

3-1 わが国におけるアカデミアシーズ開発の成功例 脂肪萎縮症治療薬メトレプチンの臨床開発

海老原 健

自治医科大学医学部 内科学講座
内分泌代謝学部門 准教授

希少難病に対する医薬品開発は、医療上の必要性にかかわらず、患者数が少ないことから企業主導の開発対象となりにくく、開発が遅れている。このため、国は希少疾病用医薬品等の研究促進を目的に薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の改正を1993年に実施し、企業に対して開発援助を行っている。一定の条件を満たせば、希少疾病用医薬品や医療機器はこの指定を受けることができる。しかし、これに指定された希少疾病用医薬品等のなかで実際に上市されたものは少ない。

今回、我々(京都大学内分泌代謝内科)が研究を進めてきた、希少難病である脂肪萎縮症に対する治療薬メトレプチン(レプチン製剤)の臨床開発を、京都大学探索医療センター(現、臨床研究総合センター)の支援を受けて行った。脂肪萎縮症は脂肪組織が減少あるいは消失する疾患の総称で、遺伝子異常による先天性のものや自己免疫異常による後天性のものが存在する。しかし、その原因の如何にかかわらず脂肪組織の消失により重度の糖尿病や脂質異常症、脂肪肝を高頻度に

合併する。これまでに京都大学内分泌代謝内科では、脂肪萎縮症では脂肪組織から分泌されるホルモンであるレプチンが低下または欠乏していること、レプチンの補充が脂肪萎縮症に合併する糖脂質代謝異常を劇的に改善することを明らかにしてきた。

我々はメトレプチンの製造販売承認を目指して、京都大学探索医療センターの支援の下、開発ストラテジーを立案し、試験の準備・実施・終了までを実施した。このプロセスには、アカデミアが自立して医薬品開発を行う上で重要な要素が含まれており、特にさまざまな理由で企業では開発が進まない領域における治療開発の一つのノウハウとなり得ると思われる。そこで本シンポジウムでは我々が経験したメトレプチンの開発体制と一連のプロセスを報告する。