

社長対談 第6回

MDS — この病気を何としても治るようにしたい 一日でも早く、 一つでも多くの新薬を



MDS(骨髄異形成症候群)連絡会 代表
星崎達雄様

聞き手
シンバイオ製薬株式会社
代表取締役社長 兼 CEO
吉田 文紀

MDS(骨髄異形成症候群)は、造血幹細胞の異常によって赤血球や白血球、血小板などが減少する難治性の血液疾患ですが、患者数が少ないため医療の手が十分に届いていません。そこで星崎さんが代表を務めるMDS連絡会が患者・家族同志の絆を作りながら、行政、医療、研究機関、製薬会社などにさまざまな働きかけをしています。これまで移植しか完全治癒の方法はないと言われていたMDSにも、医療の進歩により治癒への明るい光が見え初めました。MDSについていま何が起きているのか、連絡会はどのような活動をしているのか。第1回に引き続いてMDS連絡会代表の星崎さんからお話を伺います。

なぜMDSだけが取り残されているのか

吉田 MDSは、造血幹細胞の異常によって赤血球や白血球、血小板などが減少する難治性の血液疾患ですが、患者数が少ないため医療の手が十分に届いていません。そこで星崎さんが代表を務めるMDS連絡会が患者・家族同志の絆を作りながら、さまざまな活動をされているわけですが、今はどのような状況にあるのでしょうか。

星崎 MDSの治療は、輸血、鉄キレート剤(輸血によって体内に蓄積された過剰な鉄の排泄を促進する薬物)、G-CSF(造血因子)などの補助療法を効果的に使って、少しずつ延命できるようになってきました。また、以前は難しいと言われていた55歳以上の中高年患者さんでも、最近ではミニ移植やさい帯血移植などの移植実施例が増えています。

さらに、移植ではなく薬で相当レベルまで治療の可能性が見えてきました。有効な新薬が使えるようになれば、貧血改善や造血の回復なども期待できます。しかし、CML(慢性骨髄性白血病)などでは、分子標的療法で8割、9割の人に効く特効薬が開発されているのに、なぜMDSだけが取り残されているのかという声も、依然としてあります。これからは、症状が異なる患者さんにとって最善の治療法が確立されるよう、医療関係者、研究者の皆さんのご努力をお願いしたいと思います。

吉田 関係者の皆さんも努力をされているわけですが、患者数の少ない空白の治療領域はどうしても対応が遅れがちですね。

星崎 アメリカでは、熱心な看護師さんがMDSのためのファンデーションを設立して、研究資金を提供しているという話も聞いています。日本でも広く寄付などを募って、MDSについて研究してくれる先生方を支援する基金のようなものを設立できればいいねと、「つばさ」の橋下さんと語っています。

厚生労働省が患者数5万人未満の病気で、必要性の高い医薬品を「オーファンドラッグ」(orphanは“無援の人”の意味)として指定し、承認審査の迅速化や、薬価などの優遇措置を講じることになっています。しかし、新薬の開発などでまだまだドラッグラグは解消されていません。



新しい治療法に希望を託して

吉田 ドラッグラグについては、日本では特に血液がんの領域で新薬の開発が遅れています。欧米では使われているにもかかわらず、日本で使えないというギャップの大きい治療領域のひとつです。

私たちはその空白を埋めようと、8年ほど前にシンバイオ製薬を創業したわけです。しかしかなり長い期間先行投資が必要で、この間、膨大な開発費を市場から調達しながら会社を運営しています。結局、欧米の試験結果と同等の内容を日本人の患者さんで臨床試験をして結果を出すことが求められます。行政も欧米のデータの使用についてはある程度柔軟性を持っているのですが、そのまま欧米の試験結果を使えるところまで来ていません。日本人の患者さんで臨床試験を行い、第I相試験、第II相試験をして効果と安全性を確認し、場合によっては比較試験を求められることもありますので、これはまた大変な費用がかかることになります。

行政は比較試験をしないと、その薬が効いているかどうか分からないと言うわけですが、結局、それなりの規模の試験をしなければいけませんので、患者数の少ない治療領域は避けて通るということになり、空白化が起こりがちです。そのようなこともあって、ベンチャーの力の限界を感じながらも、私どもの企業理念である「共創共生」の志に基づき、一日も早く、一つでも多くの新薬を開発し、患者さんに提供していく強い意志を持って事業を推進しております。

星崎 新薬を承認しても副作用が出ることがあるので、行政は慎重にならざるをえないのだらうとは思いますが。

吉田 そのへんは見極めが必要だと思います。欧米で使われているもので、日本人で同じような成績が得られれば、どんどん承認をしていく。一方、そのような前提条件がないものについては慎重に対応するという切り分けをしないと、ドラッグラグはなかなか解消しないと思います。

星崎 患者としては、自分で好き好んでこの病気になったわけではないので、できれば治したい。それが手続きのような問題で救われないというのは、本当に悲しく苛立ちを覚えます。

吉田 私たちが行政にお願いしていることは、私どもが取り組んでいる疾患については、希少がん、希少疾病でもあり、標準療法が確立されていないこともあり、欧米のデータをできる限り活用するという基本的な考え方に立ってほしいことがひとつ。それと、大手が手をつけない治療領域を埋めることを企業使命としてわれわれは会社を興し、「共創・共生」(共に創り、共に生きる)という考えのもと事業を遂行しているわけですから、患者さん第一の視点から行政の手を差し伸べていただきたいということです。やはり一企業でできる範囲は非常に限られていますので、何がしかのサポートがほしいところです。

星崎 患者の立場からも、その点について配慮があってもいいと思います。

吉田 現実問題として、まだまだ十分に手のついていない空白の治療領域があり、多くの患者さんたちが苦しんでいます。われわれはそこに光を当てるため、全世界のバイオベンチャーの研究開発を常にモニターして、これは日本の患者さんのためになるという新薬の候補のデータが出てくれば、すぐさまその研究機関に出向き交渉をし、権利を得て日本で開発をするというモデルを組んでいます。つまり、研究所を構え、研究所から出てくるのを待つ、農耕民族的な考えではなく、常に獲物を探している新薬のハンターです。

当然、その権利を得るためのかなりの資金も必要ですし、導入したのちには、それに対してかなりの額の開発投資をしていくこととなります。幸い、当社の開発第1号品となるトリアキシンという新薬は、再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫の領域において、発売後12ヵ月で5割を越す患者さんに使われ、標準薬としての評価がほぼ定まり、無くてはならない新薬の位置づけを確立することができました。このことが意味するものは、この分野の先生方、患者さんが優れた新薬の誕生を待ち望んでいたということだと思います。おそらく、私どもが導入し、昨年、開発を開始した新薬についても、同様のことが起こりえると思います。再発・難治性のMDSの患者さんにとっては、今現在は輸血しか選択肢がない訳で、一日も早く新薬の誕生を待ち望んでいらっしゃるのではないかと思います。

星崎 私たちがMDS連絡会を立ち上げたころには、まだ保険適用の薬がありませんでした。そういう中で、新たな注射剤が2011年に承認されました。この薬は移植のできないようなハイリスクのMDS患者さんには第一選択薬になりつつありますが、残念ながらそれでも半分くらいの人にしか効かず、白血球減少という

副作用が起こることもあるため、より有効な新薬が待たれます。

吉田 私たちが取り組んでいる新薬は、二つの剤形があり、注射剤で再発・難治性の高リスクのMDSの患者さんを対象として開発を進めており、一方、経口剤は低リスクの患者さんを対象として開発を進める計画です。

星崎 それはありがたいことです。近くに病院があればいいのですが、血液内科の専門医のいる病院はどうしても限られます。地方に住んでいて、病院に行くだけで1日かかるという方も多くいます。そうでなくても大変な貧血症状があるわけですから、できれば自宅で服用して治療したい。副作用が少ない薬であれば、なおさら患者の期待は大きいと思います。



MDS への理解と 支援の輪を広げるために

吉田 今後、連絡会として取り組んでいきたい課題はありますか。

星崎 いまわれわれが懸念していることのひとつは、連絡会顧問の埼玉医科大学の木崎先生もおっしゃっていることですが、高齢者で、本人も周りの人もMDSだと気づいていない方がけっこういるのではないかと思います。血液のがんとか白血病であれば大変だということになりますが、貧血の症状だけでは重篤な病気だと思わない人が多い。それならまだしも、鉄欠乏の貧血でないのに鉄分の多い食事をとったり、サプリメントを使ったりといった間違った対応をしているケースも少なからずあるようです。そういう潜在する隠れ患者の人たちに、MDSという病気があることを知らせ、啓蒙することも必要だと考えています。

吉田 どのような啓蒙活動がされているのですか。

星崎 われわれのフォーラムなどを通じて知らせる程度のことしかできていないのが現状です。高齢の方はインターネット環境にないことが多く、若いご家族が同居されていれば代わりにインターネットで調べるといふことでもあるでしょうが、高齢のご夫婦だけだと情報伝達には限度があります。

吉田 いろいろな機会を捕らえて知らせていく必要がありますね。

星崎 MDS連絡会として、これからはMDSという病気が広く世の中の人に理解されるよう働きかけていく段階だと考えています。たくさんの隠れ患者が間違いなく存在し、気づかずに日々過ごしていると考えられますが、この病気も早期発見・早期治療が大切です。医師たちは、いよいよ白血病になるという一歩手前で来られても有効な治療法は少ないと言います。残念ながら移植をしようにも年齢的に無理で、手がつけようのない状態で来院される患者さんも少なからずいるということです。MDSという病気があることが分かっているならば、日常生活でちょっとつらい貧血を自覚した人は、もっと早く血液内科の診察を受けることができるだろうと思います。

MDSは高齢者に多い病気なので、どうしても周りの人に気を遣って黙っていたり、自分が我慢すればいいということで日々過ごしていたりする方が多いのではないかと心配しています。これが重篤な病気であることは間違いないので、貧血を伴う症状がある方はMDSの可能性があると知ってもらえるようにしたいと思います。

吉田 MDS連絡会の活動も、内部だけではなく、広く外部にも目を向けているわけですね。

星崎 もう一つ、最近気になっているのは小児についてです。小児の場合は成人と病態も異なるし、治療法もまったく違います。MDSを担当している血液内科の先生によれば、小児のMDSは別の病気ととらえたほうが良いということです。しかし、小児のMDSを専門とされる血液内科の先生は多くありません。連絡会でときどき相談を受けるのは、MDSを告知された中学生や高校生が、若いので移植したほうが良いだろうと医師には言われるのですが、タイミングをいつにすればいいかということです。若いほど治癒率は高く、基本的には移植すればまずは助かると言われてます。でも移植となるとリスクがありますから、親御さんは心配するわけですね。そのへんの問題も、まだこれからということですね。

吉田 移植ができるのは何歳くらいまでですか。

星崎 移植に対して積極的な病院と慎重な病院とがありますが、平均の発症年齢が65歳前後ですから、MDSと診断された年齢で、もう移植は無理だと言われることが多いようです。しかし、ある病院の先生は72歳の人まで手がけたということです。本人が希望して体力的に大丈夫だということであれば、年齢ではなく、本人の体力を目安にすればいいということのようです。

吉田 個人差があるんですね。

星崎 欧米では、年齢も一つの目安ですが、病態とか体力を判断して、本人や家族が希望すれば70でも75でも移植をするケースが増えているようです。おそらく日本でもそうなっていくのではないのでしょうか。

吉田 安全で有効な薬が出てくると患者さんの生存期間が伸びますし、さらに見過ごされていた患者さんが顕在化すると、患者さんの数が全体として増えていきます。そのようにして社会的な存在感が出てくると、MDSという疾患の概念が明確になり、さらにいい治療法が開発されるというポジティブな循環効果も出てくると思います。

星崎 私たちはこの会を立ち上げたとき、あえて"連絡会"という名称にこだわりました。それは、単に患者さんやその家族が集る会ではなく、医療関係者や製薬会社など、多くの方々とのネットワークを構築し、連絡を取り合ってMDSへの理解と支援の輪を広げ、共に手を携えて、「この病気を何としても薬で治せるようにしたい」「いつの日かMDSの治療法から骨髄移植を除外したい」という切なる願いがあったからです。その日が必ず実現することを信じて、1歩1歩、歩みを進めていこうと思っています。

吉田 是非ともご努力が報われることを祈っています。私どもも微力ながら、お役に立てるよう社を挙げて頑張りたいと思います。患者さんの声を聞くことができ、また、大変参考になる、いいお話を伺うことができました。ありがとうございました。

