

わが国の創薬推進を考える

山中伸弥教授のノーベル賞受賞以来、外来で患者さんから尋ねられる一番多い質問は「いつになったら iPS 細胞が XX 病の治療に使えるようになるのですか?」というものである。私は神経内科医として数々の、神経変性疾患を煩っている患者さんと話す機会が多いので、「XX 病」というのはパーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症 (amyotrophic lateral sclerosis: ALS)、脊髄小脳変性症などであることが多い。これらの疾患は現在の医学レベルでは原因治療は不可能であり、私たちは、徐々に生活満足度が低下して行く患者さんに少しでも長く快適な生活を送っていただくべく手を尽くすのだが、そのなかで、治療法の説明や選択、予後の説明など、無力感に苛まれることが多々あるのである。「これから数年もすれば、どんどん新しい治療法が開発されるでしょうからそれまで一緒に頑張りましょう」と励ますときに上記の質問に接することが多いのである。

iPS 細胞が神経疾患の治療として実用化されるまでにはいろいろな紆余曲折があるであろうし、最近の進歩が著しい生物学的製剤の神経疾患への応用にしてもなかなか実用化されないのが現状である。そればかりか、海外では大手を振って使われている一般薬でさえ国内では満足に使えない (保険収載されない) ことが多い。これが、よく言われる drug lag である。Drug lag の原因は規制当局の認可が遅いためであると言われてきたが、わが国の規制当局である医薬品医療機器総合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency: PMDA) による審査は最近では欧米並みに速くなっている (神経治療学 30: 332-336, 2013)。ほんとうの原因は、新規医薬品の開発につながりそうな有望な薬剤候補 (seeds) の発見のあとの、医薬品としてのかたちを整える段階、すなわち治験の組み立てに時間がかかっていたためである。この段階には、有効性評価、安全性評価、用量設定などが含まれているが、わが国の PMDA は要求水準が高く、海外でこの段階を済ませてからわが国で治験に入るといった動きが一般化していた。これを打破すべく海外での安全性や用量反応性のデータがわが国のそれと同

様であった場合は海外での第 3 相の結果のみで審査するブリッジング試験が行われたが、さらに海外と足並みを揃えるべく、はじめから国際共同治験に参加して評価を受ける手法がとられるようになっていく。一疾患あたりの患者数が大変少ない、いわゆる希少疾患が多い神経疾患の治験としては有力な方法であろう。

しかしこれには問題がある。わが国と海外との間の、治験に関する環境の差である。海外では医師の間で治験に関する関心が極めて高いが、わが国では極めて低い。海外では希少疾患とはいえ一国当たり数カ所しかない中心的医療機関に患者が集中するのに対し、わが国では各大学、大病院が皆、同じように「専門性」を押し出して希少疾患を奪い合っているために各施設当たりの患者数が非常に少ない。治験センターの人的資源が海外では豊富だが、わが国では貧弱である、等々である。

特に最後の問題は、わが国の大病院では分業化が未熟で医師が行わなければいけない (医師以外が実行しても構わないと思われる) 業務が多すぎるのに対し、国際共同治験に力を入れている国では、治験センターに桁違いの数の clinical research coordinator (CRC) を揃えて、数少ない医師が行う治験をバックアップしているのである。受託研究費の使途が、海外では CRC 等の雇用に主眼をおいているのに対し、わが国では実験器具など「モノ」を購入することに主に使われているのも際立った違いである (神経治療学 31: 231-236, 2014)。

今後、治験に興味を持ち高いモチベーションを持った人材をいかにして育てるのか、検討すべきであろう。本学は医学部、薬学部、看護学部が併設されている。これらが共同で運営する創業に関する講義・実習を、学生のうちから取り入れて行くべきではないだろうか。私たち臨床医は、疾病に対する戦いの最前線にいる。戦うための武器は少しでも多く揃えたいものである。ただ、手にした新しい武器を使いたいために無意味な戦いをしてはならないのだが、

(神経内科学講座 (大橋) 教授: 藤岡俊樹)