

巻頭言

この度、平成27(2015)年2月14日開催されたシンポジウム「革新的医療研究開発で挑む神経変性疾患—プリオン病治験体制の確立に向けて—」の講演録を刊行するのはこびとなった。

開催当時の厚生労働省の推計によれば、2025年には認知症の人は約700万人前後になり、65歳以上高齢者に対する割合は5人に1人となる見込みである。平成27年1月27日に発表された新オレンジプランでは、認知症の予防法、診断法、治療法の開発を推進することが明記された。平成27年4月1日には国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)が発足し、アカデミアが一丸となって医薬品医療機器開発に本格的に取り組みはじめた。本シンポジウムでは、認知症のなかでも、希少疾患であるプリオン病に焦点をあて、その治療薬開発を主要なテーマとして取り上げた。

プリオン病やアルツハイマー病などの神経変性疾患は、異常な構造を有する蛋白質が自己複製し、やがて脳の神経細胞が死滅する病気である。その治療には、正常な構造を安定化させ、異常な構造を抑制する薬剤を開発する必要がある。現代における量子サイエンスの発展に伴い、目的に合う分子を論理的に設計・合成することが可能となった。しかし、それが薬剤となるためには、薬機法及びICHに基づくレギュラトリーサイエンスを通じて、その効果と安全性が実証されなければならない。これらの多くの難題を克服し、プリオン病(ヤコブ病などを含む)の治験体制が確立されようとしている。その現況を分かりやすく、市民の皆様にお伝えすることを、本シンポジウムでは狙いと見た。

私が医学生時代の頃(1980年代)、神経変性疾患は、原因が不明で治療法もなかったが、1990年代になると、その原因がそれぞれの疾患特有の蛋白質にあることが認識されるようになり、1997年、米国のStanley B. Prusiner博士が、クロイツフェルト・ヤコブ病(プリオン病)の原因となるプリオン(主にプリオン蛋白質からなる)の発見により、ノーベル賞を受賞した。

これ以降、神経変性疾患に関連する蛋白質の研究が進んだ。その結果、2010年代にはプリオン病以外の神経変性疾患も基本的には、プリオンライクな原因で発症すると考えられるようになった。神経変性疾患の原因が分かった事により、その治療薬開発が世界的に進められている。プリオン病に対しては、ドキシサイクリンの治験が欧州で行われたが、効果がなかった。本邦においては、プリオン病に対してヒトにはじめて投与する化合物を対象とする世界初の治験体制が出来上がろうとしている。本シンポジウムの成果としてプリオン病治療薬開発戦略について関係者のコンセンサスが得られ、国際治験に向けての産官学連携が促進されることを願っている。

なお、本号には、脊髄損傷・脳卒中に対する新たな治療法の開発とリハビリテーションに関するシンポジウムの記録集、その他の記事もあわせて収載されている。アカデミアにおいて本格化した医薬品医療機器開発の現状、将来展望を概観し、検討する素材となれば幸いである。

桑田 一夫

岐阜大学大学院連合創薬医療情報研究科