

# ライフサイエンスに関する 研究開発課題の評価結果

平成24年3月30日

研究計画・評価分科会

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会  
ライフサイエンス委員会 委員名簿

(50音順)

飯島 貞代	三菱化学株式会社ヘルスケア企画室部長 三菱化学フェロー
磯貝 彰	奈良先端科学技術大学院大学長
小幡 裕一	理化学研究所バイオリソースセンター長
甲斐 知恵子	東京大学医科学研究所教授
鎌谷 直之	株式会社スタージェン情報解析研究所長
桐野 高明	国立国際医療研究センター理事長
小安 重夫	慶應義塾大学医学部教授
笹井 芳樹	理化学研究所発生・再生科学総合研究センター グループディレクター
定藤 規弘	自然科学研究機構生理学研究所教授
末松 誠	慶應義塾大学医学部長
高井 義美	神戸大学大学院医学研究科教授
高木 俊明	テルモ株式会社 取締役上席執行役員 研究開発本部統轄
高木 利久	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
知野 恵子	読売新聞東京本社編集局編集委員
月田 早智子	大阪大学大学院生命機能研究科教授
◎ 永井 良三	東京大学大学院医学系研究科教授
長洲 毅志	エーザイ株式会社理事・CSO付担当部長
中村 清吾	昭和大学医学部教授
中村 祐輔	東京大学医科学研究所教授
成宮 周	京都大学大学院医学研究科教授
若槻 壮市	高エネルギー加速器研究機構物質構造科学研究所副所長

◎：主査

平成24年1月26日現在

## 目 次

### <中間評価>

- 橋渡し研究支援推進プログラム

(スーパー特区研究および拠点活用研究A) . . . . . 1

### <事後評価>

- 橋渡し研究支援推進プログラム

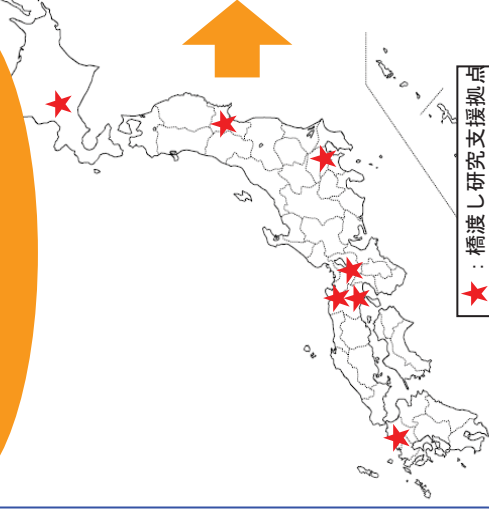
(拠点活用研究B) . . . . . 5

# 橋渡し研究支援推進プログラム

## 概要

- がんや認知症、生活習慣病等の国民を悩ます病に対する創薬や医療技術などについて、**有望な基礎研究の成果を実用化につなげる「橋渡し研究」の支援体制を整備。**
- 橋渡し研究を加速するため、**全国7箇所の支援拠点を中核として**、地域性や開発シースの特性を基本とした、大学等から構成される**橋渡し研究ネットワークを形成。**
- 平成23年度までに、各拠点2件の研究シースを治験の段階まで移行させ、拠点の支援能力について一定の確立を図るとともに、**各拠点の自立した橋渡し研究支援を促進。**

【目標】  
国家としての基礎研究成果  
の実用化パイプラインを構築

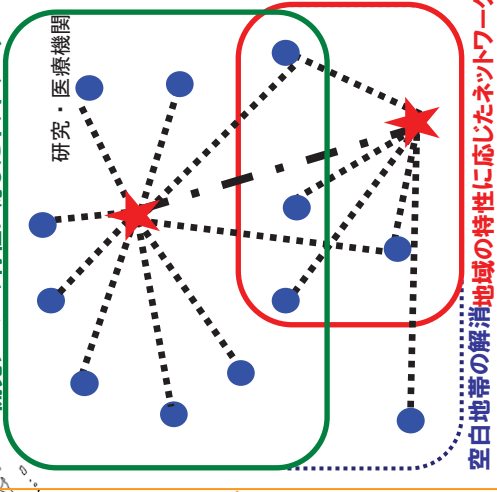


★：橋渡し研究支援拠点

- 平成23年度予算額：3,000百万円
- 平成22年度予算額：2,400百万円
- 平成21年度予算額：2,400百万円
- 平成20年度予算額：1,750百万円
- 平成19年度予算額：1,500百万円

## 橋渡し研究ネットワークの形成

開発シースの特性に応じたネットワーク



空白地帯の解消地域の特性に応じたネットワーク

## 概要・実施体制

橋渡し研究ネットワーク

橋渡し研究支援拠点  
(7拠点)

橋渡し研究

支援設備



支援人材



医療として実用化



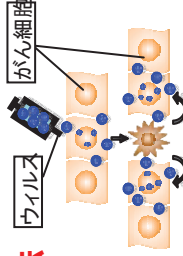
企業への  
ライセン্সアウト・  
先進医療・  
治験 ※  
(厚労省・経産省が支援)

※シースの進捗状況(H23.5現在)  
治験へ移行 9件  
企業へのライセン্সアウト 17件  
先進医療 6件

## 波及効果と成果の例

### ■がんのウイルス療法

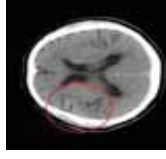
がん細胞だけで増殖でき、  
よるよう人工的に造った  
ウイルスにより、がん  
細胞だけを壊滅させる。



がん総患者数：142万人※、国民医療費：2.9兆円※※

### ■脳梗塞に対する細胞治療

自己の骨髄細胞を用いた  
新治療法。麻痺してい  
た身体が動くようになる  
など、これまで12例で  
顕著な臨床効果を確認。



脳血管疾患総患者数：137万人※、国民医療費：1.6兆円

※平成19年厚生労働省の保健統計(厚生労働省) ※※平成20年度国民医療費の概況(厚生労働省) なお、脳血管疾患には脳梗塞、脳出血等を含む。

# 中間評価票

(平成24年3月現在)

1. 課題名 橋渡し研究支援推進プログラム  
(スーパー特区研究および拠点活用研究A)

## 2. 評価結果

### (1) 課題の進捗状況

#### ○事業の概要

文部科学省では平成19年度に5か年の計画で、有望なシーズを医療として実用化させることを目的とした「橋渡し研究支援推進プログラム」を開始した。このプログラムでは、橋渡し研究の支援機関として公募により7拠点を採択し、開発戦略や知財戦略の策定、試験物の製造などの支援機能を拠点的に整備してきた。平成21年度には、全国の大学・研究機関等における有望なシーズを対象に、橋渡し拠点機能を活かして研究を加速するため、公募によりスーパー特区に採択になったテーマから4課題、それ以外のテーマから6課題を採択し、3～5年で臨床でのPOC (Proof of concept) の取得を目指し、研究費の支援を開始した。

各課題研究者と橋渡し研究支援拠点との連携により、全10課題においておおむね順調に進捗している。各課題の状況は以下の通り

#### ○東北大学 (木村 芳孝)

進捗状況および成果は十分で次年度以降も引き続き実施することが適当である。妊娠中期からの胎児モニタリングとして広く利用が期待される有望なシーズであり、機器の作製、動物モデルでの安全性・効果の確認、治験実施体制の立ち上げについては進捗している。臨床的有用性評価の臨床試験・治験はこれからであり、拠点と連携の上、規制当局との折衝を含めた準備を進め、早期に臨床試験・治験を開始することが望まれる。

#### ○浜松医科大学 (山本 清二)

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。本研究課題では企業による支援がすでに行われているが、企業主導治験に向けて拠点と連携して交渉を進めて欲しい。

#### ○京都大学 (湊 長博)

進捗状況および成果は十分で次年度以降も引き続き実施することが適当である。新規ながん免疫療法として、既存薬を応用する試みは興味深い。各施設の連携および役割分担は十分であり、強力な治験体制を活かして症例集積を推進し、有効性と安全性についての評価を進めることが望まれる。

#### ○九州大学 (江頭 健輔)

進捗状況および成果は十分で次年度以降も引き続き実施することが適当である。EQuIPシステム (下肢虚血性疾患の治験デザイン、データ収集等を適格化するシステム) の導入

により客観性と信頼性を高めていることは評価できる。今後の臨床試験・治験によるヒトでの臨床的効果の検討への活用が期待される。

○東北大学（後藤 昌史）

進捗状況および成果は十分で次年度以降も引き続き実施することが適当である。平成 24 年度内に POC 取得のための臨床試験が実施される予定であるが、その後の開発プロセスについて薬事承認にいたるまでの道筋を明確化することが望まれる。

○福島県立医科大学（後藤 満一）

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。研究体制も確立されており、移植ドナー発生時の対応に活かし、着実に進めて欲しい。

○札幌医科大学（本望 修）

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。将来的に需要が見込まれる治療法であるとともに、複数拠点の連携による細胞療法開発の先行事例として期待する。

○京都府立医科大学（松原 弘明）

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。今後は、更に臨床的効果をはっきりと証明することが望まれる。そのためにも、症例集積のため心筋再生ネットワークの構築が重要である。

○大阪大学（目加田 英輔）

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。モデル動物を用いた既存薬との併用試験など基礎試験が十分に行われている。一方、今後はプロトコル策定が急務で、PMDA との相談を大いに活用することが望まれる。

○東京大学（藤堂 具紀）

進捗状況および成果は大変優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当である。第 I 相の成績を踏まえて第 II a 相試験に進み、順調に被験者登録が進行している。本治療法は日本発の新しい癌治療法として期待は大きい。

## （2）各観点の再評価と今後の研究開発の方向性

これまでの 3 年間は、橋渡し研究支援拠点整備と並行して個別シーズの支援を行い、シーズの進捗に伴い、拠点自体も成長を遂げ、5 年間の目標であった「各拠点 2 件の治験届け提出」は達成される見込みであり、基盤整備はほぼ完了したと言える。

これにともない、スーパー特区研究および拠点活用研究 A の今後の 2 年間は、より拠点機能を活かし①知財の強化②ネットワークを利用した研究の加速②企業との連携に留意することが望まれる。

### ①知的財産の重視

これまで、全体として論文発表や学会発表は十分になされてきた一方で、特許出願数が全くない課題がいくつかあった。企業にとっての魅力や、国際的な優位性を確保するために、今後知財確保にも留意する必要がある。

### ②ネットワークを利用した研究の加速

これまでは、非臨床試験段階や、小規模な臨床試験において、十分な成果をあげてき

たが、研究の進捗にともない、症例数確保のために拠点および拠点間のネットワークを利用した研究の加速が望ましい。

## ②企業とのマッチング

これまで、他の研究と類似した研究や、複数の疾患を対象とした研究が散見されたが、その中でも突出して新規制が高い、あるいはこの疾患に対しては優位性が高いなど、今後は期待される製品特性を明確にし、企業とのマッチングを視野に入れた開発戦略策定が望まれる。

## (3) その他

本プログラムでは、研究シーズの支援と拠点の基盤整備とを並行して実施したため、研究が進捗してハードルに直面することが拠点の成長を促すなど、よい効果があった。

また、本プログラムにおいてPD、PO、サポート機関による的確なプロジェクトマネジメントが重要な役割を果たした。今後は、シーズ進捗や知財に関する情報が一元的に管理できるような、恒久的な司令塔の役割を果たす組織の構築により、All Japan として研究開発力を発揮させることが望まれる。

# 事後評価票

(平成24年3月現在)

1. 課題名 橋渡し研究支援推進プログラム (拠点活用研究B)
2. 評価結果
(1) 課題の達成状況 文部科学省では平成19年度に5か年の計画で、有望なシーズを医療として実用化させることを目的とした「橋渡し研究支援推進プログラム」を開始した。このプログラムでは、橋渡し研究の支援機関として公募により7拠点を採択し、開発戦略や知財戦略の策定、試験物の製造などの支援機能を拠点的に整備してきた。平成21年度からは、全国の大学・研究機関等における有望なシーズを対象に、橋渡し拠点機能を活かして研究を加速するため、「拠点活用B研究」として公募により4課題を採択し、1～3年で非臨床におけるPOC (Proof of concept) の取得を目指し、研究費の支援を開始した。 各課題研究者と橋渡し研究支援拠点との連携により、全4課題において本プログラムの目標であった非臨床POC取得を達成した。各課題の状況は以下の通り  ○大阪大学 (関口 清俊) 目標であった非臨床POC取得を達成し、進捗状況及び得られた成果は特に顕著である。iPS細胞等の幹細胞の医療応用に資する重要な研究であり、「拠点活用A」へ移行し、来年度以降も引き続き実施することが望ましい。 ○理化学研究所 (藤井 眞一郎) 目標であった非臨床POC取得を達成し、進捗状況及び得られた成果は優れている。動物のみならずヒト細胞をでもPOCを取得しているてんは評価できる。次世代癌ワクチンとして期待できる。 ○京都大学 (田畑 泰彦) 目標であった非臨床POC取得を達成し、進捗状況及び得られた成果は優れている。臨床POCまでの計画は適切に計画されているが、試験物製造に関する企業との連携が不十分であり、今後の進捗が期待される。 ○山口大学 (坂井田 功) 目標であった非臨床POC取得を達成し、進捗状況及び得られた成果は優れている。平成23年度に再生医療の実現化ハイウェイプログラムに採択されており、実用化にむけた開発の加速が期待できる。
(2) 成果 ○研究の進捗状況について 全4課題において非臨床POCを取得しており、十分な進捗が得られた。また、論文、特許等、研究成果の発信も十分行われている。本プログラムにおいては、橋渡し研究支援拠点の支援により、PMDAとの協働が推進され、早期の研究段



階で出口を見据えた開発を行う機運が高まってきた。また、きめ細かい研究スケジュールを組み、実行している研究が多くを占めるようになったことは大きな成果である。

○拠点との連携について

研究者と拠点との連携は十分に行われている。拠点の支援により、特許出願も順調に行われ、アカデミアが知財実用化に向けての出口戦略とロードマップを意識してのプロジェクトマネジメントが浸透してきている事は評価される。企業との連携については現在進行中だが、ライセンスアウトまでの不透明な課題もあり、企業との交渉を速やかに進められるよう拠点の支援が必要とされる。

(3) 今後の展望

本プログラムにより、各拠点において、シーズを臨床へ移行するための道筋が確立した。今後は、この流れを更に加速するため、各拠点が各シーズの進捗状態を的確に評価しながら、適切な次期および規模の資金投入が出来る仕組みが必要である。