

まとめ 自治医科大学 永井良三

1 政府資料に示された、がん、脳と心、新興・再興感染症、難病、再生医療、ゲノム医療のいずれも重要であるが、それ以外にも克服すべき重要な疾患がある。地道な疾患研究や疫学的な調査研究がおろそかになることのないよう格別の配慮が必要である。

2 医薬品や医療機器の開発においては医療上のニーズと経済上のニーズの両方を考慮する。また、出口が明らかにならないと開発は進まない。そのため、審査ガイドライン策定等の新しい医薬品・医療機器の有効性・安全性を評価するレギュラトリーサイエンス研究を早急に充実する必要がある。

3 我が国の死因は、がん、心臓病、脳血管障害、呼吸器疾患などが高率である。とくに生活習慣病とこれに伴う臓器合併症への対応が求められる。すなわち臓器障害をいかに予防するか（初発と再発予防）、機能の低下した臓器をいかに守るか、さらに機能の代行をおこなう医療機器をいかに開発するかが重要であり、多くのアンメットニーズが存在する。

4 疾患別医療費をみると、循環器疾患（脳血管障害を含む）が 5 兆 6601 億円、新生物（がん）3 兆 4750 億円、呼吸器系の疾患 2 兆 1140 億円、筋骨格系及び結合組織の疾患 2 兆 263 億円(7.4%)、内分泌・栄養・代謝疾患（主に糖尿病）1 兆 9828 億円、泌尿器系疾患（主に人工透析）約 2 兆円である。これらの医療上および経済上のニーズを十分に意識した重点研究領域の設定が望まれる。

5 最先端開発研究は推進しなければならないが、その成功率は低い。一方、既存の医薬品や医療機器の付加価値をつける臨床研究、とくに予後や重篤な発作などのハードエンドポイントを指標とする臨床研究で明確な意義を見いだせれば、大きな付加価値が得られ研究開発費を獲得できる。これらの臨床研究は無効な治療法を淘汰する上でも意義がある。臨床研究を推進するための研究費を国として確保すべきであり、そのためには臨床研究支援体制の整備やデータベースの構築が求められる。

6 医療上のアンメットニーズの把握には臨床現場の声をよく聞くことが重要である。最近、治療満足度が高いとされていた糖尿病や痛風のような疾患で、基礎研究の推進によって新薬が開発され大きな市場を獲得した例が知られている。

7 構造生物学の発展により薬剤の分子設計が大きく進歩しており、今後の創薬に必須の技術と考えられる。

8 再生医療については対照群を置いた有効性の比較試験をできるだけ早急に進めるべきである。従来の治療法に比べて有効性が明らかになるまでは、過剰な期待を煽らないこと。

9 医学が進歩しても、その効果は常に確率的である。したがって治療薬や機器の有効性評価のためには背景を揃えた集団を対象として、異なる治療法による比較試験を行わなければならない。ゲノム解析や生活習慣病の研究においても同様であり、できるだけ大規模な集団を長期フォローする必要がある。そのための臨床データベースや医療情報を統合する研究を早急に推進しなければならない。画期的な新規治療法開発のみに資源を集中する

ことはリスクを招く。

10 我が国の産学連携は、2004年の国立大学法人化から始まったといっても過言ではない。まだ歴史が浅いため、人材の育成、医薬品・医療機器開発の規制に関する研究（レギュラトリーサイエンス）、知財に関する法制度の整備を同時に推進しなければならない。