

Children 開発中の小児用新薬

PRESENTED BY AMERICA'S PHARMACEUTICAL COMPANIES

小児用という特別なニーズに合わせて217の薬剤とワクチンを開発中

米国研究製薬工業協会(PhRMA)の最新の調査によると、小児用として217の薬剤とワクチンが開発中である。また、小児用の25の薬剤は米国食品医薬品局(FDA)ですでに承認されており、加えて、52の有望な小児用医薬品がすぐに臨床試験に入る予定になっている。

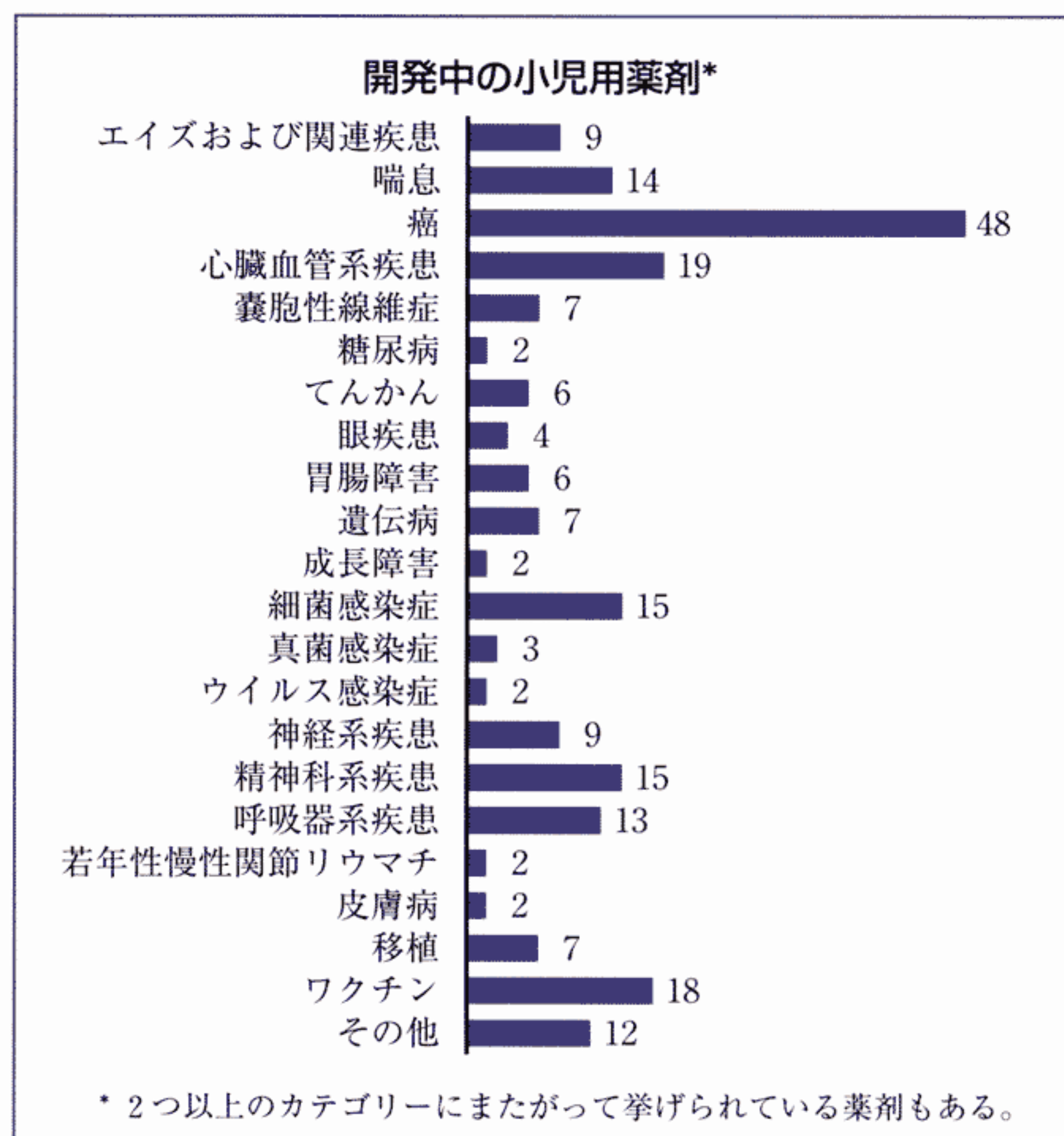
革新的な薬剤やワクチンは、この半世紀の間、何百万という子供達の生命を救ってきた。例えば、1949年には、肺が未成熟なため、新生児100人のうち1人以上が呼吸障害症候群で亡くなっていたが、今日では、未熟児の肺の成熟を促す医薬品により、新生児の死亡率は記録的に低下した。また、ポリオは1950年には2,000人近くのアメリカの子供達の命を奪ったが、ワクチンのおかげで今では事実上存在しない。ワクチンはまた、細菌による髄膜炎を根絶し、はしか、風疹、おたふくかぜの大部分を防いできた。さらに、50年前には、白血病の治癒率はほとんどゼロだったのに対して、今では80%になっている。加えて、すべての小児癌の死亡率は1970年代より57%も減少している。

小児用にすでに承認された新薬には以下のものがある。

- *小児用エイズの組み合わせ療法で使われる一日一回服用する薬。
- *小児リウマチ学者によって“近年、若年性慢性関節リウマチのために最も飛躍的に進歩した薬”と称された治療薬。
- *小児喘息を抑制するための2種類の新薬。そのうちのひとつは、2歳児用としても承認された。
- *部分発作の兆候が見られる2歳からの子供を含めた何千ものてんかん患者を救う新薬。
- *耳の感染症に対するワクチン。

現在、臨床試験中かまたは、FDAの承認待ちの薬剤は次のとおりである。

- ***癌のための48種類の新薬。**癌は毎年2,300人もの若者の命を奪い、子供の病気による死亡原因の第一位である。子供達を脅かしている骨癌や脳腫瘍、固形腫瘍、リンパ腫、腎臓癌、また、最も多い小児癌である白血病など様々な癌を治療するための薬剤が開発されている。この中には、全米癌協会(NCI:National Cancer Institute)が単独か、または製薬会社と共同に開発しているものもある。
- ***エイズやエイズ関連症候群に対する9種類の薬剤。**そのうちのひとつは、月齢1カ月のHIV陽性新生児に使用できる。
- ***喘息用の14種類の薬剤。**喘息はここ10年間で死亡率と子供の罹病率がともに増加している。全米では、約480万人の子供達が喘息に罹っており、毎年約400万人の子供達がこのために亡くなっている。これら開発中の新薬の中には、新しい治療法を取り入れているものもある。例えば、現在用いられている薬剤よりも早い段階でアレルギー反応を抑える抗免疫グロブリン抗体薬などである。
- ***嚢胞性線維症用の7種類の薬剤。**嚢胞性線維症は3万人の患者がおり、アメリカの白色人種で最も多い致命的な遺伝病である。ここ20年間に、医薬品によって、この疾



病に罹患している子供達の平均余命は2倍になった。開発中の新薬のうち2種類は“遺伝子補助治療”薬である。これは、多くの嚢胞性線維症の患者の原因となっている変異したタンパク質を通常のタンパク質と同じように機能させるために働く薬剤である。

さらに、製薬会社は、心臓病、糖尿病、眼疾患、クローン病、鎌状赤血球貧血症、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、耳感染症、肺炎、脳性麻痺、トゥレット症候群、精神科系疾患、移植時の拒絶反応、自閉症など、多くの小児疾患に対する新薬の開発をおこなっている。

この調査は、小児用の新薬が、試験段階において、実際的にも、法的にも、また倫理的にも難しいにもかかわらず、製薬会社の研究開発の中で非常に活気ある分野であることを示している。

1997年のアメリカ連邦議会において、小児用の医薬品研究を奨励するプログラムが設立された。このプログラムは、2002年以降も延長が望まれる。また、小児用の医薬品研究だけではなく、新しい処方や、子供達に用いられている既存の薬剤に関する医療情報の調査研究も奨励していくべきである。これにより、より多くの子供達が子供時代の楽しさを満喫し、健康に成長できるようになることであろう。

Alan F. Holman

PhRMA 理事長
アラン・F・ホーマー