



図 1 R & D プロジェクト・シーズ選別から承認 (NDA) 申請へ (低い成功確率)

での治療学的ポジションが得られない限り開発の意義はない。そこで、この段階においては、適応一いかなる疾患のどのような病期、病型、病態の患者を対象を選ぶかを、深く洞察して慎重に選択規準を定めねばならない。この点が正しく POC (proof of concept: 薬効原理の証拠) study としての TR の核心部分となる。

理想的には対象とする疾患における何らかの意味での標準治療の地位を得ることが目標となるが、これは長く困難な道のりである。例えば、基礎研究に必要なエネルギーを 1 とすると、製品化までに必要なエネルギーは、工業製品では 100 倍程度といわれる。だが、医薬品に関しては、NDA (新薬承認申請)、審査承認、標準治療としての確立まで考えれば 1,000~10,000 倍といってよい。

これは工業製品と違って、医薬品・医療技術では人を対象とした臨床試験をいくつもクリアしなければならないからである。この段階は、通常少なくともほぼ 10 年の年月を要する。法律・規則に基づいて安全性と有効性を実証し、規制当局の承認を得なければ市場に出すことはできないから

である。

一方、特許は 20 年で切れてしまうので、特許出願の段階からよほど周到に開発を進めて商品化しない限り、その発見・発明が実用化されて患者さんたちの手元に届くことはまずない (図 2)。

アカデミアから新しい医薬品・医療技術がなかなか世に出ない最大の理由は、当該シーズの特許がないか、または弱いからである。創薬・臨床開発は事実上、特許ビジネスであって、それは激的な国際競争下にある。ことばをかえていうならば、これは国益を賭けた科学・技術の戦いなのである。したがって、TR は通常の科研費ベースの研究で、よくなしうるものではない。研究者、医師、そして行政当局、議員、国民もそのことをよくよく知るべきである。

### 3 わが国における創薬・臨床開発のトラックとエグジット

わが国においては、新規医薬品候補物であつても、ものによっては医師の裁量のもとに、施設の倫理委員会の承認を得て行う、いわゆる自主的な