

日本オリジンの革新的新薬の創出と実用化の推進

国立大学法人山梨大学・副学長
AMED 医薬品プロジェクト PD

岩崎 甫

1, アカデミア創薬の加速・推進

最近の革新的な医薬品・医療技術の多くは、大学や研究所などのアカデミアにおける研究を起源としており、これは世界的な潮流。日本には世界に誇る優れた基礎研究が多く、これを適正に育てて、その成果を日本および世界の患者さんに届けることを推進する環境を整備する必要性が高い。

具体的な施策

1, 戦略的なテーマの設定と、その視点に立脚した課題の選択と支援

cf; NCI/RAS project

2, プロジェクト完遂に必要な期間への支援と適正な進捗管理

- ・ 複数年の一括支援、No-Go条件の設定

3, 橋渡し研究を支援する拠点の強化

- ・ 認定制度による橋渡し研究支援機関の整備（参考資料 1）

4, AMED創薬支援プログラムの一層の活用

- ・ 創薬基盤技術の高度化、創薬支援推進事業など（参考資料 2）

2, 実用化の推進・加速

アカデミアシーズの医薬品の医療現場への提供には薬事承認は必須であり、安定した製品供給のためには、製薬企業との連携・導出が必要で、この両者の良好な関係構築を築くことが重要。また、新規性の強いシーズにはバイオベンチャーの役割が高く、事業化を進める総合的な支援のシステムの充実も課題。

具体的な施策

1, アカデミア研究者に対する実用化を視野においた教育・意識改革

- ・ TPPの設定による最短の研究開発ルート of 明確化、PMによる運営

2, アカデミア研究と製薬企業の対話の機会の増進

- ・ AMED-Fluxの活用 (参考資料 3)

3, バイオ・ベンチャーの育成と事業化の強化支援

cf: JST/START事業に見られるプロモーターによる伴走支援

4, 企業のチャレンジを支援する取り組みの強化

- ・ AMED/CiCLE, ViCLE事業の充実・拡大 (参考資料 4)
- ・ 新たな日本版SBIR制度の医療研究開発分野への活用 (参考資料 5)

3, 臨床開発力の強化

最近の新型コロナのワクチン開発では、アメリカ、英国などにおいて検証に必要な大規模臨床試験が短期間で完了して薬事承認に結び付け、日本の臨床開発力との間に大きな差があることが改めて認識された。新規な医薬品は基礎研究を経て、数々の臨床試験（治験）の実施が必要で、これには多くの患者さんやボランティアの協力が必要不可欠で、新薬開発に対する多くの国民の方々の適正な意識の向上と協力体制を構築する施策が必要。

具体的な施策

1, 患者さん中心の医療の推進—新薬誕生の担い手としての患者さんの役割の明確化と治験への積極的参加

- ・ PPI（患者・市民参画）への理解・普及、社会への実装（参考資料7）

2, 医薬品研究開発に関する医学教育の充実

- ・ 高校・大学における教育科目への組み入れ

3, 臨床研究中核病院の機能強化による医師主導治験の一層の推進

- ・ 実効性の高い臨床試験ネットワークの形成
- ・ 疾患レジストリーの整備、RWDの活用

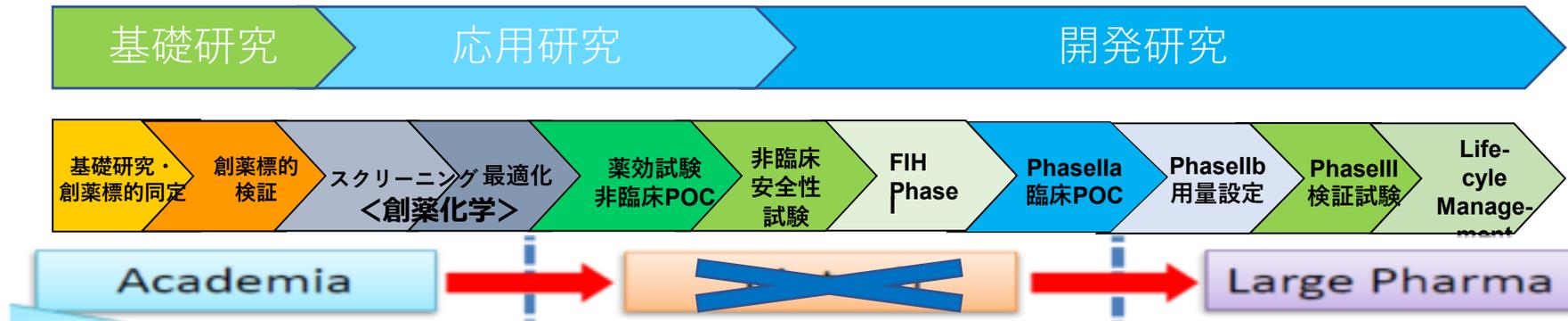
4, 日本が主導する国際共同試験の環境整備

- ・ アジア諸国との連携の強化、共同試験の経験値の向上

* PPI : Patient & Public Involvement * RWD : Real World Data

參考資料

日本におけるアカデミア創薬の特徴と課題



1、治療対象が希少疾患や重症例となる例が多い

- ビジネスとしての採算がとりにくい例が多い
- 治験における被験者の確保が容易ではない
- 治療対象者が限られていても製造販売後調査が求められ、開発企業にとっての負担となっている

2、医薬品に留まらず新規な医療技術の開発など様々な技術の応用が見られる

- 製薬企業としても経験が多くない
- 既存の設備では対応が難しく、新たな多額な投資が求められる

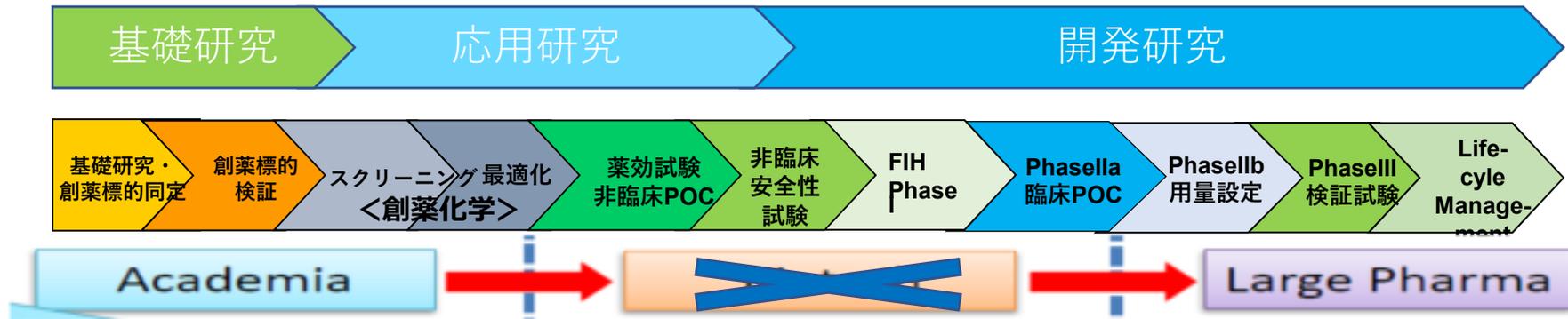
3、十分な公的資金の準備がなされていない

- USと比して1/20の規模
- 課題の採択率は2割前後
- 採択されても要求額よりも減額されて支給される
- 複数年度の支援が必ずしも保証されていない

4、民間資金の活用がなかなか進まない

- 資金は多くある筈なのに、投資の経験値が高くなく、実例が蓄積されない
- 関係する担当者、部署が多いために決定に時間がかかる
- エコシステムが未成熟で、人材も限られており、アカデミアと大手製薬企業を結ぶバイオテックが育ちにくい

日本におけるアカデミア創薬の課題に対する方策



1、治療対象が希少疾患や重症例となる例が多い

- ビジネスとしての採算がとりにくい例が多い → **希少疾患は戦略的に重要との理解**
- 治験における被験者の確保が容易ではない → **疾患レジストリー、CINの活用**
- 製造販売後調査が開発企業にとっての負担 → **レジストリーの活用、電子的システムの活用**

2、医薬品に留まらず新規な医療技術の開発など様々な技術の応用が見られる

- 製薬企業としても経験が多くない → **アカデミアとの協働体制の構築の好適な例**
- 既存の設備では対応が難しく、新たな多額な投資が求められる → **支援システム (CiCLEなど) の活用**

3、十分な公的資金の準備がなされていない → 国の戦略的な取り組みが必要

- USと比して1/20の規模
- 課題の採択率は2割前後
- 採択されても要求額よりも減額されて支給される
- 複数年度の支援が必ずしも保証されていない

4、民間資金の活用がなかなか進まない → 成功事例による牽引

- 資金は多くある筈なのに、投資の経験値が高くなく、実例が蓄積されない
- 関係する担当者、部署が多いために決定に時間がかかる
- エコシステムが未成熟で、人材も限られており、アカデミアと大手製薬企業を結ぶバイオテックが育ちにくい

橋渡し研究支援機関認定制度（概要）

概要

大学等が有する橋渡し研究支援機能のうち、一定の要件を満たす機能を有する機関を「**橋渡し研究支援機関**」として**文部科学大臣が認定**し、大学等の優れた基礎研究の成果を革新的な医薬品・医療機器等として国民に提供することを目指す。

認定制度のポイント

1. 橋渡し研究支援機能を3つに分類 <イメージ図>

- ① 拠点内で備えるべき機能
- ② 他組織や他機関との連携により備えればよい機能
- ③ 機関の特色として評価される機能



認定要件において必ず満たさなければならない橋渡し研究支援機能

2. 認定要件

- A) 橋渡し研究支援を実施する拠点を設置していること
- B) 橋渡し研究支援に必要な組織体制を整備し人員を確保していること
- C) 橋渡し研究支援を実施している実績があること
- D) 橋渡し研究に必要な人材を育成していること

3. 橋渡し研究プログラムへの参画

令和4年度より本格実施するAMEDによる**橋渡し研究プログラム**は、認定機関を対象に実施予定。

医薬品プロジェクトの概要

プロジェクトの概要

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、大学や産業界と連携し、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、品質・有効性・安全性評価法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発や規制科学を推進してアカデミア等から生み出される革新的なシーズの活用を図り、さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

具体的な研究開発内容

● 創薬基盤技術の高度化

産学官共同創薬研究プロジェクトなど創薬の基盤技術に係る研究により、革新的な医薬品の創出や実用性の高い医薬品関連技術の確立を目指す。



● アカデミア創薬の支援

ライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなげることを目的とし、放射光施設やクライオ電子顕微鏡などの大型施設・設備を整備維持、積極的共用を行う。また、創薬支援ネットワーク構成機関が保有する創薬技術や設備等を活用し、HTS、構造最適化、非臨床試験等を切れ目なく支援する。



● 疾患横断的な創薬研究の推進

がん、腎疾患、免疫アレルギー疾患、成育疾患、難病、新興・感染症、肝炎等の疾患の観点から、創薬標的の探索から臨床研究に至る、医薬品開発を推進する。



● 日本の臨床研究や治験の更なる活性化

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認に結び、革新的な医薬品・医療機器を創出すること等を目指して、基礎研究の成果を治験等に適切に橋渡しするための非臨床試験や、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究等を推進する。

アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)

令和3年4月9日公表

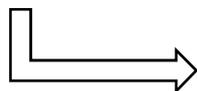
～AMED支援課題の早期実用化に向けた創薬プロセスの適正化と加速を目指して～

Frank Conference between Academia and Industry for Leading united Translational Research on Academia

<取組のポイント>

- アカデミアと企業のシーズに関する捉え方に未だギャップが存在
- アカデミア創薬に産業界の意見を取り込み実用化への道のりをより明確化

AMED・医薬品PJ支援課題
開発早期の具体的なシーズ



AMED-FLuX

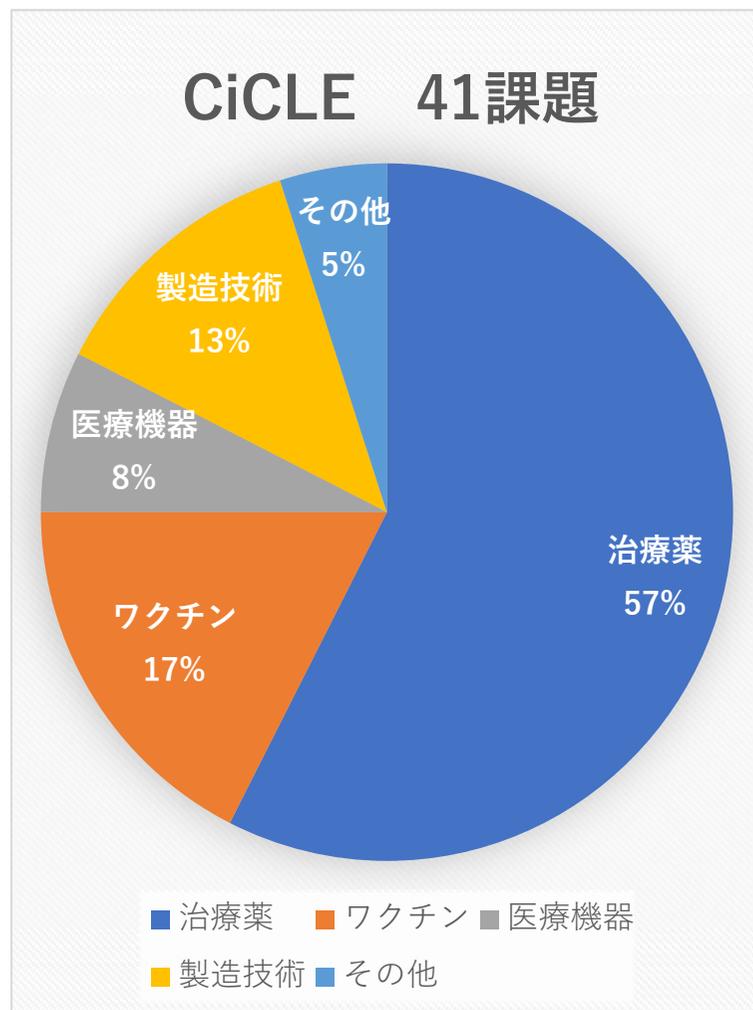
- アカデミア研究者と企業有識者が自由にディスカッションできる場
- 有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割
- 意見交換の内容：
 - ・ 医療ニーズと目指す製品のコンセプトを踏まえ、実用化の観点から有望なシーズと判断するために求められることはどのようなものか
 - ・ 次に実施すべき研究開発項目は何か
 - ・ 基礎とする研究開発技術に係る他疾患領域への応用可能性
- 成果の活用：
 - ・ アカデミア研究者及びAMEDは、個別シーズ開発の推進に活用
 - ・ 総論として実用化に向けた課題が抽出された場合、PSPO等と共有し、医薬品PJ全体の課題管理・運営にも活用

アカデミアの
研究成果を
最短経路で
患者さんの元へ

企業有識者*：16社より26名（2021年5月時点）

*創薬研究プロセスの豊富な経験と幅広い多様な専門性を有し、日本の創薬イノベーション全体を盛り上げ貢献するボランティア精神溢れる企業有識者

CiCLE (医療研究開発革新基盤創成事業)



- ・次世代型の医療イノベーション基盤の構築
(医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術など)
- ・支援する対象
 - ・r TR基盤の形成・強化
 - ・オープンイノベーション基盤の形成
 - ・医療分野の実用化開発
 - ・ViCLE (H30年度より追加)
スタートアップ型のベンチャー企業対象
- ・メリット
 - ・研究開発、治験、環境整備など
 - ・複数年度契約 (長期、大型予算)
 - ・AMEDが研究開発リスクを分担
 - ・無利子、最長15年の返済期間
- ・公募タイプ
 - ・イノベーション創出環境整備タイプ
 - ・研究開発タイプ
 - ・実用化開発タイプ

新たな日本版SBIR制度

- SBIR制度の実効性を向上させるため、内閣府を司令塔とした省庁横断の取組（支出目標や統一ルールの方針策定等）を強化するための見直しを実施（2020年6月法律改正、2021年4月1日施行）

新制度の概要

1. 制度目的・実施体制の見直し

○科技イノベ活性化法へ根拠規定を移管。制度目的をイノベーション創出とし、内閣府を司令塔とした省庁横断の取組を強化

2. スタートアップ等への予算の支出機会の増大（支出目標の方針策定と実施）

○支出の目標に関する方針の作成

- ・ スタートアップ等への支出機会の増大を図るため、研究開発の特性等を踏まえつつ、各省の特定の研究開発予算（特定新技術補助金等）の一定割合がスタートアップ等へ支出されるよう、支出目標を設定

3. 各省統一的な運用と社会実装の促進

○公募・執行に関する統一的なルール

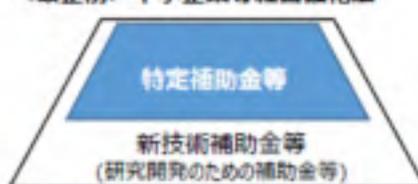
- ・ 各省の指定の補助金等（指定補助金等）の統一的なルールとして、
 - ①政策ニーズに基づく研究開発課題の提示、
 - ②段階的に選抜しながらの連続的支援、
 - ③プログラムマネージャーによる運営管理、調達・民生利用への繋ぎ等の支援、
 - ④スタートアップ等に適した運用、審査基準、体制の標準化などを検討。

○研究開発成果の社会実装のため、随意契約制度の活用など事業活動支援等を実施

※ この他、法律外で政府調達での入札資格の特例や、SBIR特設サイトでの採択企業紹介等



<改正前> 中小企業等経営強化法

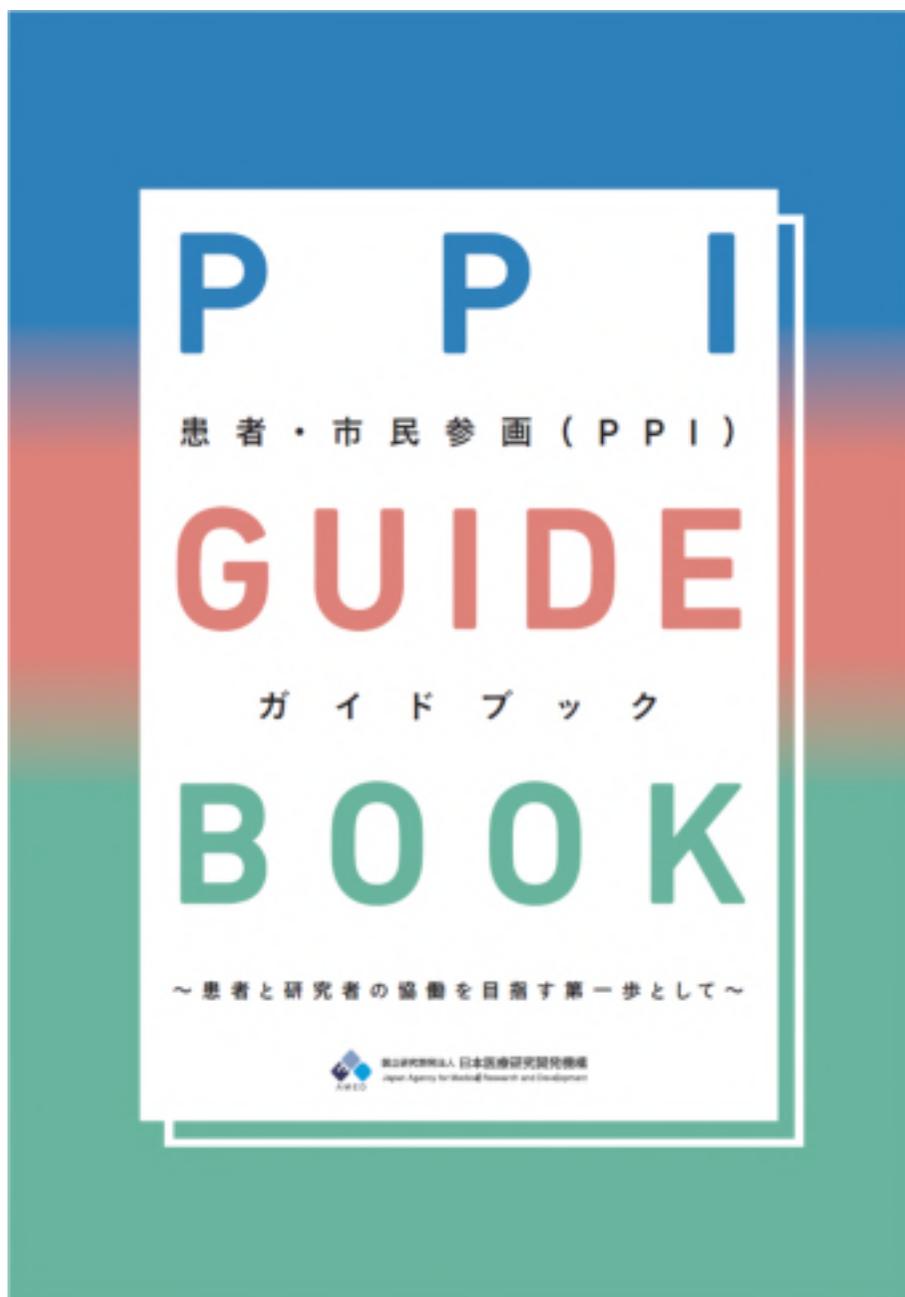


<改正後> 科技イノベ活性化法



➡ 本制度の実効性を高め、スタートアップ等によるイノベーション創出を促進

(参考資料 7)



患者・市民参画は海外でも広がっている³⁾



※これは英国の例です。カナダや米国では、参画 (involvement) もエンゲージメント (engagement) の一部として使われています。
出典：<http://www.guyssondstthomasbrc.nihr.ac.uk/researchers/patient-public-involvement-advice/ppi-toolkit/what-is-patient-and-public-involvement/>