

「個人化医療の推進及び分子標的薬開発と人材育成」

九州大学高等研究院

笹月 健彦

夢の治療法と呼ばれる遺伝子治療をはじめとする個人化医療（Individual Medicine）の推進と課題、さらに、基礎研究から患者に届く創薬を例に基礎研究と開発研究について述べる。

I. 個別化医療の推進と対策

これまでの医療が集団を対象とした共通の医療であったのに対し、個別化医療（Individual Medicine）は、個人の遺伝情報を基盤として各個人に特有の治療法を行うもので、個人の遺伝情報は、診断・予防・治療・予後判定に用いられる。

個別化医療の現状

I. 個人差（遺伝子多型と遺伝子変異）に基づいた個別化医療

- (1) 単因子遺伝病の遺伝子治療（複合免疫不全症など）
- (2) がんの分子標的治療（慢性骨髄性白血病、肺がん）
- (3) がんをはじめとした多因子疾患の遺伝子治療（アルツハイマーなど）

II. HLAの多型（個人差）に基づいた個別化医療

- (1) 移植とHLA（拒絶反応、GvH病）
- (2) 薬害とHLA（AIDS、高尿酸血症など）
- (3) がんとHLA（HLAタイプごとのキラーT細胞誘導）
- (4) 予後予測とHLA（慢性肝炎など）

期待される夢の個別化医療が解決すべき課題と推進すべき分野

解決すべき課題

1. 遺伝子治療 : 安全なベクター開発、遺伝子置換法開発
2. 免疫療法 : 強力な免疫武器
(キラーT細胞/抗体/サイトカイン)
3. 分子標的治療 : 標的分子の列挙
4. 再生医療 : HLAバリア (拒絶反応) の克服

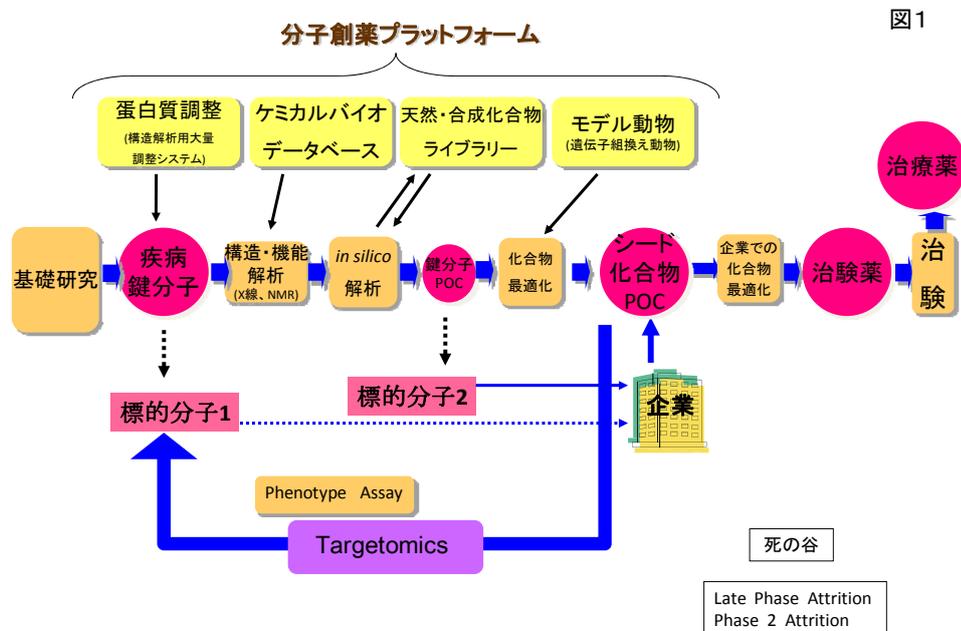
基盤研究の格段の推進

1. ヒトゲノム技術の開発
2. ヒト免疫学、免疫遺伝学の推進
3. 発がん分子機構の解明
4. 多因子疾患の鍵分子同定

基盤研究の格段の推進

II. 基礎研究から治療薬創出と人材

分子創薬プラットフォーム (図1)



基礎研究の成果から治療薬完成までには、全ての理系分野（医学・歯学・薬学・農学・理・工学）の専門家が知識と技術を結集して行われている。

しかし、優れた基礎研究の成果が患者に届かない（死の谷）という問題が未解決である。特に開発研究をスタートし最終段階になって脱落（Phase 2 Attrition）が最も大きな問題である。これは正しい標的分子の選択ということが一番の課題であり、米国では膨大な金額がこれで失われている。

これを回避するための戦略として、多数の候補分子の中から標的分子を統合的に正しく特定するための新しい研究分野 **Targetomics** を創成する。領域研究推進のために標的解明の研究プロジェクトを新設する。

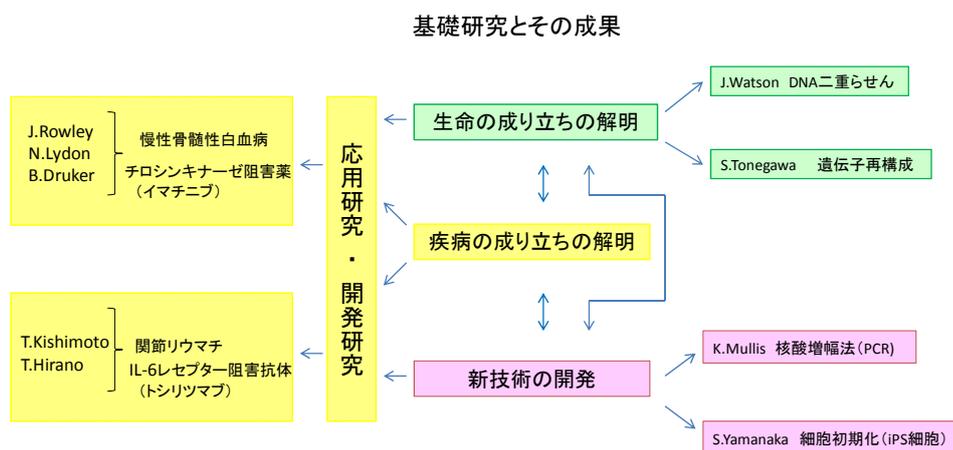
そこでは各専門分野の専門家が集結するだけでなく分野融合研究に推進するために **Targetomics** 領域の新しい標的解明の研究プロジェクトを設定し医学・歯学・薬学・理・工・農学者が研究グループを組織して推進する。現状では、複数の学問分野に通暁した個人研究者は少ないことからこのプロジェクトを通じて「異分野融合した個人」を育成する。さらに、「そこには、これまでは困難であった「**Proteomics** を活用した **Network** 標的の同定」など、新しい技術とコンセプトを導入することが必須である。

すなわち「**Targetomics**」の創成とその研究プロジェクトを創設することにより **Targetomics** 研究の組織化と「分野融合した研究者」の育成を図る。

3. 基礎研究及びその開発研究に力を発揮する人材育成

人材育成のため、基礎研究（生命の成り立ちの解明・疾病の成り立ちの解明・新技術の開発）とその成功例（図2）

図2



□若者育成について成功例に共通な事項（CCPD）から学ぶ

- a) 生命現象の中で最も重要で未解決な課題を明示し
これへの挑戦（Challenge）
- b) 不退転の継続（Continuity）
- c) 強い情熱（Passion）
- d) 強い欲望（Desire）

- ① 基礎研究は個人の資質に負うところが大きい。すなわち、優れた基礎及び開発研究成果を挙げるには、どのような個としての人材を、どのように育てるのが重要である。
- ② 医歯薬農理工卒業生で、未解決の生命の成り立ち及び、疾病の成り立ちの解明とその制御法開発に強い好奇心と情熱を有する者を対象として、画期的医療開発のシーズの創出患者に届く製品化に貢献出来る人材を育てる仕組みが必要である。

4. 新しい仕組み

- | |
|--|
| <ol style="list-style-type: none">① 生命の成り立ち、疾病の成り立ちと制御法に関し未解決の重要課題の考察・明示しそれに挑戦することが出来るリーダーの育成（未解決の教育）② 生命医科学以外の分野の最新の知識と技術の習得により、個人レベルで異分野融合した人材の育成（異分野融合した個人）③ 解決に必要な技術開発に挑戦する人材（技術開発への挑戦）④ Targetomics など患者に届く医療開発研究の中核を担う人材の育成 |
|--|

基礎研究及び開発の現場でこれらの事を可能ならしめる組織（「生命・医療科学高等研究・教育プレイス」バーチャルも含め）の検討が必要である。