

## 研究課題別事後評価結果

1. 研究課題名：社会行動関連分子機構の解明に基づく自閉症の根本的治療法創出
2. 研究代表者名及び主たる研究参加者名(研究機関名・職名は研究参加期間終了時点):  
研究代表者  
加藤 進昌 (昭和大学医学部 教授)  
主たる共同研究者  
東田 陽博 (金沢大学子どものこころの発達研究センター 特任教授)  
山末 英典 (東京大学医学部附属病院 准教授)

### 3. 事後評価結果

#### ○総合評価コメント

自閉症を中核とする発達障害は今日、社会的関心の的になっており、その原因の解明および根本治療法の開発は社会的要請の極めて強い課題である。本研究においては、「自閉症の根本的治療法の創出」を目的に掲げ、極めて高い目標設定の上、研究をスタートした。当初、研究計画終了時の最終目標は、「幼児期早期にオキシトシンを経鼻的に投与し、社会性障害の脳基盤が完成される前に根本的な治療を行うこと」であったが、新生児コホート研究計画の実現性が困難であることから、対象を成人に絞り、オキシトシンの効果を確認する臨床試験を行った。本研究の特徴は、自閉症の症状の変化のみを評価するのではなく、社会性の障害の中間表現型を脳機能、生化学、脳の形態の様々なレベルから多面的に同定し、症状の改善とあわせて評価する生物学的評価系を開発した点にある。

本研究チームは、動物を使った基礎研究グループ、臨床上の仮説検証を実施する臨床研究グループ、実臨床を実践しながら大規模臨床データ取得を目指すグループと、バランスのとれた構成で研究を進め、この三つのグループを研究代表者が適切にマネジメントして期待通りの成果を得るに至った。すなわち、CD38 ノックアウトマウスにおける知見と中間表現型を指標とした臨床研究データが一致した方向性を示し、オキシトシンが脳機能に与える変化が社会性障害の修復を通じて自閉症治療に至る可能性を示すことができた点は大いに評価できる。

根本的治療法の創出という目標には至っていないものの、今後は、この課題で得られた成果を基盤として、オキシトシンが自閉症患者の脳機能に与える変化を詳細に解析し、ヒト-モデル動物間でのトランスレーショナル研究として実行することで、オキシトシンそのものに代わる治療手段の提示に結びつけていただきたい。