EVERYBODY LOVES KOBE GAKUIN vol.31

新薬がもたらす患者の笑顔を夢見て

総合リハビリテーション学部教授
松尾 雅文
Masafumi Matsuo

研究成果の製造販売を目指して新会社を設立

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、DMD）という遺伝性の進行性の筋萎縮症があります。

「男の子の約3500人に1人の割合で発症するDMDは小児期に発症し、発症すると筋肉が縮んで歩行ができなくなり、青年期になると心不全や呼吸困難などを引き起こす難病。これまで治療薬はもちろん、有効な治療法すら見つかっていない、実にやっかいな病気です」と語るのは、DMD研究の第一人者である神戸学院大学総合リハビリテーション学部の松尾雅文教授。

しかし遂に、この難病の歴史に終止符が打たれるかもしれません。

今年3月、松尾雅文教授を中心とする研究グループの研究成果を治療薬開発に応用するため、治療薬開発の新会社（株式会社Orphan Disease Treatment Institute）が第一三共株式会社、株式会社産業革新機構、三菱キャピタル株式会社の共同出資により設立されたからです。新会社は今後、第三共株式会社とともに、薬としての有効性と安全性を精査するための非臨床・臨床試験を実施。新薬の製造販売承認を目指します。

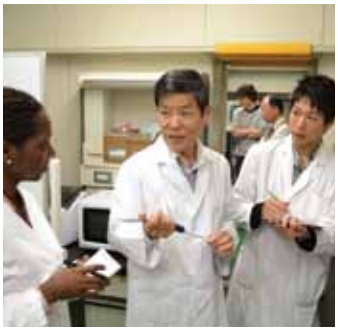
ぜひとも新薬開発を―皆の熱意が不可能を可能に

DMDの原因は遺伝子の異常により、ジストロフィンというタンパク質が欠損することにありました。松尾教授のグループがDMDの研究をスタートさせたのは1990年ごろ。その後、治療のもととなるタンパク質発現のメカニズムを世界で初めて発見します。理論の大筋は、遺伝子の異常そのものを治すのではなく、不具合のある部分をうまく修正してタンパク質を甦らせるというものでした。しかし、その発想は当時の学会の常識とまったく違うものだったため、なかなか受け入れてもらえなかったそうです。

「今から10年ほど前、何とか治療薬を開発したいということで、製薬会社の第一三共とDMD研究に関する特許を取り共同で研究を進めていました。ただ、当時は製薬会社が薬として販売するには患者数が少なすぎるとして、なかなか新薬開発までたどりつくことができませんでした」と、松尾教授。

そんな状況が好転したのは、治療法の発表から十数年経った2010年ごろのこと。膠着状態だった空気を変えたのは、新たに松尾教授の研究グループの担当となった第三共株式会社の研究開発スタッフの熱意でした。

「私たちの研究成果をもとにした治療薬が病気に有効であると確信し、製薬ビジネスとしても成り立つという強い信念のもと、外部ファンドをはじめ、さまざまな関係機関に対して粘り強く働きかけてくれました。そうした彼らのサポートがなければ、今回の新会社設立は難しかったのではないでしょうか」と、松尾教授は振り返ります。



松尾教授は今後も、そんな『同志』とも言える第三共株式会社の方々とともに、治療薬の開発・製造販売承認獲得にアドバイザーとしてかかわり続ける予定です。

一日も早く治療薬の実現を

「私はこれまで、『病気を治す』という信念で患者さんと向き合った研究を行ってきました。DMDの治療方法を発見できたのも、そうして、患者さんと日々接するなかで病気に関する貴重な情報を得ることができたからです。でも、これからが本当のスタートです。一日も早くDMDの治療薬を実現させて、すべての患者さんに笑顔を取り戻していただきたい。それが、私の最終的な願いですね」

夢へのチャレンジが、未来を創る
神戸学院大学
法学部 経済学部 経営学部 人文学部 総合リハビリテーション学部 栄養学部 薬学部 大学院

＼ポートアイランドキャンパスで学ぶ4年間／
現代社会学部 2014年4月開設予定（設置認可申請中）
現代社会学科 社会防災学科
※設置認可申請中のため、学部・学科名等は変更になることがあります。
神戸学院大学に、8番目の学部誕生！
●有瀬キャンパス ●ポートアイランドキャンパス ●長田キャンパス（法科大学院）
神戸市西区伊川谷町有瀬518 TEL:078(974)1551(代) www.kobegakuin.ac.jp/
大学の最新NEWSをご紹介 神戸学院大学 検索