構)と検討を進めています。これにより、早期実用化の道が開ける可能性もあります。

今後、CNT-01 による TGCV の治療体制が確立できれば、1年あたり数千人規模の患者の救命や予後の改善にとどまらず、社会復帰が可能になることで患者自身の労働生産性確保も可能になると考えられます。さらに TGCV の診断法・治療法の海外展開は、「心不全パンデミック」とも叫ばれる喫緊の国際的な健康問題の改善に寄与する可能性があります。

【平野賢一 特任教授(常勤)のコメント】

TGCV は生命予後に直結する心臓難病です。1日でも早くこの難病を克服したいと考えております。

❖ 研究の背景

TGCV は、2008 年に大阪大学医学部附属病院で心臓移植を待っていた患者さんの調査を通じて発見された、成人がなる希少心臓難病です。本年、日本循環器学会・日本心不全学会合同心不全診療ガイドラインや欧州最大の希少疾患ネットワーク Orphanet の WEB サイトに掲載されるなど、国内外における周知が進んでいます。TGCV の 5 年生存率は約 70%(本学より 2023 年 6 月 2 日にプレスリリース)であり、本症の治療法開発は喫緊の課題となっています。

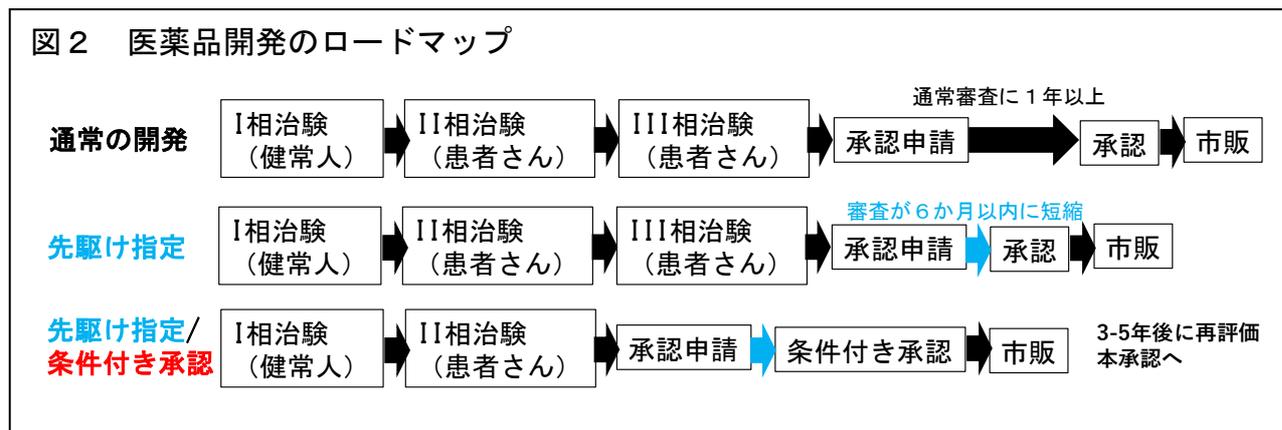
研究グループは、2012 年から厚生労働省・国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)などの難病関連予算を得て、TGCV 用治療薬 CNT-01(主成分は、トリカプリン・トリスデカノイン)を開発してきました(本学より 2016 年 8 月 10 日にプレスリリース)。そして、3度の医師主導治験の成功を経て、アカデミアでは初めて、2020 年に厚生労働省より先駆け審査指定制度の医薬品に指定されましたが、その後、国内製薬企業が実施した試験が主要評価項目で未達となっています。

また、TGCV の診断体制は全国レベルで確立したことから顕在患者数が増加しているところ、承認された治療薬が存在しないため、患者は治療抵抗性の心症状に苦しみ死亡者数が増加しています(図1)。

❖ 研究の内容

今回、研究グループが開発してきた TGCV 治療薬 CNT-01 について、2025 年 12 月 18 日、厚生労働省より国内製薬企業から大阪大学医学部附属病院への先駆け医薬品指定の付け替えが発出され、開発を再開することになりました。

最近では、検証的試験以外で TGCV 患者会と共同で実施した臨床研究により、トリカプリン・トリスデカノイン含有食品摂取患者における顕著な長期生命予後の改善が示されました(本学より 2025 年 2 月 19 日にプレスリリース)。これらより、CNT-01 の主成分を含む栄養療法の効果が顕著であることが明らかとなりましたが、偽薬対照で心血管イベントを評価する検証的試験は被検者保護の観点から倫理的に困難であると判断し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と条件付き承認制度(図2)への該当性について相談を開始しました。



❖ 本研究成果が社会に与える影響(本研究成果の意義)

CNT-01 を利用した TGCV の診断・治療体制が確立できれば、1年あたり数千人規模の患者の救命、予後の改善にとどまらず社会復帰が可能になることで、患者自身の労働生産性が確保できます。また、現状ではごく少数の TGCV 患者が移植等の高額かつ日常生活に制約を伴う治療を受けられるのみですが、栄養成分トリカプリン/トリスデカノインを用いた治療は有効性、安全性、利便性が極めて高い治療法のため、超高齢化社会の中、爆発的に増大する医療費の低減が可能になると考えられます。さらに TGCV の診断法・治療法の海外展開は、「心不全パンデミック」とも叫ばれる喫緊の国際的な健康問題の改善に寄与できます。

❖ 用語説明

※1 中性脂肪蓄積心筋血管症(TGCV)

Triglyceride deposit cardiomyovasculopathy。研究グループが日本の心臓移植待機症例から見出した新規難病 (N Engl J Med. 2008)。細胞内 TG 分解酵素である Adipose triglyceride lipase (ATGL) 遺伝子のホモ型変異を持つ原発性と ATGL には変異を認めない特発性に分類され、血清 TG 値や肥満度とは無関係に、冠動脈や心臓に TG が蓄積する。これまで想定されていなかった TG の生体における役割を示すモデル疾患でもある。2009 年から厚生労働省や日本医療研究開発機構の難病事業として診断法、治療法開発が進められている。

※2 トリカプリン・トリスデカノイン

母乳にも含まれる栄養成分で、TGCV における細胞内 TG 分解障害を改善する。大阪大学でアカデミア開発された治療薬 CNT-01(主成分はトリカプリン・トリスデカノイン)が、厚生労働省から先駆け医薬品指定/希少疾病用医薬品指定を受け、開発が続けられている。一方、医薬品開発には時間を要するため、一部の TGCV 患者はトリカプリン含有サプリメントや食品を用いた栄養療法を継続している。

トリスデカノイン: トリカプリンの国際一般名 (International nonproprietary name)
世界保健機構 (WHO) が定める国際医薬品の有効成分に対する一般名称

❖ 参考 URL

平野賢一 特任教授(常勤)

研究者総覧 URL <https://rd.iai.osaka-u.ac.jp/ja/9df4c433747552f7.html>

同 特任教授(常勤)が運用する TGCV についての情報サイト
TGCV channel: <https://www.youtube.com/@drhiranotgcv>
TGCV Note: <https://note.com/drhiranotgcv>