

<巻頭言>

今後の難病対策のあり方について

林謙治

国立保健医療科学院院長

Future strategy for rare / intractable diseases in Japan

Kenji HAYASHI

President, National Institute of Public Health

平成 21 年度より国立保健医療科学院は難病対策研究分野の Funding 業務を厚生労働省から委任され、それと同時に初年度では「未分類疾患に関する研究」、翌 22 年度では「今後の難病対策のあり方に関する研究」を表題とする指定研究を進めてきた。本院における研究は Funding Agency としての事務機能を強化するために設定されたものである。調査研究を通して得られた情報は政府および関連委員会等に報告され、議論の材料に供することを目的としている。このような事務機能は米国の NIH においてすでに確立されており、科学行政を推進するための重要な機能の 1 つと認識されている。この度、難病研究分野では関係各位の努力により、上記のシステムを稼働させることができた。今後、保健医療科学院としては皆様のご要望に応えるためにも積極的に情報を発信していきたい。

今回の特集は保健医療科学院で実施した研究成果の一部も含まれるが、それよりもむしろいままで問題提起してきたプロセスのなかでマスコミ関係者、行政官、研究者、その他本課題に関心を持つ方々からしばしば問い合わせのあった課題について詳細な情報を提供することを目的とした。特に日本学術会議金澤一郎先生、厚生労働省中川義章技官、国立精神・神経医療研究センター糸山泰人院長の論文を通読すれば、難病問題の経緯、現存する問題点が明快に解説されており、今後の課題についても貴重な提言をいただいている。本院の金谷部長による「臨床調査個人表の有効活用及び臨床データベースの構築」はわが国が立ち遅れている臨床疫学分野の研究を進めるためのインフラ整備として検討を要する課題について述べている。児玉室長の「難病・希少疾患対策の国際的動向」は欧米の政府研究機関の現地調査にもとづいた報告である。わが国と対比すれば明らかのように欧米には難病の概念がなく、むしろ希少疾患としてとらえており、治療法の開発に焦点を当てている。金谷部長のもう一篇の論文「災害時における難病患者の支援対策の構築」は阪神・淡路大震災をモデルにして調査を行ったものである。しかしながら、文中にあるように当時とは異なり入院よりも在宅医療にシフトしてきている現在では異なるアプローチが必要であることを指摘している。その他専門家による 3 編の論文は最近の治療法の進歩や支援テクノロジーを紹介している。

難病対策の主要な論点はすでに金澤論文において言い尽くされているが、筆者が預かっている「今後の難病対策のあり方に関する研究」研究班の統括研究者の立場として気づいたことを一言述べたい。難病対策の究極の目標は疾病発生の予防と治療薬の開発であることはいまでもない。しかしながら、疾病予防の基礎情報となる疫学知見は現状ではあまりにも乏しいし、また、治療薬の開発については我が国の創薬インフラがきわめて脆弱であることを指摘しておきたい。前者は今後の研究方向の位置づけで、ある程度見通しをつけることは可能であるが、後者についてはインフラ問題であるだけに整備は簡単ではないと思われる。

難病はパーキンソン病や潰瘍性大腸炎など 2, 3 の疾患を除いてはきわめて希発の疾患であるだけに新薬の開発に製薬企業はどうしてもモチベーションがあがりにくい。臨床治験を実施するにも症例が少なく、したがって国際共同治験の方向に進まざるをえないと思われる。ところが国際共同治験と一口に言っても一般薬の開発と同様に多くの問題があり簡単ではない。資金の問題のみならず、各国の医療システム、医療文化、医療水準、情報ネットワーク等々の面で調整と妥協が必要である。政府はこれらの調整業務を行う機構を充実させることが必要である。また、それ以前の問題として創薬のシードをいかに見出すことがキーとなることは言うまでもない。そのためには Translational Research を行う人材をいかに養成し、確保するかが肝要である。この分野を担う専門家は基礎医学と臨床医学および両者の関連に関する知識を十分備えていなければならない。現在の日本の研究環境ではそのような人材を吸収できる機関が少なく、しばらくの間国際的なベンチャー企業に頼るほうがむしろ効率的であると思われる。その場合ベンチャーと製薬企業をつなげる機能は製薬企業自身でもよいが、近年急速に展開してきている治験会社が担うことも予想され今後の動向に注目したい。ただし、創薬シードをベンチャーに過度に依存した場合、商社のような機能をもった企業が優位に立つことが予想されるし、そして製薬産業そのものはより激しい国際競争にさらされるものと思われる。このような情況のなかでわが国では希少疾患の治療薬開発にあたって果たして国内開発を主軸におくべきかあるいは国際共同開発に力点をおくべきかより広い視野で検討する必要がある。