

事業名

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業（新規）

平成 31 年度要求額：2,400 百万円

（研究事業総額：12,000 百万円）

研究事業期間：平成 31 年度～平成 35 年度

※研究開発事業に関する評価については、科学技術・学術審議会等において、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等を踏まえ、事前評価が行われているため、当該評価をもって政策評価の事前評価に代えることとする。

【主管課（課長名）】

研究振興局ライフサイエンス課（仙波秀志）

【関係局課（課長名）】**【審議会等名称】**

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

【審議会等メンバー】

別紙参照

【目標・指標】

○達成目標

我が国から創薬シーズや先端技術が継続して生み出されるよう、アカデミアでの創薬研究を振興し、革新的な医薬品の創出に資する独自技術を育成するとともに、バイオ創薬や遺伝子治療等の基盤技術に関する要素技術の組合せ・最適化に取り組むことで、実用化の可能性を高めつつ、国内外でのライセンス供与が見込まれる知的財産を形成する。

○成果指標（アウトカム）

企業等への技術移転件数

○活動指標（アウトプット）

なし

【費用対効果】

投入する予定の国費総額 24,000 百万円に対して、上記アウトカムの結果が見込まれ、健康・医療戦略（平成 26 年 7 月 22 日閣議決定、平成 29 年 2 月 17 日一部変更）及び「医療分野研究開発推進計画」（平成 26 年 7 月 22 日健康・医療推進本部決定、平成 29 年 2 月 17 日一部変更）に定められた目標の達成に寄与することから、投入額に見合う大きな成果が期待される。

なお、事業の実施に当たっては、事業の効率的・効果的な運営にも努めるものとする。

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

(敬称略、50音順)

大 滝 義 博	株式会社バイオフィロンティアパートナーズ代表取締役社長
○小 幡 裕 一	理化学研究所バイオリソース研究センター長
倉 田 の り	情報・システム研究機構国立遺伝学研究所名誉教授
後 藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
小 安 重 夫	理化学研究所理事
菅 野 純 夫	東京医科歯科大学難治疾患研究所非常勤講師
鈴 木 蘭 美	ヤンセンファーマ株式会社メディカルアフェアーズ本部長
高 井 義 美	神戸大学大学院医学研究科特命教授
高 木 利 久	東京大学大学院理学系研究科教授
高 橋 良 輔	京都大学大学院医学研究科教授
谷 岡 寛 子	日本医療機器産業連合会臨床評価委員会委員長 /京セラ株式会社メディカル事業部
知 野 恵 子	読売新聞東京本社編集局編集委員
坪 田 一 男	慶應義塾大学医学部教授
豊 島 陽 子	東京大学大学院総合文化研究科教授
◎永 井 良 三	自治医科大学学長
中 釜 齊	国立がん研究センター理事長
長 野 哲 雄	東京大学名誉教授、東京大学創薬機構客員教授
奈 良 由美子	放送大学教養学部教授
成 宮 周	京都大学医学研究科特任教授
西 田 栄 介	理化学研究所生命機能科学研究センター長
山 本 晴 子	国立循環器病研究センター臨床試験推進センター長
山 本 雅 之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長

◎：主査、○：主査代理

平成30年7月23日現在

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業（仮称）

【研究開発概要・目的】 先端医薬品開発における我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアの優れた技術シーズを用いて革新的な基盤技術を開発し、企業における創薬につなげていくことが必要。サイエンスに立脚したバイオ創薬技術や遺伝子治療に係る基盤技術、要素技術の組合せ、最適化による技術パッケージを確立し、企業導出を目指す。

- ・ 創薬支援ネットワーク
- ・ 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業等

新たな知の創出

低分子創薬を目指した展開 若手の独立支援

連携

先端支援
基盤の利用

技術の競争力強化・未踏技術の開拓

①モダリティ・要素技術：

遺伝子導入 / ゲノム編集 / バイオ医薬品の高機能化

(例) 遺伝子治療での連携推進

- ゲノム編集
- ウイルスベクター
- 人工免疫細胞
- 抗体

組合せ・最適化

- DDS
- 効果・安全性評価
- イメージング
- 遺伝子導入

疾患
標的
情報

導出

産学連携

導出

産学連携

導出

産学連携

高度化・利用技術の開発

② 医薬周辺技術：①の加速・支援に関する技術開発

予算(概算要求予定額)の総額

年度	H31	H32	H33	H34	H35	総額
予定額	未定	未定	未定	未定	未定	未定

<本事業で対象とする研究分野>

①モダリティ・要素技術

・遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術に関する研究

Keyword: 遺伝子治療、ウイルスベクター、免疫細胞療法、CAR-T

・ゲノム編集、遺伝子発現制御等の基盤技術に関する研究

Keyword: 遺伝子発現制御、スプライシング制御、アンチセンス核酸、ncRNA、核酸医薬、ゲノム編集、エピゲノム操作

・バイオ医薬品の高機能化等の基盤技術に関する研究

Keyword: 抗体医薬品、糖鎖修飾、高機能バイオ医薬品、標的タンパク質分解技術

②医薬周辺技術

上記の加速・支援に資する、医薬周辺の新たな基盤技術に関する研究

Keyword: 分子・細胞イメージング、ドラッグデリバリーシステム、バイオインフォマティクス、次世代シーケンシング、効果・安全性評価技術、低分子創薬設計、IT技術、センサー技術

ヘッドクォーター機能として知財課題・技術集積課題を設置し、事業、導出、産学連携を推進

事前評価票

(平成30年7月現在)

1. 課題名 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業 (仮称)

2. 開発・事業期間 平成31年度～平成35年度

3. 課題概要

(1) 研究開発計画との関係

施策目標：健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応

大目標(概要)：健康・医療戦略推進本部の下、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画に基づき、国立研究開発法人日本医療研究開発機構を中心に、オールジャパンでの医薬品創出・医療機器開発、革新的医療技術創出拠点の整備、再生医療やゲノム医療など世界最先端の医療の実現、がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症や難病の克服に向けた研究開発などを着実に推進する。

中目標(概要)：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、医薬品・医療機器開発への取組：医薬品創出のための支援基盤の整備等により、革新的医薬品・医療機器開発を推進する。

重点的に推進すべき研究開発の取組(概要)：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、医薬品・医療機器開発への取組：医薬品創出のための支援基盤の整備等により、革新的医薬品・医療機器開発を推進する。

(2) 概要

現行事業(「革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業」。平成26-30年度)は、バイオ医薬品の市場規模が急速に拡大する中、我が国が出遅れているとの認識の下、バイオ医薬品等に関し企業が抱える技術的課題の解決のため、アカデミアの優れた技術シーズを用いて基盤的な技術開発を推進し、もって我が国発の革新的なバイオ医薬品等の創出に資することを目的としている。現行事業では、PS/P0のリーダーシップにより、研究成果の企業導出といった明確な目標設定の下、目標に向けたマイルストーン管理や知財戦略への対応(「知財戦略課題」の設定)等の事業運営を通じて大きな成果を挙げてきた。

次期事業では、遺伝子治療、核酸医薬、ゲノム創薬、バイオ医薬品の高機能化など、モダリティや要素技術が多様化する中、我が国が、その変化に適切に対応しつつ国際的な競争力を確保するとともに、アカデミア創薬に関する技術的な基盤を更に強化する観点から、以下のとおり取り進めることとする。

【対象となる技術領域】

次期事業では、以下の技術領域を対象とする。

- 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術に関する研究
(例)・ 遺伝子治療用ベクターの開発・改良
・ 遺伝子・細胞治療の有効性や安全性の向上・CAR-T細胞等の新規治療用細胞の開発・改良 など
- ゲノム編集、遺伝子発現制御等の基盤技術に関する研究
(例)・ ゲノム編集技術の医療応用に向けた高度化
・ アンチセンス核酸等による遺伝子発現制御 など
- バイオ医薬品の高機能化等の基盤技術に関する研究
(例)・ 抗体の低分子化、特異性向上のための設計技術の開発
・ 隠れたエピトープ等の難易度の高い標的に対する抗体の取得技術の開発
・ タンパク質間相互作用の阻害や標的タンパク質の分解技術の開発 など
- 医薬周辺等の新たな基盤技術に関する研究
(例)・ バイオ医薬品の体内動態イメージング技術の開発
・ 薬剤標的と抗体の結合状態の解析や分子設計技術の開発
・ 多様な医療応用に根ざした送達技術の最適化と高機能化 など

【要素技術間の連携強化】

以上の基盤技術に関する研究開発に関し、将来的な創薬技術や医薬品としての実用化の可能性及び付加価値を高める観点から、最終的な医薬品等のイメージや、当該技術の次なる展開の方向性を見据えつつ、戦略的に各要素技術等を組み合わせ、それらの最適化を図っていくことも重要である。

このため、次期事業では、基盤技術に関する個々の研究課題に加え、各要素技術等を連携させ、最適化に取り組む研究を新たに推進する。

事業運営に関しては、マイルストーン管理や知財戦略への対応など、現行事業の優れた取組を継承する。その上で、医薬品開発等の全体を俯瞰しつつ、要素技術間の連携や最適化に向けた助言・支援を行う機能（技術集積課題（仮称））を新たに設けることで、ヘッドクォーター機能を更に強化し、アカデミア発の技術やシーズ等の企業導出の一層の促進につなげる。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

創薬標的分子の同定とその制御技術の進展により、抗体医薬に代表されるバイオ医薬品が世界最先端の医療の一つとなっている。その規模は2016年に世界市場で約2012億ドルに達し、開発品目も増加傾向にあり、更なる売上げの増加が予想されている。このような中、世界の医薬品売上げ上位100品目のうちバイオ医薬品は34品目であるが、日本発のバイオ医薬品は2品目に留まっているのが現状である^{*}。一方で、バイオ医薬品開発の標的

分子の8割以上は10年以上前に報告されたものであり※、革新的な新技術やシーズの創出による新たなブレークスルーが必要な状況となっている。

※日本製薬工業協会・医薬産業政策研究所・リサーチペーパー・シリーズ No. 71

「バイオ医薬品産業の課題と更なる発展に向けた提言」(2018年3月)より

これらのことから、先端医薬品開発における我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアにおいて、民間企業では取り組むことが困難な、不確実性というリスクにも向き合った研究開発を推進し、革新的な新技術やシーズを育成するとともに、企業における創薬につなげていくことが必要である。

また、「ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボード平成29年度報告」(平成30年4月内閣官房健康・医療戦略室)においては、遺伝子治療の研究開発に関し、新規のモダリティ開発の柱の一つとして、多様な医療応用に向けたゲノム編集技術の更なる高機能化や遺伝子治療用ベクターとその送達技術等の開発の支援の必要性が指摘された。

さらに、厚生労働省中央社会保険医療協議会においては、革新的な新薬の創出の加速のための新薬創出等加算制度の抜本的な見直しの議論の中で、産学連携の取組を新たな指標とすることが論点の一つとなっており、アカデミアの最先端の技術、シーズ等を取り入れた医薬品創出への期待も示されている。

評価項目

- 科学的・技術的意義(先導性、発展性等)
- 社会的・経済的意義(社会的価値(持続可能な社会の実現等))
- 国費を用いた研究開発としての意義(国や社会のニーズへの適合性等)

評価基準

- 我が国から創薬シーズや先端技術が継続して生み出されるよう、アカデミアでの創薬研究を振興し、革新的な医薬品の創出に資する独自技術を育成できたか。
- アカデミアのバイオ創薬や遺伝子治療等の基盤技術に関する要素技術の組合せ・最適化に取り組むことで、実用化の可能性等を高めつつ、国内外でのライセンス供与が見込まれる知的財産の形成につながったか。

(2) 有効性

現行事業では、PS/P0のリーダーシップの下、マイルストーン管理や知財戦略への対応等を行い、成果を挙げてきたが、次期事業でも、これらの優れた取組は継承することとしている。

多様な先端的技術シーズは、国内のアカデミアに多数存在するものの、医薬品開発やその先の治療を目的とした利用において十分に活用されているとは言い難い。次期事業では、現行事業で課題であった要素技術間の連携に向けた取組を強化することで、医薬品等としての実用化の可能性等を更に高めることとしており、企業導出の一層の促進に資することが期待される。

また、「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業」(BINDS)が提供する支援等を積極的に活用することで、バイオ創薬により見出された創薬標的について、低分子など別のモダリティを利用した医薬品開発等への展開の可能性も期待される。

さらに、アカデミア創薬に携わる人材や、挑戦的な研究テーマに意欲的に取り組む人材の育成等を通じて、アカデミアにおける創薬研究等の技術基盤の形成に資することも期待される。

評価項目：

- 優れた基盤技術の企業への導出
- 新しい知の創出への貢献
- 人材の育成

評価基準：

- アカデミアの強みであるサイエンスに立脚したバイオ創薬や遺伝子治療等に係る基盤技術、更には要素技術等の連携・最適化による技術パッケージ等を確立し、それらを企業に移転できたか。
- バイオ創薬や遺伝子治療等において、アカデミア発の画期的な技術を生み出し、育成する研究開発が行われたか。
- 特許出願と論文発表の両立に配慮しつつ、研究成果の価値を高めることができたか。

（3）効率性

現行事業では、マイルストーン管理や知財戦略への対応など、研究成果を効果的・効率的に企業導出するための事業運営の仕組みを確立した。特に、研究者が自ら知財戦略や開発戦略を策定したり、導出先の企業を探して交渉したりすることは困難な中、産学連携や導出のタイミングを見極めつつ、きめ細かな支援を行うことで、研究者が研究に専念する体制を確保することができた。また、一般的に、安全性評価については、アカデミアの創薬研究では十分な注力の対象となりにくい分野であるが、PS/P0 の指示の下、専門家と一体となったチームで取り組むことで、技術導出につなげてきた。

次期事業では、これらの取組に加え、要素技術間の連携強化を図り、実用化の可能性等を高めて企業導出につなげることとしている。また、研究課題を実施する中で技術的な支援が必要な場合、AMED 内の他事業、特に BINDS との連携を図り、関係する PS/P0 と研究の進捗状況や課題を共有する機会を随時設ける。これにより、BINDS が提供する支援機能とのマッチングが円滑に図られると期待される。

評価項目：

- 計画・実施体制の妥当性
- 目標・達成管理の向上方策の妥当性

評価基準：

- ヘッドクォーター機能を通じて、成果の企業導出を目指した課題管理、知財戦略等により、研究者が研究に専念できる体制が構築されたか。
- 幅広い専門分野の研究者を集め、創薬研究を効率的に推進する体制を作ることにより、実用化の可能性等が高まったか。
- マイルストーン管理など適切な事業運営により、各研究課題における目標が達成できたか。

5. 総合評価

【実施の可否】

以上の点を考慮すると、本事業は積極的に推進すべき課題と判断する。

【中間評価・事後評価の実施時期】

平成 33 年度 中間評価、平成 35 年度 事後評価

【留意事項】

- AMED の医薬品開発プロジェクト全体の成果創出への貢献の観点から、PS/P0、研究課題実施者、事務局の各関係者が連携を更に意識することが重要である。
- 産学連携や課題間連携については、オープンイノベーションなど産学連携等の促進に係る既存事業との連携を含め、効率的な実施に留意すべきである。