

新しい医薬品の概念が変える医療  
New concept of medicine will change the medical care

坂田 恒昭  
Tsuneaki Sakata, Ph.D.

大阪大学 共創機構  
Co-creation Bureau, Osaka University

従来は低分子化合物が主体であった医薬品であるが、ワトソン・クリックのセントラルドグマの提唱による分子生物学の発展を契機とする生命科学の進展による、基盤技術の精緻化と病気の理解が進むとともに医薬品の概念(モダリティ)も変わってきている。これは病気に苦しむ患者さんに福音をもたらす効き目が確かで安全の高い医薬品を創りたいという創薬科学者の欲求に基づいている。

一方、セントラルドグマに基づく医薬品である核酸医薬品、抗体医薬品をふくむ蛋白質医薬品、さらに遺伝治療薬などはまだ現状では生産コストも高く医療経済的に難問を抱えている。

昨年新型コロナウイルス(SARS-CoV-2)感染症対策として世界中に活用された mRNA ワクチンのように新型コロナウイルス(SARS-CoV-2)の遺伝子配列が2020年1月中国復旦大学により解明されてわずか1年余りで世に出すこともできた。しかしこの驚異的なスピードは過去の研究の積み重ね(RNA修飾とDDSであるLNPリン脂質研究)によって成し得たものである。これらの基本特許は米国ペンシルベニア大学およびカナダArbustus社により保有されている。

また最近では、デジタルアプリ治療というIT技術を駆使した治療方法も開発されている。これは禁煙だけでなく、生活習慣病改善、脳神経系の治療のためにスマートフォン、タブレットなどデジタル端末を用いての治療方法も開発されつつある。この開発には、ビッグデータと人工知能(AI: Artificial Intelligence)活用が不可欠である。

日本で発見され世に出た低分子化合物以外の医薬品も数多くある。大阪大学では赤堀四郎元総長を中心とするグループが世界のペプチド研究の中心であった。また国立循環器病研究センターにおいても寒川賢治元所長らにより、新規ペプチドが分離され医薬品また診断薬となっている。ANP、BNPはその例である。また、最近ではアクテムラ(一般名トシリズマブ)、オプジーボ(一般名ニボルマブ)などの抗体医薬品だけでなく、エクソスキッピング核酸医薬品(ビルテプソ)(一般名ビルトラルセン)、遺伝子治療薬コラテジェン(一般名ペペルミノゲン)も上市されている。

ただ、現在の新しい医薬品の形である核酸医薬品、抗体医薬品やデジタル治療法の基本概念特許の多くは日本で発明されたものではない。そのために現在医薬品の貿易収支は、大きな赤字になっている。

また、新規モダリティを世に出していくには、研究の独自性だけでなく、日本において生産、開発、薬事、承認などのバリューチェーンをどう構築していくかも議論する必要がある。

今後、病気で苦しむ患者さんを救うために、世界をリードできる医薬品のさらなる新しい概念が求められる。

本講演では本大会のテーマである次世代モダリティ、デジタルセラピーの歴史と今後の展望について概説を行う。