

ライフサイエンスに関する研究開発課題の 事前評価結果

平成25年8月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

目次

- ライフサイエンス委員会 委員名簿 2

<事前評価>

- 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発 5
- 橋渡し研究加速ネットワークプログラム 8
- 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業 11
- オーダーメイド医療の実現プログラム 14
- 次世代がん研究戦略推進プログラム 17

ライフサイエンス委員会委員

氏名	所属・職名
主査 永井 良三	自治医科大学学長
飯島 貞代	株式会社三菱ケミカルホールディングス ヘルスケアソリューション室 三菱化学フェロー
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	株式会社ステージン会長
桐野 高明	独立行政法人国立病院機構理事長
小安 重夫	独立行政法人理化学研究所 統合生命医科学 センター センター長代行
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
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系研究科教授
高木 俊明	テルモ株式会社 取締役上席執行役員 品質保証部・安全情報管理部・環境推進室管掌
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/医学系研究科 教授
中釜 斉	独立行政法人国立がん研究センター研究所長
長洲 毅志	エーザイ株式会社理事・CINO 付担当部長
長野 哲雄	東京大学薬学部教授
成宮 周	京都大学医学研究科教授
山本 雅之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長
山脇 成人	広島大学大学院医歯薬保健学研究院精神神経医 科教授

(平成 25 年 8 月現在)

研究開発課題の事前評価結果

平成25年8月

ライフサイエンス委員会

革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発(新規)

平成26年度要望額:調整中

事業概要

- バイオ医薬品(抗体・タンパク・核酸医薬等)は、低分子医薬品よりターゲットへの特異性が高いことから、効果が劇的であり、副作用も少ないことが期待されている。低分子医薬品の探索が世界的にピークを越えていることもあり、がん及び自己免疫疾患領域を中心に、世界的にバイオ医薬品市場の成長が著しい。
- 近年、我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題(細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等)の解決が求められている。
- この問題を解決するため、我が国の強みであるケミカルバイオロジや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出し、5年以内に企業等への技術移転を目指す。
- また、文科省、経産省、厚労省の連携体制により、基礎から開発・製造及び臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、バイオ医薬品関連産業のための橋渡しと基盤整備を行い、次世代バイオ医薬品創出に貢献することを旨とする。

従来のバイオ医薬品開発における製薬企業等が抱える課題

- 分子量が大きいため経口化が困難で注射剤となる
- 細胞内への送達が難いため、細胞内標的に対する開発は進んでいない
- バイオ医薬品の生理活性特性に重要な影響を与える糖鎖を自在に制御する技術が確立していない
- 特定の組織や細胞にバイオ医薬品を送達する技術が確立していない
- 核酸医薬は塩基配列や構造が既知の核酸やタンパクを標的とするため作用機序が明確で副作用も少ないと期待されるが、安定性等の性能に課題が多く実用化に至っていない

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を強化するため、以下のような「次世代バイオ医薬品技術開発」を実施

細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、低分子化、エピジェネティクス制御技術、核酸医薬の高活性化及び安定性向上等、糖鎖構造の制御技術等

達成目標

次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術を5年以内に企業等へ移転

世界の大型医薬品売上高ランキング

上位10品目中7品目がバイオ医薬品

順位	製品名	薬効等	メーカー	2012年(百万ドル)
1	レムミナ	関節リウマチ	アボット/エーザイ	10,860
2	レミケード	リウマチ/クロン病他	武田/メルク/田辺三菱	9,729
3	エンブレール	リウマチ他	アムジエン/ファイザー/武田	9,016
4	アドエア/セルタクト	抗喘息薬	8SK/アルミラル	8,242
5	グレストール	高脂血症/スタチン	塩野薬/アストラゼネカ	7,919
6	ランタス	非ホルモナル降糖薬	ロシュ/バイオジェン/アイザック	7,902
7	ハーセプチン	腫瘍/インスリンアナログ	サノフィ	7,891
8	ハーセプチン	乳がん	ロシュ/中外製薬	7,386
9	アバスタン	転移性癌他がん	ロシュ/中外製薬	6,984
10	ジャズビア	2型糖尿病 DPP4	メルク/小野薬品/アルミラル	6,187

「出典:セジテム、ストラテジックファータ(株)ユート、ブレン事業部」

経産省 開発～医薬品製造

- ・ オールジャパンの製造技術基盤構築
- ・ 革新的製造技術の創出
- ・ 先進的品質評価技術の開発

橋渡し研究加速ネットワーク
ワークプログラム

橋渡し研究支援人材・施設による基礎から臨床への橋渡し

いち早い実用化に向けたシームレスな支援

臨床研究中核病院等
整備した人材・施設による質の高い臨床研究・医師主導治療の実施

実用化

事前評価票

(平成 25 年 8 月現在)

1. 課題名 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発 (新規)

2. 開発・事業期間 平成 26 年度～

3. 課題概要

【概要】

世界の新薬市場では組換え DNA 技術、細胞融合技術、細胞培養技術等のバイオテクノロジーで製造されたバイオ医薬品 (抗体・タンパク・核酸医薬等) が主流となりつつあり、平成 24 年度の世界市場における売上高の上位 10 品目のうち、がん及び自己免疫疾患領域を中心とした 7 品目をバイオ医薬品が占めている。

我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題 (細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等) の解決が求められている。

本事業は、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出することを目的とし、企業等への技術移転を目指す。

【研究内容】

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を強化するため、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、低分子化、特定の組織及び細胞への送達技術、エピジェネティクス制御技術、核酸医薬の高活性化及び安定性向上等及び糖鎖構造の制御技術等の革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発を実施する。

【想定する成果】

5 年以内に次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術を開発し、企業等へ移転する。また、本事業によりアカデミア創薬が推進されるとともに、我が国の医薬産業への貢献が期待される。中長期的には、低分子化合物や従来のバイオ医薬品を超える革新的医薬品の創出により、次世代がん医療や難病に対する医療の向上への貢献が期待される。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題（細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等）の解決が求められている。したがって、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出し、企業等へ技術移転する事業の構築が必要である。

(2) 有効性

我が国のバイオ医薬品産業には、バイオ医薬品開発における多くの技術的課題があるとともに、製造技術が集約されていないため海外に比べて新薬開発に多大なコストと時間を要するという問題がある。製造技術の集約については、経済産業省がオールジャパンの製造技術基盤構築を進めており、本事業による次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術の企業等への移転は、革新的バイオ医薬品の創出に有効である。

(3) 効率性

計算科学は、「ターゲットタンパク研究プログラム（平成 19～23 年）」及び「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（平成 24 年～）」において優れた成果を上げている。本事業はこれらのノウハウやその基盤が引き継がれている「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業」との積極的連携により、効率的に推進することが可能である。

5. 総合評価

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を高めるために本事業が重要であることは論を待たないところであり、我が国の医薬産業の発展のためにも、積極的に本事業を推進すべきである。ケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等は我が国が得意とする分野であり、これら技術の融合や「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業」との連携を推進し、最新の臨床知見等も踏まえつつ、効果的に技術成果を創出することが期待される。

また、バイオ医薬品研究に関わる人材の育成も重要であるため、アカデミア及びベンチャー企業等において優れた技術を持つ研究者の参加や、研究者間の交流・連携を戦略的に図っていくための仕組みも構築する必要がある。

橋渡し研究加速ネットワークプログラム

平成26年度要望額 : 調整中
 (平成25年度予算額 : 2,967百万円)

概要

大学等発の有望な基礎研究成果の臨床応用・実用化への橋渡しをさらに加速することにより、我が国発の革新的な医薬品・医療機器等を効率的・効果的に創出することを目指し、全国の橋渡し研究支援拠点をさらに強化するとともに、恒久的な橋渡し研究支援拠点を確立させることを目的としている。

平成26年度からの強化内容(案)

拠点の機能強化及び充実

厚労省の臨床研究中核病院整備事業等と密接に連携することにより、基礎研究成果を臨床応用から実用化まで一気通貫に支援できる体制を構築するとともに、開発に必要な専門人材の大幅な充実や教育訓練の充実に取り組み等により、拠点の機能を強化するとともに、拠点の充実を図る

シーズ育成機能の大幅強化

革新的な医薬品・医療機器等に関するシーズを基礎段階から実用化までシームレスに支援するための研究開発費を、大幅に拡充することにより、拠点のシーズ育成機能を強化する

ネットワークの強化

臨床研究・治験等を円滑に実施するための拠点間のネットワークをさらに強化し、シーズの実用化の加速を図る

橋渡し研究加速ネットワーク



プログラム開始後の実績 (H19年8月～H25年8月)	計
治験届が受理された医師主導治験	14
治験届が受理された企業主導治験	7
企業ヘライセンスアウト	22
先進医療承認	8
製造販売承認申請数	5
製造販売承認	5
保険医療化	2

大学等発のシーズ

- ・医工連携による医療機器
- ・全く新しい治療法等
 (ウイルス療法、免疫療法、補充療法等)



基礎研究

基礎段階から臨床応用・実用化までを一気通貫に支援

- 一気通貫に実用化に繋ぐ体制を整備するとともに、国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制も整備
- シーズ育成に必要な専門人材を大幅に充実するとともに、シーズを基礎段階から実用化までシームレスに支援するための研究開発費を大幅に拡充することにより、シーズ育成能力を大幅強化
- より多くの有望シーズの育成に取り組み、持続的に実用化の成果を創出

橋渡し研究の加速

- ・治験、先進医療
- ・企業への知的財産の移転

医療として
実用化



前臨床試験

臨床試験

事前評価票

(平成 25 年 8 月現在)

1. 課題名	橋渡し研究加速ネットワークプログラム（拡充）
2. 開発・事業期間	平成 24 年度～
3. 課題概要	<p>医療としての実用化が見込まれる有望な基礎研究シーズを有している大学等を対象に、それらのシーズを着実に実用化させ、国民の医療に資することを目指し、開発戦略や知財戦略の策定、試験物の製造などの橋渡し研究の支援を行う拠点を整備・強化するとともに、これら拠点から支援を受ける橋渡し研究に対し、公的研究費による支援を行う。</p> <p>平成 19 年度より開始した第一期では、採択した 7 拠点の整備を進め、具体的な成果として、「期間内に 1 拠点あたり有望な基礎研究の成果が、2 件ずつ治験の段階に移行すること」を目標として課し、ほぼ全拠点で達成された。</p> <p>平成 24 年度より開始した第二期では、橋渡し研究をさらに加速するため、シーズ育成能力の強化を図るとともに、拠点における自己収入の確保を促進することで、恒久的な橋渡し研究拠点を確立することを目指している。また、全国 7 カ所の支援拠点を中核とした、橋渡し研究ネットワークの形成を目指している。</p> <p>先般閣議決定された「日本再興戦略」（平成 25 年 6 月 14 日閣議決定）等においては我が国発の革新的な医薬品・医療機器等の創出が重要視されているところであり、基礎段階から臨床研究・治験を経て実用化に至るまでの一貫通貫の支援をおこない、より多くの成果を挙げうる体制を構築する必要がある。そこで平成 26 年度からは、厚労省の臨床研究中核病院整備事業等と密接に連携することにより、一体的に支援をおこなう体制を整備するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制の整備をおこなう。また、より多くの成果を産み出すべく、プロジェクトマネージャー、知財・契約専門家、生物統計家等といった必要な人材の充実をおこなうとともに、臨床研究に不可欠な倫理に関する事項や知的財産等イノベーション創出に必要な事項についての教育訓練を充実する等により、拠点の機能を強化するとともに、拠点の充実を図る。また、革新的な医薬品・医療機器等に関するシーズを基礎段階から実用化までシームレスに支援するための研究開発費を大幅に拡充する。さらに、臨床研究・治験等を円滑に実施するための拠点間のネットワークをより強化させる。以上のような取組により、革新的な医薬品・医療機器等が持続的にかつより多く創出される体制を構築する。</p>
4. 各観点からの評価	<p>(1) 必要性</p> <p>○医薬品、医療機器等の分野は、成長産業として発展が期待されているが、同分野は輸入超過となっており、我が国の国際競争力の強化が課題となっている。この課題への対応のために、本プログラムを強化する必要がある。</p> <p>○また、第二期プログラム開始以降、我が国発の革新的な医療の実用化を加速</p>

するために、実用化のための研究を基礎段階から一貫通貫で管理、支援することが重要視されており、厚労省の事業と密接に連携しながら「3. 課題概要」で述べたような本プログラムの強化をおこなう必要がある。

○本事業での成功例の創出により、本事業の実施拠点での支援を希望する有望なシーズが急増している。そのため、各拠点とも人材及びシーズ支援費用の深刻な不足が生じており、拠点組織の強化・拡充、シーズ育成費用を拡充する必要性は高い。

○また、「健康・医療戦略」（平成 25 年 6 月 14 日関係大臣申合せ）において、「これまで大学において整備してきた橋渡し研究支援基盤の成果も活用し、各橋渡し研究支援拠点のシーズ育成能力・拠点間のネットワークを更に強化する」こと等が記述されており、本プログラムを強化する必要がある。

(2) 有効性

○厚労省の事業と密接に連携して、有望な基礎研究成果を一貫通貫に実用化に繋ぐ実施体制を構築することにより、我が国発の革新的な医薬品、医療機器等の実用化のさらなる加速が期待され、国際競争力の強化に有効である。

○本プログラムではこれまでに治験の段階に移行したシーズが 21 件、製造販売承認されたシーズが 5 件等の成果をあげていることや、各拠点の支援シーズが年々増加していることから、研究開発費の拡充を図ることは、有望な基礎研究シーズの臨床への橋渡しをさらに加速し、国民へ医療として還元するのに有効である。

○プロジェクトマネージャー、知財・契約専門家、生物統計家等の人材の拡充等、基盤強化を図ることは、拠点のシーズ育成機能の強化につながり、有望な基礎研究シーズを迅速かつ次々と革新的医療として実用化していくために有効である。

(3) 効率性

○厚労省の事業と密接に連携して実施することにより、文科省・厚労省両省事業の推進・運営体制及び拠点の体制を円滑にでき、また、基礎段階から臨床研究・治験までを一貫通貫で支援できることから効率性が向上する。

○各拠点の支援シーズが年々増加しており、現在の体制及び支援規模では十分な開発支援が困難な状況にある。拠点組織の拡充・強化や必要なシーズ開発費用の確保により、今後シーズの開発を停滞することなく、効率的に実施することができる。

5. 総合評価

○我が国発の革新的な医薬品・医療機器等を持続的にかつより多く創出することは、成長戦略の重要な柱であり、省庁間の壁を廃して厚労省の事業と密接に連携し一体化することにより、基礎研究段階から臨床研究・治験を経て実用化に至るまで一貫通貫に支援する体制を構築することは重要である。

○開発に係る専門人材を拡充するなど拠点機能を強化するとともに、拠点の充実をはかり、人的な支援を十分に行う体制を構築するとともに、有望で進捗しているシーズに対しては開発が途切れないように研究開発費をしっかりと支援することが望ましい。