

■薬断毀滅・転載禁止■

既存薬を別の病気の治療に利用する「ドラッグリポジショニング」を使い、希少疾患の臨床試験（治験）を目指す動きが相次ぐ。京都大学は全身の筋肉が衰えるALS（筋萎縮性側索硬化症）で医師主導治験を2019年にも始める。東京医科歯科大学は小児などの希少疾患で医師主導治験の18年度開始を目指す。既存薬は副作用や製法が知られており、創薬にかかる時間やコストを抑えられる。

京大・東京医科歯科大など

京大の井上浩克教授は

は白癩病治療薬「ボスチニブ」にALSの治療効果が期待できるとみて、医師主導治験を計画。早ければ年度内にも京大病院の学内審査委員会で審査し、承認後に国に計画を届け出る。19年の患者の募集開始を目指す。

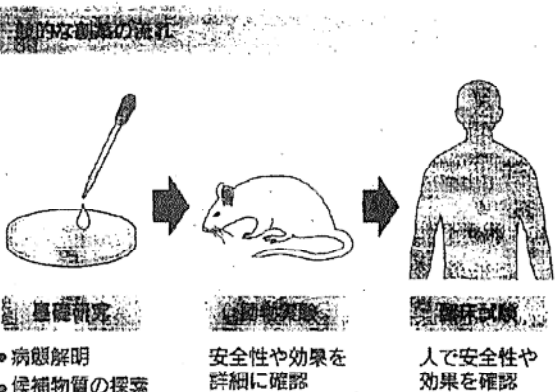
対象は「SOD1」遺伝子に変異を持つ患者10人程度。京大病院のほか国内の複数の大病院と協力し実施する予定だ。

マウスでは効果
 井上教授らはこの変異を持つ患者のiPS細胞から神経細胞を作製。1

既存薬、別の難病で治験

創薬コスト減 安全確認済み

400種の化合物の中から細胞が死にくくなるボスチニブを見つけた。ボスチニブは細胞内で異なる構造になったたんぱ



ドラッグリポジショニングの利点

- 既存薬のため安全性を確認済み。動物実験などの検証の手間が減る
- 開発が止まった新薬候補物質を別の治療薬に転用できる

大学などでのドラッグリポジショニングの研究例

| | |
|-------------|-------------------------------------|
| 東京大学と神戸大学 | 皮膚がんの治療薬「ダブラフェニブ」をパーキンソン病に |
| 京都府立医科大学 | 頭痛薬の成分が大腸がんの細胞に効果 |
| 東京医科歯科大学 | 多発性骨髄腫の治療薬「ボルテゾミド」を慢性腎臓病に |
| 岡山大学 | 2型糖尿病薬「メトホルミン」に抗がん作用 |
| 東京大学や近畿大学など | 尿素サイクル異常症の既存薬「フェニル酪酸ナトリウム」を遺伝性の肝臓病に |

く質の分解を促している。マウスの実験でも効果を確かめた。ALSは運動神経が変性して筋肉が萎縮したり筋力が低下したりする病気。全国で約9200人の患者があり、約5%が家族性。そのうちの約20%にこの変異がある。ALSではほかに、慶応義塾大学の岡野栄之教授らが、パーキンソン病治療薬「ロビニロール塩

酸塩」が役立つ可能性を見つけた。医師主導治験の18年度開始を目指す準備を進めている。東京医科歯科大の新井文子准教授は、小児では難病となる「慢性活動性EBウイルス感染症」に血液の希少疾患などの既存薬ルキンソリチニブを使う医師主導治験を計画する。この病気が悪性リンパ腫などにつながる。年間約30人が発症する。

創薬では一般に、病態を解明し、病気に関係する物質を抑える化合物を探索する。効果や安全性を確かめる必要がある。1つの新薬を生み出すには1000億円以上の費用と10年以上の期間がかかるといわれる。ドラッグリポジショニングは既存薬を使うため安全性を確認できており、これらを一掃に節約できる。性的不能治療薬「バイアグラ（製品名）」のように、開発中の薬を別の病気に応用する取り組みは以前からあった。近年

はiPS細胞などを使う実験法や解析技術などが進歩し、戦略的に効果よく採り取り組みが進む。国は大学などの研究を支援するが、成果を企業に引き継がない課題が指摘されている。特許切れの既存薬は薬価が低く、企業が実用化に消極的なためだ。大学で医師主導治験が相次ぐのはその影響といえる。

既存薬の一部をあえて変更し、新規化合物にする取り組みも出てきた。九州大学の西田基宏教授らは高血圧薬「シルニジピン」が慢性心不全の治療に役立つことを突き止めた。だが「特許切れで実用化の望みは薄い」（西田教授）。効果を保ったまま構造を組み替えて新規化合物にし、実用化を目指す方針だ。

国も制度用意

国も問題とらえており、ドラッグリポジショニングでも薬価を高められる制度を用意している。

一つは既存薬を適用拡大する方法だ。希少疾患の効能が追加されると、既存の薬価から高い場合で5%ほど加算される。もう一つは販売名を新しくした別の医薬品として申請する方法だ。薬の構造が全く同じでも、薬価算定では新規化合物とほぼ同じように扱われる。薬価が約10倍になった例があるという。さらに推進するには承認や薬価制度などの見直しが必要かもしれない。