

抄録

第7回日本シニア小児科医連盟

講演1

「私のキャッチコピー」

伊藤進（香川大学 名誉教授）

第7回シニア小児科医連盟での講演にあたり何を話そうかと迷いましたが、人生で自分が思っていて何かしら役に立ったことを話すことにしました。皆様には、私の愚痴をいっているように思われるかもしれませんが。香川医科大学小児科学講座の教授になってから、キャッチコピーを作りそれを手段に何とか苦難を乗り越えてきましたのでそれを含めて定年退職後のことも話させていただきます。最初は、「楽しくなければ小児科ではない」です。教授になった時に、小児科はNICUと一般小児科と2枠の当直が必要でした。医局員にはこんな人数で当直はできませんとよく言われました。そのために小児科医をリクルートする目的で作ったキャッチコピーです。その後、医局員も増え何とか当直も回すことができるようになりました。次に、「命を助け、心を守る小児医療」です。心を守るには、命を助けないといけないので小児で一番死亡率の高い新生児を見る医師を香川でいっぱい作ることでした。そして、母子分離による弊害を防ぐために、母親が通える範囲内にその高度新生児医療をする施設を作ることでした。つまり、中規模集約化の発想です。人口100万弱の地域に、総合周産期母子医療センター2つと地域周産期センターが1つあります。これは、「こどもがいないと未来はない」を含みます。産科医と小児科医のいない地域は、若い人がいなくなり、その地域ごと消滅します。一方、各々の病院で小児科が夜中働くのは、医学生から見ても非常に評判が悪い。地域の小児科医を増やすにはそれを改善する必要があります。そのために、香川県では日勤、準夜と深夜帯に分けて香川の小児科医が協力して小児医療を行っています。最後は、「小児の適正医療」です。これは、小児の未承認薬・適応外薬の解決のために用いました。現在でも、医療上の必要な未承認薬・適応外薬検討会の構成員として関与しています。定年退職後はキャッチコピーではありませんが、「年寄りは何者か」がテーマとなっています。要らない子で生まれ、それなりに努力してきた私にとって、今は非常に気楽な状態で、厄介者にならないように年寄りでも何か役に立つようにと思い人生を過ごしています。定年退職時の望みは、年金をいただくこととこどもに面倒を見てもらうことでした。前者は可能でしたが、後者は不可能のため香川の官舎で過ごしています。火曜日は小児科外来のアルバイトを1日中、水曜日は小児科ポリクリ学生への講義、木曜日は研究の指導をしています。その他は、いつでもインターネットで飛んで来る相談への対応、論文と抄録の校正、論文の執筆や月1回の高松市の小児慢性特定疾病審査会委員長として働いていますが、主要な仕事は官舎全体の清掃と花の世話です。このリズムは、定年後続いていますが、フレイルやロコモティブ症候群になり何時厄介者になるか不安があります。そうなっても、頭が働くようにして何か役になることをして厄介者を回避したいものです。

講演 2.

「今、遺伝子治療はどこまで進歩したか？」

衛藤義勝（一般財団法人 脳神経疾患研究所 先端医療研究センター長・東京慈恵会医科大学名誉教授）

最近、様々な遺伝病で遺伝子治療の成功例が報告され始めた。1990 年、米国の NIH で先天性免疫不全症（SCID）の遺伝子治療が発表された。1995 年、北大で初めて日本で免疫不全症の遺伝子治療が報告され、ほぼ 30 年経過した。この間、1999 年アデノウイルスベクターで治療された尿素サイクル代謝異常症（OTC）患者の死亡例が報告され、2002 年にはレトロウイルスベクターで遺伝子治療された SCID の 2 名の患者がフランスで白血病になり、遺伝子治療は 10 年前まで暗黒時代であったが、2008 年頃から副腎脳白質変性症（ALD）、異染性脳白質変性症（MLD）など *ex vivo* の遺伝子治療の成功例が報告され始め、2012 年はリポタンパクリパーゼ欠損症の初の遺伝子治療薬が発売された。その後、遺伝病では遺伝性盲、免疫不全症、最近では脊髄筋萎縮症（SMA）、タラセミアなどの遺伝子治療薬等 9 品目が商品化され、現在更に 50 種以上の遺伝性疾患の遺伝子治療の成功例が報告されている。又、白血病の遺伝子治療薬、CAR-T 細胞治療（キムリア）薬が、我が国でも承認された。SMA は単回治療が 2.3 億円という高額が治療費であり、今後多くの超高額遺伝子治療薬が出てくることにより、治療薬の対経済効果が問われる時代となった。遺伝子治療の効果は iPS 細胞の治療の臨床応用を抜きはじめているが、将来的な安全性の担保はまだ明らかでない。又、最近では遺伝病を個人の遺伝子から根絶するための、受精卵、或いは精細胞への遺伝子治療が編集遺伝子治療の手法を用いて研究されている。我が国でも受精卵への編集遺伝子治療は患者への応用を厳しく禁じるが、基礎研究での研究を進める為のガイドラインが出来た。この間、中国で、タラセミア患者受精卵或いは HIV 患者の受精卵への編集遺伝子治療により、拳児例が報告され、衝撃的ニュースとなり、強い批判を浴びた。世界の遺伝子治療学会或いは遺伝学会から受精卵、精細胞への応用に関して、臨床的遺伝子治療への厳しい編集遺伝子治療に対するメッセージが出された。今後悪用されれば、デザイナーベビーの誕生等ヒトでの応用はヒト科人種の根本的改造人間を作る可能性まで起こりうる技術であり、且、神を冒瀆する技術をヒトは得て、パンドラの箱を開いてしまった。今後厳しいガイドラインの下で、癌、遺伝病等多くの疾患での根治治療に役立つことを心から願う。