



卷頭言

今後の創薬研究のあり方

近畿大学医学部 薬理学教室
主任教授 高橋英夫

1. はじめに

我が国の論文は、再生医療・遺伝子治療や医薬品などに関するものが多いそうです。改めて、医学系の基礎研究や臨床研究についての原著論文や総説を読むと、大抵はその成果の創薬への関連性について考察しているので、皆さんには新薬開発に興味をお持ちだと思います。卷頭言を執筆する機会を得て、我が国の創薬力を向上させるための取り組みを検討して、今後の創薬研究のあり方について述べます。拙文と誤りはご容赦ください。



2. ものづくり

「ものづくり」とはアイデアを具体的なものにして、新しい価値を生み出すことだそうです。自分が作り出すもので、人類・社会へ直接的に貢献したいという思いが原動力になります。そういうことに関心がある医学研究者が、創薬という「ものづくり」に挑むことは不思議ではありません。我が国では、大学などのアカデミア研究者が行う創薬研究は、長期を要して、高リスクになりそうな領域が対象で、主に、生物学的研究やシーズ探索などの基礎研究を行ってきました。豊富な研究資源と、イノベーション創出に繋がりうる医薬品の元となる化合物や化学物質である創薬シーズを多く保有していたので、その取り組みは比較的容易でした。しかし、これだけでは創薬の初期段階に過ぎず、優れたアイデアがあっても自動的にイノベーションが生まれるわけではありません。「特許」はイノベーションを促すためのインセンティブですが、それを活用して初めて利益が生じる場合に高く評価されます。新薬開発に関する「特許」のうち、「物質特許」とは、発見した物質や有効成分そのものに認められる権利です。その特許権者は、権利対象となる物質を使って開発した医薬品を独占的に製造・販売できるため、最も価値の高い「特許」になります。そうなると、「ものづくり」を志向するアカデミアは、創薬シーズから独自の医薬候補化合物を創製して、その特許権者となり、それが革新的新薬として社会実装（研究成果が実社会へ普及・定着して活用される

こと) されるまでの創薬イノベーション事業を担うことが要求されます。社会実装に至るまでの安定したシステムが出来れば、継続的な新薬開発が容易になり、人類・社会に貢献できます。

3. 何を作るか？

我が国のアカデミアが創薬イノベーション事業を担うためには、大学と製薬企業との共同研究体制で行うアカデミア創薬や、スタートアップ・ベンチャー起業などを行うことが考えられました。上記のうち、アカデミア創薬では、大学研究者がシーズ探索などの基礎研究から医薬候補化合物の創製までを実施し、臨床開発段階からの企業への導出に繋げようとなります。識者の意見によると「ものづくり」には、人々のニーズに従って「何を作るか？」が大切なのだそうです。故に、治療ニーズや社会的ニーズに応えるための新薬の開発を目指すが、実際に「何を作るか？」は、企業や創薬事業への出資者などの「目利き」が、アカデミアが保有する医薬候補化合物の中から、上市にまで至りそうな有望なものを選択することで決まります。ところが、このハードルを超えた後も、最終的に承認申請にまで到達する候補化合物はわずかで、我が国的新薬開発の成功率は大変低いのです。その原因は多様化する医薬品モダリティ（低分子化合物、抗体医薬、ペプチド薬、核酸医薬、細胞医薬、遺伝子治療、再生医療などの治療手段）への対応の遅れと分析されて、解決策として、我が国の実情に見合う創薬システムが提案されました。

4. バックキャスト思考

新薬開発の主流がバイオ医薬品などの新規モダリティにシフトしているので、それに対応した日本型「創薬エコシステム」の構築が推進されています。製薬企業、大学・研究機関、ベンチャー企業などの多様な専門家集団が英知や技術を結集し、オープンイノベーションを通じて、新規モダリティの革新的新薬を効率的、継続的に生み出します。内閣官房の「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」によると、「創薬エコシステム」を支えるのが「バックキャスト思考」（目標とする未来の姿から逆算して、現時点ですべきことを考えること）のようです。「創薬エコシステム」で重要なのは、新規モダリティの医薬候補化合物の存在ですが、これからもアカデミアが中心となって基礎研究の成果から創薬シーズを選定して、それをもとにして候補化合物を創製することになると思います。ですから、アカデミアにとって「バックキャスト思考」は不可欠で、スムーズに上市にまで至らせることを念頭に置いて、創薬シーズの選定や候補化合物の創製が適切に行われなければなりません。当然、そういう考え方で用意された候補化合物に対しては、「目利き」のハードルは低くなるはずです。もちろん、創薬力の向上には「創薬エコシステム」を担う人材養成の他、治験・臨床試験や新規モダリティ薬の製造体制を含むバリューチェーン整備や資金投入などの様々な支援も必要とされています。

5.まとめ

難治疾患や希少疾患などへの治療ニーズのアンメット・ニーズに応えるための、単独か少人数で行う学術的な研究は、多様性が尊重され、シーズ創出のアイデアを評価されて、適切な振興策のもとで継続されるでしょう。しかし、今後の創薬研究のあり方は、主に社会実装を目指すことになるでしょう。文部科学省は実用性を求めて、トランスレーショナル・リサーチや他分野との融合による研究を推奨しています。こういう研究トレンドに従った、多様な専門家集団の共同作業による創薬イノベーションは、多くのステークホルダーから評価されて大型研究資金を得て、大きく展開する可能性があります。そういう環境のもとで研究を行えば、次々と派生的に多様なテーマが生まれます。すると、原著論文や総説の内容に影響して、例えば、医薬候補化合物の新たな薬効や作用機序などについての報告が増えると考えられます。そういうトレンドの是非は別にして、今後への興味が尽きません。

以上