

## 基盤技術が多様化する医薬品開発

### ◆細胞治療、核酸医薬、遺伝子治療と多様化を続ける医薬品の基盤技術

2017年8月、スイス製薬企業Novartisのがん治療法である抗CD19キメラ抗原受容体T細胞（CART）療法Kymriahが、世界で初めて、米国食品医薬品局（FDA）の承認を受けた。17年10月には、米製薬企業Kite Pharma（米製薬企業Gilead Sciencesが17年8月に買収）の同じく抗CD19のCART療法であるYescartaがFDAにより承認され、細胞治療の技術が医薬品の基盤技術に加わった。

17年9月には、家族性アミロイドーシスの治療薬として開発中のRNA干渉薬の有効性が第Ⅲ相臨床試験で示され、FDAに申請準備中であると米製薬企業Alnylam Pharmaceuticalsからの発表があった。最近、医薬品の基盤技術として核酸医薬が注目されているが、その一つである。

17年10月には、米製薬企業Spark Therapeuticsが開発している遺伝性網膜ジストロフィーに対する遺伝子治療薬Luxturnaの承認をFDAの専門委員会が全会一致で推奨し、18年早々にもFDAによって承認される見込みとなった。米国では初めてとなる遺伝子治療も、医薬品の基盤技術に加わる。

### ◆新たに医薬品の基盤技術に加わるゲノム編集

17年11月から、体内でゲノム編集を行い、ハンター症候群の治療を目指す米製薬企業Sangamo Therapeuticsによる臨床試験が始まった。CART療法のように、細胞を体外に取り出すことなく、直接、患部でゲノム編集を行う試みは初めてである。ゲノム編集技術を用い、正常なイズロン酸-2-スルファターゼの遺伝子を肝臓細胞の特定部位に導入する。現在のハンター症候群の標準的な治療法は酵素補充療法では、繰り返し酵素を投与する必要があるがそれを解消することを目指す。

製薬業界では、低分子医薬を治療の基盤とする創薬が大半を占めていたが、90年代以降、抗体医薬など蛋白質医薬を基盤技術とする創薬が急速に広まった。最近では、細胞治療、核酸医薬、遺伝子治療などが新たな医薬品開発の基盤技術として有効な技術に加わるようになってきている。さらに、ゲノム編集などが加わり、医薬品の基盤となる技術は多様化を続けている。

【戸潤一孔】