

求む社会起業家

Wanted: social entrepreneurs

Nature Vol.434(941)/21 April 2005

研究者から転じた起業家のおかげで、顧みられることのなかった希少疾病のための新薬研究開発事業が息を吹き返している。研究者、経営者や資金提供者は、このような事業に専門知識を提供し、あるいは独自に起業すべきである。

論説

オープンソースの総合百科事典ウィキペディアには、カラ・アザール（内臓リーシュマニア症）について記述するページがない。でも誰も気に留めないだろう。そもそも開発途上で大勢の人々がかかり、骨と皮だけになった患者の腹部が、肥大した肝臓と脾臓のために大きく膨れるような病気だからだ。その薬は、治療単位当たりで最高200米ドル（約22,000円）もするため、治療を受けないままの患者が多く、毎年、約20万人の死者が出ている。新薬開発を目指す研究開発の流れの中では、約8,000種類の希少疾病よりもシリコン豊胸手術や勃起障害のためのピルの研究が熱心に行われている。希少疾病のひとつひとつの患者数はせいぜい2,000人ほどだが、希少疾病といわれるものすべてを合わせるとその患者数は数百万人にもものぼる。

このような状況の根本原因は、希少疾病の市場が小さすぎて、大手製薬会社が興味を示さないことにある。大手製薬会社は連携して希少疾病対策に取り組んではいるが、株主に対する責任も果たさなければならないのだ。研究段階から製品化にまでいたるルートがあるわけだが、その各段階にかかわる人々がこの現在の均衡状態を是正するためにできることはあるだろうか。

4月12～15日にフランスのリヨンで開催されたBioVision, World Life Sciences Forumにおいて、Natureの共催による希少疾病に関する円卓会議が行われた。会議では、これらの疾病に真剣に対応するためには、みんながどれほどの力を合わせて取り組まなければならないかが明らかになり、重苦しい空気に包まれた。ただ、その一方で、新たな知見や問題打開につながる可能性のある道が示され、参加

者はある程度勇気づけられた。

この会議は、ポリオワクチンが承認されてから50年目を迎えたことを記念して開催された。今や、ポリオは根絶寸前の状態にある。ここに至るまでの状況は、ポリオの重要な基礎研究に対して確かな支援を行ったマーチ・オブ・ダイヤモンド、そして5億ドル（約550億円）以上の資金を集め、ボランティアを提供することでポリオワクチンを医療現場に届けたロータリー財団の協力抜きには語ることはできない。これらの団体は、重大なボトルネックに取り組んで、勝利を収めた。その結果、今この記事を読んでいる人のほとんどは、わずか数十年前はポリオがすべての子供の親に恐れられた病気だったとは気づかなくなるだろう。

ニューリーダーたち

新世代の「社会起業家」は、顧みられることのない希少疾病に取り組むために、創意に富んだ方法を試している。たとえば、Victoria Haleは、非営利の製薬会社Institute for OneWorld Healthを米国サンフランシスコで設立したが、彼女が踏み出したこの小さな一歩が人類にとっては大きな飛躍となるかもしれない。彼女は、安全で効果的なカラ・アザール治療薬を治療単位当たり10ドル（約1,100円）で提供することにつながる可能性のある臨床試験結果をリヨンでの円卓会議で発表した。

Haleは、新薬開発をゼロから始めるのではなく、大学や企業を訪ねて、別の病気に処方された薬剤や途中で開発作業が中止された薬剤候補として引き出しに眠っているものを探し歩いた。そして、住血吸虫症やシャーガス病のよう

nature

な病気の薬剤候補の開示を企業に強く働きかけ、その臨床開発のために慈善基金を設立した。

この10ドルのカラ・アザール治療薬とは、パロモマイシンという1950年代から存在している特許切れの抗生物質のことだ。Haleの会社は、ビル&メリンダ・ゲイツ財団から資金援助を受けて、誰も手がけようとしなかった多額の費用を伴う臨床開発と臨床試験を実施して、カラ・アザール治療薬としてのパロモマイシンの試験と販売を目指した。薬剤の供給は、インドのジェネリック医薬品メーカーの助けを借りて実施されることになっている。

これと似た方法を実施しているのが国境なき医師団が創設したDrugs for Neglected Diseases Initiative (スイス・ジュネーブ)で、まだ数多くあるそのほかの顧みられない希少疾病に取り組んでいる。このような組織は、既存薬剤の試験や配合改良に加えて、業界からの資金提供が得られずに研究室に放置されているリード化合物に活動の照準を合わせることで、研究と臨床開発との大きなギャップを埋めている。

開発段階におけるもう1つの重大なボトルネックは、動物モデルや培養細胞を使った前臨床研究だ。ゲノミクスによって、マラリアや結核のような主要な疾患だけでなく、約1,200種類の希少疾病の分子的基盤が明らかにされ、新たな薬剤標的分子が判明した。これにより、数多くの希少疾病に対する治療効果が認められる可能性のある薬が初めて明らかになった。たとえば、もし特定の疾病の分子的基盤がインターロイキンAの発現と関係していれば、既存のインターロイキンA阻害剤が治療薬となるかもしれない。しかし、新たに判明した大量の薬剤標的を調べるために学術研究者が必要とする数多くの薬剤類似物質は、企業だけが持っている。

そこで遺伝子治療の専門家であるフランスの社会起業家Alain Fischerは、各企業を説得して、企業が保持しているが開発の行われていない大量の関連薬剤を研究者が利用できるようにしようと努力している。最近創設されたEuropean Rare Disease Therapeutic Initiativeは、希少疾病の治療に有望な分子を販売することについて企業に優先権を与えている。もし、その企業が優先権を行使しなければ、研究者は、別の企業や資金提供者に持ち込んで、臨床現場への供給を目指すことができる。

粘り強く変化を待つ

難点は、これらすべての組織が比較的小規模なことだ。このため、資金提供を受けられるかどうかが大問題となる。しかしHaleは強気だ。研究者、医師と社会起業家が意識を高めて、それぞれの活動の正当性を主張すれば資金は得られる、と彼女は言う。ロータリー財団のポリオ撲滅キャンペーンの先頭に立っているRobert Scottも同じ意見で、政府、企業や研究機関の考え方は日々変化することを指摘する。今日是否定的な対応を示した担当者が、明日になると肯定的な対応に変わる可能性があるというのだ。粘り強く運動を続けければ、報われるのである。

皮肉なことに、企業よりも大学が持つ権利の方が、それを取得して関係する分子を得るのは難しいという現実がある。大学の技術担当部署は、積極的に特許を取得し、収入を得ることだけを考え、企業とのライセンス契約において希少疾病に取り組む上で役立つ条項を入れない傾向がある。研究者や各研究機関は、その研究や知的財産を社会的目的に利用できるように支援するCentre for the Management of Intellectual Property in Health Research and Development、Biological Innovation for Open Society、Science Commonsといった団体に積極的に登録すべきである。

希少疾病の研究開発に関しては、驚くほど大きなスケールで「市場の失敗 (market failure)」が起こっている。それに、研究や医療にかかわる数多くの利害関係者の間では、この問題のスケールの大きさに対する認識が慢性的に低い。研究課題を定め、個人や公立私立団体の資金提供者に話を聞いてもらえる立場にある人々が、人の心を動かす息の長いリーダーシップを実践することが必要とされている。

研究者、元業界幹部、資金調達者やその他の人々は、Institute for OneWorld Health (<http://www.oneworldhealth.org/how>) やその他の社会起業家に対して、研究に協力し、専門知識を提供するボランティアとして名乗り出ることができ。またOrphanXchange (<http://www.orphanxchange.org>) や米国国立衛生研究所希少疾病室 (<http://www.rarediseases.info.nih.gov>) を通じてネットワークに加わることができる。そして、もちろんのことだが、ウィキペディアに適切なページを執筆して、この課題を強調することも可能だ。 ■