

科学・技術革命と医療のパラダイム転換～日本のアカデミアがリードする医療イノベーションの実像とグローバル展開戦略

---

我々の目指すところはすべての疾病の征圧、障害の克服であり、それは長く困難な道のりであった。しかしながら、今ようやく我々は着実に疾病征圧への道を歩み始めている。その所以は、クリニカルサイエンスの原理の理解とその忠実な実践であり、研究開発マネジメントの厳格な適用によって、それらの戦略、オペレーションの有効性を実証し、次々と医療イノベーションを創出する国家レベルでの仕組みをつくり上げることができたからに他ならない。

具体的には、2004 年に文部科学省によって世界に先んじて始められたがんトランスレーショナルリサーチ事業による成功を基礎として、2007 年に開始された橋渡し研究支援推進プログラム、続く橋渡し研究加速ネットワークプログラム、そして 2021 年度が年最終年度となる橋渡し研究戦略的推進プログラム（以降「橋渡し研究プログラム」）、また、この間厚生労働省により早期・探索的臨床拠点並びに臨床研究中核病院整備事業などが推進されてきた。2015 年に国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が設立されると、これら文科省・厚労省の両事業が統合されて革新的医療技術創出拠点プロジェクトとしてさらに強かに推進されることとなり、わが国には医療イノベーション創出拠点による膨大な R&D パイプラインが確立した。加えて 2015 年には医療法に基づく臨床研究中核病院が規定され、2020 年現在その数は 13 に上っている。これらの世界に冠たる事実を持って、疾病征圧がもはや遠い未来でないことを確信するのである。

各イノベーション創出拠点はそれぞれビッグファーマにも匹敵する膨大な R&D パイプラインを擁し、次々と新規医療機器、医薬品、医療技術を世に出している。橋渡し研究プログラム開始以降 15 年で承認取得市販製品の数はいまや数百十を上回っており、いまや医療イノベーションの担い手は企業からアカデミアに移ったと言って良い。かくして上述の文科省橋渡しプログラムによる成果は決定的であり、その金字塔は人類の夢、再生医療の実現である。すなわち文科省橋渡し研究プログラム、および厚生労働省難治性疾患克服研究事業によって、これまでは手をつけられなかった疾患に対する安全かつ有効な確実な治療法が確立した。

例えば神経難病に対するロボットスーツ HAL、内転型けいれん性発声障害に対するチタンブリッジ、胎児心電図、脂肪萎縮性糖尿病に対するレプチン、脊髄損傷に対する自己骨髄由来間葉系幹細胞療法、鼓膜穿孔に対する鼓膜再生組織工学的治療、ミトコンドリア病に対する高用量タウリン等々、枚挙に暇がない。これらは全て世界で初めて規制当局によって承認実用化されたものであり、いずれも革命的な成果である。この事実を全国民、わが国アカデミアすべての医療関係者のみならず、とりわけ企業、政府等は深く理解するべきである。

神経再生、血管再生等の実用化とインタラクティブバイオフィードバック理論の実用化、すなわちロボットスーツ HAL によるサイバニクス療法の確立は神経科学のコペルニクス的展開である。この重要な治療法の確立によって、脊髄損傷や脳梗塞等による寝たきり“0”は夢ではなくなり、ALS を始めとする多くの神経難病の研究開発戦略にも見通しが立つに至った。

さて、アカデミア発の新規医薬品の開発について、焦点をがん領域に転じてみると、やはりこの領域においても、わが国のアカデミアによって革命的ブレイクスルーがもたらされた徹底たる事実を深く受け止めねばならない。言うまでもなくそれらはクリゾチニブ、モガリズマブ、トラメチニブ、そしてニボルマブの開発、実医療化であった。これらはすべて上述橋渡し研究プログラム開始前の開発であるが、先行プロジェクトであった文科省がんトランスレーショナルリサーチ事業から橋渡し研究プログラムへ脈々とわが国アカデミアイノベーション創出の真骨頂が発揮されているのである。例えば、厚労省によって先駆け審査指定されている遺伝子組み換えヘルペスウィルス製剤 G47Δ の開発はまさしく次世代の広汎に適用可能ながん治療薬である。

しかしながらここで臨床科学上極めて重要な事実を指摘しておかなければならない。我々のゴールはあくまで予後向上、とりわけがんについて目指すは治癒である。しかるに上述の一連のブレイクスルーによっても依然として実質的治癒率の向上は一部を除いてまだ実現していない。

臨床科学上、予後向上の前提は予後因子の解明とそれによる層別化に基づく精度の高い臨床試験デザインとその確実な実施であるが、この基本的な原則がまだ十分に生かされているとは言い難い。

そこで本講演においては、卵巣がんの予防因子 PIEPOC 分類、肺がん、胃がん等について我々が報告した新しい予後因子：L/N 比とその後の研究の進展、そしてチェックポイント阻害薬後のがん薬療法の発展の見通しと、今後とるべき研究方法論についても論ずる。

一度トランスレーショナルリサーチが成功して新しい医療技術が実用化した段階になると、科学と研究開発は新しいフェーズに入る。すなわちこれまでに観測されたことのない新しい事実が見いだされ、その結果はリバーストランスレーショナルリサーチとしてさらに全く新しい知見を見いだす研究に展開し、科学・技術革命の連鎖を導くことになる。本講演では実用化した再生医療によって明らかになった生物原理について述べ、腫瘍生物学との関連についても洞察して、新しいアプローチを論じたい。加えて、リバーストランスレーショナルリサーチの理に基づき、がん治癒率向上に必要な戦略とアプローチについて、科学の最新の知見をもとに方向付ける。

以上、わが国アカデミアが達成した新規治療技術の開発並びに臨床科学の進歩から能くなく学び、我々は心新たに疾病征圧の歩みをより確かもものとして実践していくとともに、今後はグローバル展開が課題となる。本講演で紹介するグローバル展開のグランドデザインおよびオペレーションモデルが、オールジャパンによる本格的な国際共同研究体制の構築のきっかけとなれば幸いである。(本文 2445 文字)