**【原著論文・症例報告・短報・総説】**

小児神経学における新薬開発の現状について

佐藤　愛1　，鈴木　翔太1,2　，高橋　拓也2,3

1. 国立病院機構ＡＡ病院小児科
2. ＢＢ大学医学部小児病態学
3. ＣＣ市民病院小児科

メールアドレスのリスト

佐藤　愛：aaa@aaa.ac.jp

鈴木　翔太：bbb@aaa.ac.jp

高橋　拓也：ccc@aaa.ac.jp

連絡先：〒000-0000 ＤＤ県ＥＥ郡ＦＦ町1-1

ＢＢ大学医学部小児病態学（高橋拓也）

E-mail : ccc@aaa.ac.jp

**要旨（文字数xx字）**

【目的】新薬開発の科学的効果を明らかにする．

【方法】薬剤研究に関する過去の53の報告を対象として，新薬開発を後方視的に検討した．

【結果】新薬開発率は6/53例(11.3%)で，グルコース代謝異常症3/3(100%)，………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………………

【結論】小児神経学における新薬開発は，研究活動の一部において………………………………………………………………………………………………………………………

**「見出し語」**小児神経学，新薬開発，グルコース代謝異常症

**はじめに**

　小児神経学では希少疾患に対する薬剤開発が望まれており1)，特にグルコース代謝異常症に………………………………………………．

　……………………今後開発される新規薬剤に期待が寄せられている7)．

**I 対象・方法**

2009年8月～2015年3月の間に，小児神経学領域において新規薬剤の開発された53研究を対象とし，

……………………………….

　この研究は，○○大学病院倫理委員会に申請し許可を得た（承認番号2018-11，2018年11月11日承認）「新規薬剤の実態調査」の同意説明文書を用いて説明，あるいは面接できない症例では郵送により説明，同意を得た．

**II 結果**

**1. 基本情報**

対象となった53研究…………………………(図１)．

**2. 薬剤効果と予後**

53研究中6報告………………………

………………………………(電子付録 1)．

**III 考察**

○○大学附属病院で情報収集を行った53研究の小児神経疾患において，………………………………

………………………………

貴重なデータ収集にご協力いただいた患者さん，紹介医の皆さんに深謝申し上げます．…………………………

**著者の利益相反：**佐藤愛，鈴木翔太；本論文発表内容に関連して開示すべき事項なし．高橋拓也：講演料など（X製薬会社）

脳と発達J-STAGE版で電子付録を公開している．

**文献**

1) Hanako Y, Tarou Y. Early identification of drug discovery. J Jap Med 2018;34:34-9.

2) 山田花子. 新薬の開発から治療の流れ. 山田太郎, 監修, 山田花子, 編. 小児神経の薬剤診療マニュアル 改訂第2版増補版. 東京: 診断と治療社, 2018:17-23.

3) …………………………………………………

**図表の説明**

**表１：患者基本情報**

**図１：新薬と副反応出現症例**

2018年11月20日現在のデータの集計を示す．

感染症：脳炎脳症など，Glut-1異常症：glucose transporter-1異常症

**図２：薬剤開発の変化**

2018年11月20日現在のデータの集計を示す．治療法開発前後での研究頻度の分布を示す．

**電子付録１：CPQOL-Teen 自己回答版日本語訳**

**Supplementary material 1 : Cerebral Palcy Quality of Life-Teen Version2 July 2013**

Current status of drug discovery in the field of child neurology

Ai Sato1, Shota Suzuki1,2, Takuya Takahashi2,3

1*Department of Pediatrics, National Hospital Organization AA Hospital, AA,DD*

2*Department of Pediatric Research, Faculty of Medicine, BB University, BB, DD*

3*Department of Pediatric, CC Municipal Hospital, CC, DD*

***Objective:*** To clarify the scientific effect of drug discovery…………….

***Methods:*** Drug discovery in the field of child neurology was retrospectively analyzed. For this purpose, previously published 53 reports were used as the subject……………….

***Results:*** Overall success rate was 6/53 (11.3%). Glucose metabolism disorder 3/3 (100%), …………………………………..

***Conclusions:*** For some disorders in the field of child neurology, success rate of drug discovery was

***Keywords:*** child neurology, new drug development, glucose metabolic disorders