世界へ貢献する医学・医療の研究

野元 正弘

〔日内会誌 102 : 1905~1906, 2013〕

Key words 新薬開発と技術革新, 国際貢献, 神経疾患

神経疾患はこの20年間に多くの薬が開発され、現在は最も治療薬の豊富な分野となった。このため正確な診断とともに治療薬の適切な使用が、患者のQOL (quality of life) や予後を左右するようになっていく。今回はトピックスとして「神経疾患の新しい治療」が取り上げられている。神経疾患には有病率の高いcommon diseaseと、希少疾患の神経難病や筋疾患、代謝性疾患があり、いずれにおいても新しい治療が積極的に研究開発されている。common diseaseでは脳血管障害や頭痛、認知症が挙げられる。血管障害の発症および再発予防では降圧薬による予防効果が確認されてきたが、近年は抗凝固薬による再発予防効果と出血等のリスクのエビデンスが確認されている。最近の話題はグローバル臨床試験であり、世界的に臨床試験の実施体制が整備されて地域や国別の特徴が明らかとなり、日本の臨床研究の質の高さが示されている。認知症でも新しいコリンエステラーゼ阻害薬が開発され、さらに細胞死の原因に対する治療研究が進んでいる。Parkinson病ではアセチルコリン受容体、ドパミン受容体、グルタメイト受容体に続いて、アデノシン受容体に作用するイストラデ

フィルンが世界で初めて日本で開発され承認された。また、drug delivery system (DDS) の研究により経皮薬が開発され、治療効果の一層の改善が期待される。神経変性疾患に対する新しい治療薬として、Alzheimer病の神経細胞死の原因とされるアミロイド β タンパク (A- β) を、抗体を用いて除去し神経変性を抑制する治療薬が研究され、軽度の症例では効果が確認された。Parkinson病では α -synucleinが、小脳変性症ではataxinが、神経変性を起こす異常沈着タンパク質として研究されており、今後の新しい治療への展望が開かれ発展が期待される。また運動ニューロン疾患に対しても抗体薬による臨床研究が開始されている。免疫性疾患でも大きな進歩がみられている。IVIg (intravenous immunoglobulin) の大量点滴投与はGuillain-Barré症候群とともに慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (CIDP) に対して採用され、予後の大きな改善につながっている。最近では副腎皮質ホルモン薬で難治性の多発性筋炎に対しても承認され、また全身型重症筋無力症も適応が追加された。免疫抑制薬のタクロリムスやシクロスポリンは移植での臨床応用が開始され、現在では重症筋無力症にも適応拡大

愛媛大学大学院医学系研究科薬物療法・神経内科学

New and Future Treatments for Neurological Disorders—Knowledge Essential to Daily Clinics and Future Prospects. Editorial: Global contribution of medical innovation in Japan.

Masahiro Nomoto : Department of Neurology and Clinical Pharmacology, Ehime University Graduate School of Medicine, Japan.

Editorial

図 1. 40 年周期で推移する日本の産業

図 2. 主となる産業形態の移り変わり

されており副腎皮質ホルモンの副作用回避にも有用である。

希少疾患に対する治療薬開発の体制が整備されつつある。希少疾患の臨床試験は被験者のエントリーが困難となるため対象となる症例をあらかじめエントリーしておき、臨床試験の開始時には情報を提供して希望の被験者が参加できる体制の構築が必要となる。希少疾患の臨床試験では産官学の共同で進める必要があり体制の整備が進められている。

近年の医学の大きな変化は、医学のグローバル化であろう。海外と比べて治療薬の臨床応用が遅くなるdrug-lagが指摘されてきた。特にインターネットの発達により海外の情報がreal timeで届くようになり、最新の治療を求めての渡航例も少なくない。日常診療においてもインターネットで調べてから最新の治療を求めての受診例も多く、新しい治療情報の更新は一層必要となっている。治療薬の個人輸入も簡便となっており自己輸入しての治療や医療機関で輸入して研究治療、あるいはcompassionate useも、しば

しば行われている。また治療ガイドラインが多くの疾患で作成され、社会的にも日常診療で求められる基準の診療レベルとして位置付けられるようになってきている。治療ガイドラインはエビデンスを基に作成されるが、そのエビデンスの多くは海外の情報に基づくこととなり、治療ガイドラインの普及は医学のグローバル化を一層促進することになっている。

グローバル化は産業としての医学にも及んでおり、柱となる国内産業の推移とともに医学は国際的な貢献が期待される分野となった(図1, 図2)。世界をリードしている日本のiPS(induced pluripotent stem cell)細胞の研究は時を得ている。これまでは海外の優れた治療を導入して日常診療の向上を図ってきたが、これからは世界に先駆けて優れた治療とエビデンスを生み出し、日本から海外へ発信できることを期待し貢献したい。

著者のCOI (conflicts of interest) 開示：本論文発表内容に関連して特に申告なし