

# 「医師主導の創薬」が米国の潮流に

## 生命科学部門に関する二所見

資本市場におけるここ数年の生命科学部門の様相をみると、金融緩和の波に乗った過剰な投機が株価の乱高下を招いたことが目につく。一方、製薬会社自身の投資や経営をみると、患者から目をそらした経営者が業容拡大を急ぎ過ぎ、その結果、大型賠償金支払いを求められる判決を受けたり、買収先企業の経営が失墜するなど、屋台骨を揺るがしかねない損失が生じている。創薬とは何のための事業か。「患者を救うため」という原点が見失われているように思われ残念だ。

世界に処方薬はたくさんあるが、その4割は実際には効かないといわれる。そのような現状への不満から、患者の手当てにあたる臨床医師や病院が主役となる「パーソナライズド・メディスン」への取り組みや、「ドラッグ・リポジショニング」の推進が米国では加速している。この大きな潮流の変化に、日本の生命科学関係者が主体的に参加すれば、「金鉱掘りにつるはしを売る」ようにあらゆるツールの製作者が現れ、波及効果はエレクトロニクス、情報処理など他産業へも広がってゆくと期待される。

### 現状

本年も既に第2四半期に入ったが、ここ数カ月を振り返ると、生命科学に関する投資市場の現状は内外ともに極めて波乱気味だ。米国バイオテック株式指数は2009年以降、米

連邦準備制度理事会（FRB）の金融緩和の恩恵を最も大きく受けた部門の一つとして急上昇したが、3月には息切れし、その後急落した。テクノロジー株はバイオに限らず他の部門も同様で、例えば電気自動車の先端企業である「テスラ・モーター

ズ」は、いまだ1ドルたりとも儲けたことがないのに、時価総額がゼネラルモーターズの半分程度まで上がっていた。こうした根拠のない「期待」だけに支えられた株価が乱高下するのは自明の理だ。

日本の製薬会社では、武田薬品工

在ニューヨーク投資銀行家  
神谷秀樹

みたに・ひでき 早大政経卒。75年住友銀行入行。84年ゴールドマン・サックスに転職し、ニューヨークに移住。92年日本人として初めて米証券取引委員会に登録した投資銀行「ミタニ&カンパニー・インク」(現在のロバート・ミタニ・L.L.C)を創業。著作に「人間復興なくして経済復興なし!」(亜紀書房)、「強欲資本主義ウォール街の自爆」(文春新書)など。

業が「アクトス」の副作用である膀胱がんに関するリスクを隠蔽したという嫌疑で、60億ドルの損害賠償を求められ係争中だ。第一三共も買収したインドのジェネリック製薬会社「ランバクシー・ラボラトリーズ」の経営につまずき、実質的に手放す方向である。経営者の目が「目の前に居る一人の患者を救うこと」よりも「業容の拡大」に向き過ぎていたためではなかったか、と悔やまれる。このように、生命科学分野において表面上大きな波乱が見られるが、本稿ではそうした表面的な出来事か

らむしろ目を離し、底流で起きてい  
る重要な変化に関し、筆者の私見を  
述べてみたい。なお、筆者は科学者  
でも医者でもない。筆者の仕事は投  
資銀行家であり、22年前にニューヨ  
ークに「ロバート・ミタニ・  
LLC」という小さな投資銀行を創  
業して以来、生命科学分野（薬品、  
医療機器、診断機器等）に多くの顧  
客を得て、その資金調達と事業開発  
（海外市場の開拓、技術導入および  
導出）のアドバイザーに関わってきた。

## 使命放棄した経営者と投資家

ここ20年、生命科学業界をみてき  
て「最も強く感じることは、この  
業界の経営者がいつか「何のため、  
誰のため」に仕事をしているのかと  
いう疑問であり、失望だ。同業界の  
経営者であれば、自分たちを食べさ  
せてくれる人、すなわち「患者」の  
ために働くというのが失つてはいけ  
ない立ち位置だと思うのだが、欧米  
でも日本でも、患者を見て仕事する  
経営者は今や稀少になり、ほとんど  
の経営者の視線は「株価」「株主」  
に向かい、自己の収益こそが優先順  
位の筆頭になってしまった。

多くのベンチャー・キャピタルは

もともと、「大金持ちが、大金持ち  
の資金を集め、大金持ちをより大金  
持ちにするために、いかに速く科学  
をお金に換えるか」という目的をも  
って仕事する存在だが、それでも  
「昔」は「世のためになるものを産  
み出すこと」に大いに貢献しようと  
いう意識がかなり強くあつた。その  
ため、長期的な視点からの投資もし  
たし、遠大なテーマも追いかけた。  
しかしそのような大志を持つベンチ  
ャー・キャピタリストは、今や皆無  
に等しい。

例えばアルツハイマーという病気  
は、人類にとつて最も大きな脅威の  
一つだ。現状で「6人に一人」、将  
来は「4人に一人」が発症するよう  
になると言われている。それではア  
ルツハイマーの治療薬の開発に、ど  
れだけの企業が挑戦しているだろう  
か。実は極めて少ない。ベンチャー・  
キャピタルでアルツハイマーの創薬  
に出資する意欲を持つところは今や  
ほとんど無い。なぜなら、アルツハ  
イマーの「治療」を目指す薬品の開  
発は、世界中の製薬企業がこれまで  
ことごとく失敗してきたからだ。エ  
ーザイの「アリセプト」のように、  
治療は目指さないが「症状の進行を

遅らせる薬」には承認が下りている  
が、それでもこれまで世界でわずか  
4件だ。このように難しい。

アルツハイマーの新薬開発は人類  
にとって最重要課題の一つだが、株  
価重視の経営者や投資家のほとんど  
は目を背ける。当たれば「ビリオン  
ダラー・ドラッグ」になることは分  
かっている。しかし、お金も時間も  
かかり、承認を得られる可能性は、  
例えばフェーズIIまで治験が進んでい  
たとしても予測しがたい。「だから  
やらない」。これが大半の経営者や  
投資担当の出す穏当な結論だ。とは  
いえ、日本ではエーザイや大塚製薬  
がこの難しい課題に挑戦を続けてお  
り、ここに敬意を表す。

## 臨床医師たちの台頭

世界で年間使われる処方薬の金額  
は約9600億<sup>ドル</sup>（96兆円）だ。こ  
の薬が全部有効で患者を救っている  
のであれば素晴らしいが、実際には  
「効かない薬」の処方約4割とい  
われている。いい換えれば約38兆円  
の薬代は「効かない薬」に支払われ  
ているのだ。がんであれば、本当に  
効くのは一割程度ともいわれている。  
医師たちはこうした現状に当然不

満だ。大金を薬に費やしなから、「効  
かない」。この不満から現在、「医師  
主導の創薬」「医師主導の処方」と  
いう一つの流れが起きつつある。そ  
れが「パーソナライズド・メディ  
ン」であり、「ドラッグ・リポジシ  
ョニング」の動きだ。

先に「効かない」と述べたが、な  
ぜ効かないかといえば、基本的には  
患者の個人差が大きいからだ。例え  
ば「胃にあるがん」は皆「胃がん」  
と呼ばれ、「胃がんに効く薬」が処  
方されるが、がんは遺伝子によつて  
千差万別で、ある患者に効いても他  
の患者には効かないことが多い。が  
んでは「3割の人に効く」薬があれ  
ば「素晴らしい」といわれ、「1割  
程度にしか効かない」ものでも、場  
合によつては承認される。患者とし  
ては、効く薬であればありがたいが、  
効かない薬を処方され、副作用に苦  
しみだけであれば、むしろ処方され  
ない方が好ましい。それではどうし  
たら自分の体質に合う「効く薬」を  
処方して貰えるようになるのだろう  
か。

患者一人ひとりに合う薬を、テー  
ラーメイドで処方することを「パー  
ソナライズド・メディスン」または

「テラー・メード・メディスン」という。これを行うのに必要なことは主に、①患者の全遺伝子の解読（これを「DNAシーケンシング」と呼ぶ）②その遺伝子に向けた薬を多くの候補の中から短時間で選択するスクリーニング（これを「ハイスループット・スクリーニング」と呼ぶ）③遺伝子のパターンと薬品のスクリーニング・データを付き合わせ管理する「メガデータ・マネージメント」の3点だ。大量の情報処理を「安く」行い、誰でもが使えるようにするには、生命科学部門からだけではなくIT業界からの貢献が必要となるが、一般的に見て、それは可能となってきた。例えばヒトの30億塩基対を解析するDNAシーケンサーだが、現状のものが一人あたり100万円台、次世代が10万円台、次々世代が1万円台できるところまで技術的なメドは立ってきている。薬のスクリーニングに関して、米国の大病院は自分でやり始めた。まず手をつけたのは、承認された既存の薬品の用途外使用である。例えば、ある製薬会社が「肺がんの薬」として承認をとったものがあり、ある遺伝子のパターンを持つ乳がんの患者

に病院で使ったら効果があったとする。そうした場合、この薬品の毒性に関してには既に肺がん目的では「安全」とされ承認を受けているのだから、用途外でも効果があれば、その医師は医師免許で病院の倫理委員会を通し、自分の乳がん患者の治療にこの肺がん薬を使うだろう。このような行為をシステマチックに行うことを「ドラッグ・リポジショニング」という。こうして新たな乳がんの薬を誕生させるコストは、ゼロからスタートし、臨床試験を経て承認を得るのに比べると、はるかに安く上がる。

ここで一つ注目すべき真実は、「ドラッグ・リポジショニング」においては、製薬会社の研究所ではなく、臨床医師や病院が主役となって実質上の「新薬」が開発されることだ。創薬の「主役交代」である。例えば、米国のがん治療の大手病院である「MDアンダーソン・キャンサー・センター」はこうした研究を大々的に進めようとしている。こうした研究を始めるとつかかりとなった5億ドルの資金は、サウジアラビア政府によって提供された。

一方、米国立衛生研究所（NIH）

は、化合物のスクリーニング・データを全米の医療機関から集め、長大なデータベースを構築しようとしている。そのためにスクリーニングに使う機器の購入代金をどんどん提供し始めた。「お金は出す。どんどんスクリーニングしてください。ただし、その結果はNIHに報告してください」というものだ。この「報告してください」というのは新しい動きである。これまでのNIH資金は、研究者にただ与えられるもので、ほとんどの場合、その成果（データ）をNIHに報告する義務を負わなかった。結果は研究者の「自分のもの」で許されたのだ。しかし本件は、米政府がこの「価値あるデータの集積」を国家資産とすることを意図していると感じられる。実に賢い。

ここにみるように、医療のイノベーションの深層では、大きな革命的变化が起こっており、その将来に筆者は大きな希望を感じる。

## 日本への提案

武田薬品工業と第一三共のつまづきのニュースに接したとき、「両社合わせて約1兆円か。これは日本の製薬業界全体にとっても大損失だ」

という第一印象を持った。一つの新薬の開発に1000億円を予算化するとして、10件分に相当する。500億円規模のものであれば20件。大製薬会社のためすぎがこれで終わるとも限らない。

規模を追う必要はない。一方「一人の患者を救う」という使命を忘れてはいけない。真に患者を救う薬を開発すれば、利益はおのずとついてくる。日本には、循環器病の治療に革命を起した「スタチン」を発明した遠藤章博士がおられる。博士には以前、当社がお世話した「バイオクラスター・エイジア」というコンファレンスで、基調講演していただいた。その折、博士に接する機会を頂戴したが、博士はこの薬を「自然からの贈り物」とも呼ばれた。また、「科学でお金儲けをしようと思ったことは生涯一度も無い」と明確だった。それが日本人の日本人らしい素晴らしさではないだろうか。新しい社会も、新しい資本主義も、日本人が本来の日本人に回帰するところから形成されてゆくと思っている。

さて、大病院の方に申し上げたいことは、前述のように「パーソナラ

イズド・メディスン」「ドラッグ・リポジショニング」は、皆様が主役となるべき世界だということだ。ぜひ世界の先進医療機関と連携し、そのネットワークに参加し、世界標準の研究体制を共有し、応分の役割を果たしていただきたい。それにはもちろん膨大な資金も要る。「MD Anderson」が準備した資金が20億ドル。これにマッチするような金額を、日本政府は準備すべきだと思う。筆者はこの分野で日本が「米国に勝つ」というような、無謀な目標を立てることは望まない。彼らと「一緒に肩を組んでやっけて行く」ような体制を整えて欲しいと願うのだ。

今ならまだ間に合う。しかし1年も2年もしたら、間に合わなくなる。彼らはずっと先に進んでしまい、日本はやがて彼らに高いフィーや代金を支払って、その成果を使わせてもらうことになる。イノベーションは人に先立つからイノベーションなのだ。イノベーションを推進するのに「待つ」という選択肢はありえない。生命科学部門で目を向けるべき「投資対象」につき、本稿がその指針を若干でも示唆できたのであれば幸いです。