



薬機法改正は患者利益とバランスを

厚生労働省が医薬品医療機器法（薬機法）の見直しに着手した。同法は医薬品や医療機器だけでなく医薬部外品や化粧品、化学物質の安全対策など幅広い産業にかかわる。ゲノム編集などが急速に進化し、革新的な治療技術が登場する機運が高まる一方、国や企業の開発競争は激しい。日本でいち早く患者に届けるためにも、医療の進歩と規制を、どう均衡させるのか。行政の手腕が今一度問われる。

薬機法が公布されたのは5年前。通称も旧薬事法から変わった。当時の法改正の大きなポイント是一般用医薬品のインターネット販売が大幅に緩和されたことと、「医療機器」「再生医療等製品」の章が設けられたこと。なかでもヒト細胞を用いる再生医療製品については、有効性検証のためのデータ収集・評価に長期間を要する点を踏まえて、条件・期限付きの承認制度を導入した。

この制度は一定数の症例による治験で有効性や安全性が確認できれば承認を与え、市販後にさらに有効性、安全性を検証する仕組み。再生医療製品に関する規制は世界に先行し、再生医療に取り組む各国企業の目が日本に向いた。今月にも京都大学などがiPS細胞を用いたパーキンソン病の治験が始まり、2020年代前半の実用化が見込まれている。

一方、DNA解析や遺伝子操作といった技術の進歩で画期的な新薬が相次ぎ登場し始めた。このため米国は12年に「ブレイクスルー・セラピー」と呼ぶ制度を設置し、がんなどの重篤疾患に対してインセンティブを与え、速やかな患者アクセスを図っている。日本も15年に「先駆け審査指定制度」、欧州も16年に「プライオリティ・メディシン」という米国と似た仕組みを導入。先端医療技術の取り込みで三極の競争が激しい。

しかし、早期承認制度を「行き過ぎた規制緩和」と受けとめる向きもある。厚労省は抗がん剤の承認を先駆けて行い、大きな副作用の問題に発展した痛い経験がある。最近ではC型肝炎薬の偽装品流通事件が発生し、現在の法律が定める「総括製造責任者」「品質保証責任者」「安全管理責任者」の「三役体制」が不十分だったことが明るみとなった。ガバナンスの一層の強化も欠かせない。

厚労省は今年度、有識者による議論を集中して行い、19年の国会への改正案提出を目指す。革新的な医療を、有力な治療の手立てがない患者に早期に届けることは何より重要だ。技術革新に柔軟かつ効率的に対応し得るよう規制のあり方を見直し、双方の絶妙なバランスを図ることが求められる。

距離縮めたい製薬会社とベンチャー

日本において製薬会社と、創薬や再生医療など手掛けるライフサイエンス系ベンチャーとの距離が縮まらないとの話を頻繁に耳にする。ペプチドリームなど複数ベンチャーは製薬大手との連携に漕ぎ着けたが、成功例はほんの一握り。大半は資金や機能が不足し「死の谷」「ダーウィンの海」と呼ぶ難所を越えられないでいる。

ベンチャーが成果を実用化する際、業界で長年のノウハウを持つ大手・老舗企業と連携するのが最良の手段となる。この橋渡しの必要性は、どの産業分野でも同じ。関連する行政や業界団体、金融機関は、アカデミアも巻き込んだ「エコシステム」の構築に躍起だ。

もっとも、国内の製薬大手は最先端の創薬・医療技術にアプローチするため、これまでも積極的に連携に動いてきた。ただ連携先は欧米であり、日本に向いていない。なぜか。日本のベンチャーに対し、よく聞くのが「研究者気質が抜けていない」という言葉。最終的なビジネスの姿をイメージし尽くしていないから、研究データや生産ラボの質が低い。それだけ実用化のリスクは高く、製薬会社も慎重にならざるを得ない。

その点、とりわけ米国のベンチャーは「こすっからい」という。基礎研究の段階から、さまざまな方向で事業化アイデアを練り、製薬会社、金融

機関、さらには行政にも成果をアピールし資金を確保する。発明者、経営者が明確に役割分担し、専門性を発揮しているから抜け目がない。最初の難所である「死の谷」を越えた応用研究あるいは量産化に移る段階で、手元の資金を次の研究に振り向ける。そんな循環を何度も繰り返す。

日本にライフサイエンス系のベンチャーが多く誕生したのは2000年前後。その「第1世代」で事業化に成功したのは、火傷治療の自家培養表皮など一部にとどまり、国内製薬会社は「まだ当時と同じ技術で実用化を試みているのか」と呆れ顔かもしれない。ただ第1世代の技術は遺伝子治療薬、キナーゼ阻害、中分子医薬など世界で注目される技術へ発展している。

遺伝子治療薬では国内初の製品として、アンジェスの新薬が今年中にも承認される可能性が高まっているという。タカラバイオやオンコリスバイオファーマなどが開発する腫瘍溶解ウイルスも、臨床試験が後半に差し掛かったり、承認申請が間近。「死の谷」の次に「ダーウィンの海」を渡らねばならず、いかに早く市場に広めるかもカギを握る。患者が新たな医療技術にアクセスできる機会を逸しないよう、製薬会社とベンチャーの連携強化を期待したい。