

2021 年 5 月

SoC1230

## Messenger RNA for Health-Care Innovation

By Ivona Bradley (Send us [feedback](#))**mRNA が引き起こしたヘルスケア・イノベーション**

メッセンジャーRNA (mRNA) ワクチンは、人体にコロナウイルスのスパイクタンパク質を作るよう指示し、免疫系がこれに対する抗体を作り、将来の感染症を標的にすることができるようにする。mRNA 技術は、様々な治療法の潜在的供給源として何十年にもわたり開発が続けられてきたが、COVID-19 パンデミックによって mRNA によるワクチンが迅速に承認されるまで、治療に利用されることはなかった。こうしたワクチンは、現在のところパンデミックに対する最も効果的な対抗手段の一つとなっている。また、COVID-19 ワクチンの開発を大幅に加速するには、承認手続きの効率化やその他の変更が不可欠であった。こうしたパンデミックのプラス効果は、遠隔医療が容易になったことやテクノロジーを基盤にした研究者間の協力体制が強化されたことなど、他の短期的効果とともに今後しばらく続くだろう。変化は恒久的なものになり、ひいては集中した医療提供環境の大幅緩和に展開し、センサーによる個人の健康監視、人工知能、ロボティクスとの統合が大幅に進む未来を導く助けとなる可能性もある。しかし、このような長期的に持続する大きな変革を達成することは非常に複雑な取り組みであり、膨大な数のステークホルダーがインセンティブに同意し、同調する必要がある。したがって、可能性が高いと考えられる長期的な成果は、高齢化社会の深刻かつ永続的な問題に対処する中で、総合的なヘルスケア・イノベーションの進捗が徐々に改善されるだけになってしまう可能性もある。

mRNA 治療薬はウイルスそのものを用いたワクチンや DNA 治療薬よりも安全だが、RNA を治療薬とし

て使用することの難しさがこの分野における企業の商品開発能力を制限している。その難しさは、RNA に固有の化学的不安定性やその短い生体内半減期に由来している。さらに、インフルエンザの原因となる RNA ウイルスに対抗するための人体の免疫システムの自然な防御に起因する、RNA の生体内での毒性についても懸念されている。ヒト細胞に RNA を送達すると、インターフェロンの誘導やサイトカインの刺激など、免疫応答を引き起こす可能性があることが解明

されている。免疫の検出を回避することの難しさは、体内の特定のタイプの標的細胞に荷電分子を送達するという課題も複雑にしている。通常、mRNA は酵素と人体の免疫応答による複合効果で極めて急速に分解し、この急速な分解は mRNA 療法の有効性に対する大きな障壁となっている。mRNA COVID-19 ワクチンの場合、ファイザー、バイオンテック、モデルナは、脂質ナノ

粒子を使用して mRNA を分解から保護し、ウイルスのスパイクタンパク質の遺伝子バリエーション (genetic variants) を宿主細胞に安全に送達することを可能にした。mRNA 技術は、今後科学者が新しいタイプのワクチンを設計し、投与する方法に急速な革命をもたらし、まだワクチンが開発されていない疾患を標的とする新しいタイプのワクチンを生み出すかもしれない。その他の mRNA 療法の成功は、mRNA 分子の送達方法と安定性に依るところが大きい。

現在、mRNA 治療薬は製薬会社の大きな関心を集めている。mRNA COVID-19 ワクチンの成功と、潜在的に広範囲におよぶ治療可能な疾患に継続的な mRNA 治療薬が必要とされる可能性があるためだ。

患者は、一定の健康状態を保つために mRNA 療法を繰り返すことを必要とし、その治療法を提供している製薬会社に安定的な収入源をもたらす。だとすれば、mRNA 治療薬は潜在的な利益が見込まれる製品を意味する。ワクチンをより効果的にすることに加えて、mRNA 技術はすぐに癌を含む幅広い疾患の新しい治療につながる可能性がある。例えば、Chinese National Center for Nanoscience and Technology の科学者チームは、がん免疫療法に使用する新しいハイドロゲルを開発した。このハイドロゲルには、治療用の mRNA ナノ粒子と、体の免疫反応を仲介するアジュバントが混合されている。この組み合わせにより、mRNA を長時間持続させることができ、マウスのがん腫瘍の縮小に効果を発揮した。

mRNA 技術ともう 1 つの革新的なバイオテクノロジーである CRISPR を組み合わせることで、遺伝子治療に反応する疾患の治療法を提供することができるかもしれない。CRISPR による治療法(細胞内の既存 DNA を永続的に変更することで機能する)では、mRNA の体内での持続時間が短いという主な弱点が利益をもたらす可能性があり、過去に CRISPR の有用性を制約していた主要な問題の 1 つを解決するのに役立つ。CRISPR に焦点を当てたスタートアップであるインテリア・セラピューティクス、モデルナ、バイオンテックはすでにこうした治療法を追求している。

改善された mRNA ワクチンやその他のゲノムツールと並んで、CRISPR 技術は弱い立場の人々を守り、パンデミックを阻止し、闘う上で重要な役割を果たす可能性がある。例えば、CRISPR は、必要な時点で迅速かつ正確な結果を提供できる次世代診断を可能にする。CRISPR 診断を迅速に適用し、新しいコロナ

ウイルス変異株やその他の病原体を検出することができるかもしれない。カリフォルニア大学サンフランシスコ校、同バークレイ校、そしてグラッドストーン研究所の研究者らは、CRISPR-Cas13 とスマートフォンカメラを使用して、鼻腔拭い液から重症性呼吸器症候群コロナウイルス 2 の遺伝物質を検出する診断テストを開発した。しかし、CRISPR 診断が臨床に利用可能になるまでにはまだ数年かかるだろう。

バイオテクノロジーの分野では、mRNA 技術は新しい驚嘆すべき技術である。バイオテクノロジーは、新しい画期的な技術が定期的に出現し、それが過剰に喧伝されてきたように見える分野だが、mRNA 技術は大成功を収め、COVID-19 ワクチンという形でその有用性を証明した。前述の例が示すように、多くのシナジーをなす技術が同時に利用可能になり、mRNA の有用性をさらに向上させ、その欠点のいくつかに対処できるようになりつつある。したがって、mRNA を取り巻く過剰な報道や宣伝でも、少しだけ信じてよいかもしれない。今回のパンデミックでは、mRNA ワクチンが迅速に展開され、大成功を収めたことで、医療の進歩を加速させることが可能であることが実証されました。また、今回のパンデミックで生じた長期的な変化は、バイオテクノロジーの進歩を加速させ、遅々として進まなかった性質を、良い方向に変えてくれるかもしれない。さらに、mRNA 技術を取り巻く過剰な騒ぎは、医療用途とのさらなる相乗効果を持つ可能性のある非医学的用途につながるかもしれない。この現象は、医療を超えて、健康、食糧生産、美容、その他の分野におよぶ大規模で多様な mRNA 産業の基礎を築く可能性がある。

**SoC1230**

#### 本トピックスに関連する Signals of Change

SoC1154 コロナウイルス後の生活  
SoC1143 医療AIによせる希望、将来性、そして懸案事項  
SoC671 コラボレーションによるイノベーション

#### 関連する Patterns

P1588 Covid-19 を追い詰める試みの数々  
P1587 製薬会社の変革  
P1552 健康を目指すイノベーション・パートナー……