

令和6年度 革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品創出のための官民対話（令和6年11月21日）

資料5

国立がん研究センターにおける 医療シーズ開発基盤の整備強化

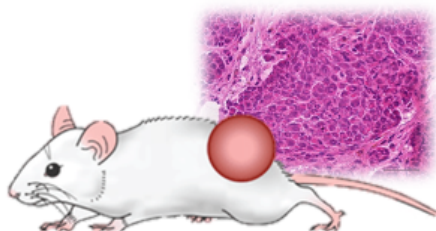
国立がん研究センター理事長
中釜 斉

概要

1. 患者腫瘍組織移植マウス（patient-derived xenograft:PDX）
で可能になった次世代創薬プラットフォーム
2. 大規模医療データ基盤構築による創薬研究と患者還元の加速
3. 創薬エコモデルの実現に向けての取組
4. 創薬エコモデルの実現に向けてのNCC先行取組事例（実例）
5. 日本でがん領域のバイオ再生医療の早期開発拠点エリアの立ち上げ

患者腫瘍組織移植マウス (patient-derived xenograft: PDX)で可能になった次世代創薬プラットフォーム

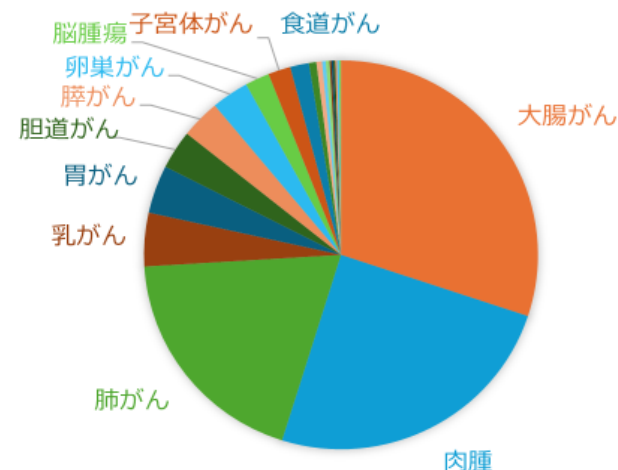
PDXを用いた薬効評価は臨床との一致率が**50-80%**と極めて高い



国立がん研究センターで樹立した
世界最大級のPDXライブラリー

J-PDXライブラリー

651種類 (2024年7月)



PDXを用いることで短期間でバイオマーカーを同定しヒトに応用

(エーザイ株式会社との共同研究)

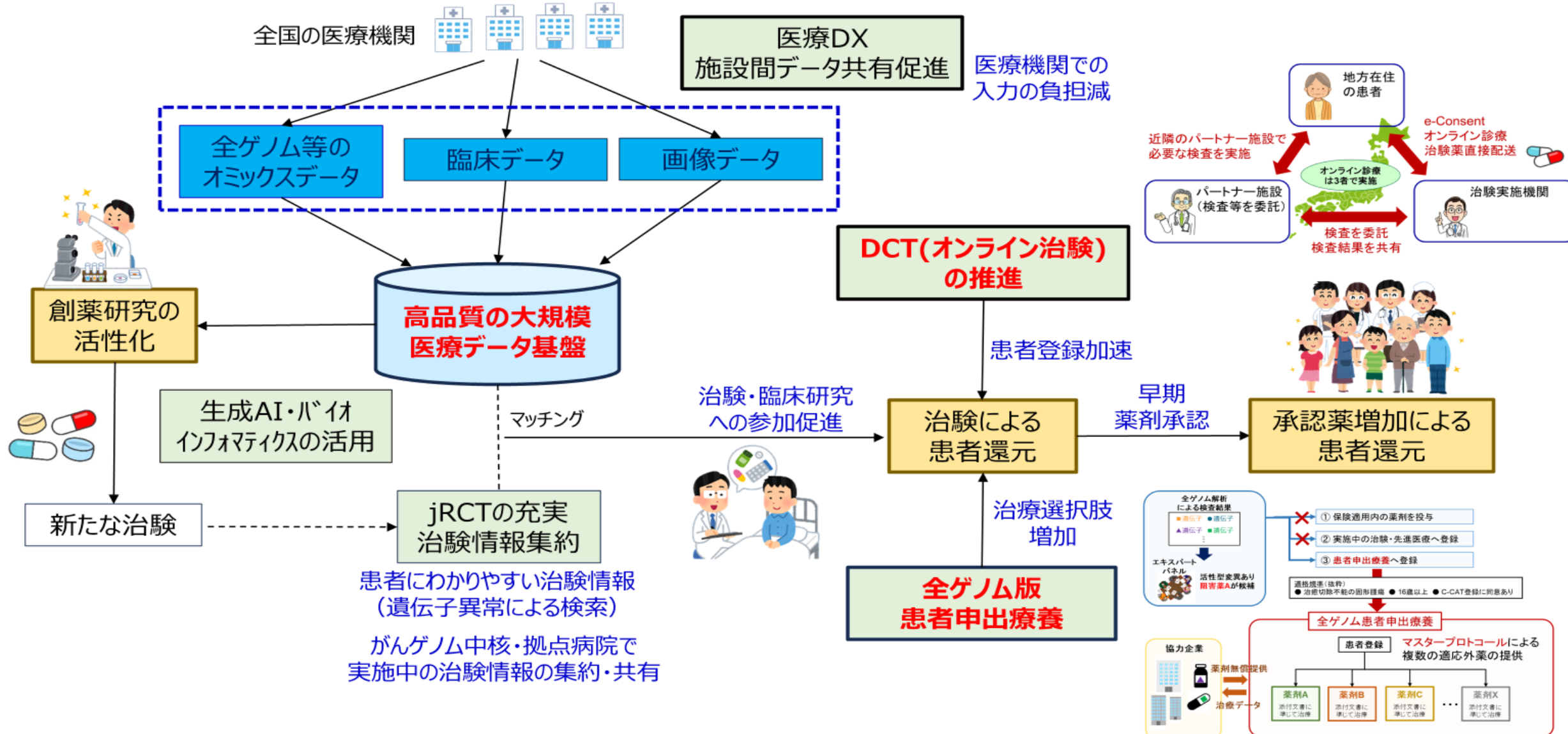


胆道がん・子宮体がんで有効

有効なPDXの解析でBRCA1/2変異
が有効性予測バイオマーカー

第I相治験(NCCH2303)
が開始された

大規模医療データ基盤構築による創薬研究と患者還元の加速



ラグ・ロスの解消

アクセスの確保

希少がん・小児がん・血液腫瘍

- ・海外承認薬の輸入代行 + **アクセス体制整備**
 - 特区の利用
- ・公知申請のためのレジストリ
 - CROとの連携
- ・がん患者団体への情報共有体制
 - 柏の葉データプラットフォームでの実証実験
- ・自己完結型ベンチャーや企業への支援

創薬力の強化と加速

発見からシーズ

シーズから実装

- 海外ファルマの呼び込み
- ・治験実施体制強化
 - **Labo GMPでの安全性臨床試験体制**
 - 健常人に対する治験実施体制
 - P I a/b試験の試験への対応
 - アカデミアシーズの臨床試験体制
 - 海外EBシーズの医師主導治験
 - Pivotal試験強化
 - 治験支援体制の支援（資金）

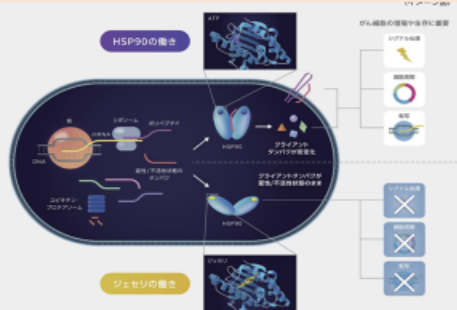
産業基盤構築

グローバルに通じる開発

- スタートアップ ベンチャーシーズ**
 - 伴走支援体制（CPOT, SU支援, 再生医療支援, 医療機器）
- 海外VC・企業との連携（投資）
 - TMC, 台湾DCB, TFBS, etc
- 国内企業（柏参入）との連携
 - 帝人, アステラス, HU-MIRAKA, SMC
- 海外EBの呼び込み **IQVIA, A2ヘルスケア**

創薬エコモデルの実現に向けてのNCC先行取組事例（実例）

日本が世界のドラッグラグをなくす
GISTは希少がんでありながら世界初めてのHSP90阻害剤（ジェセリ）を日本単独P3で承認のため日本以外の患者で使用できない

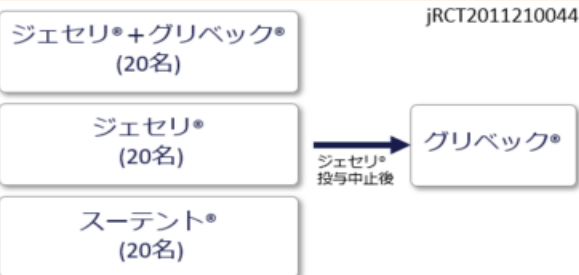


GIST成立に重要な変異KIT分子などを作らせない作用

○2次変異のおこる薬剤抵抗メカニズムも阻止することで有効

世界初のHSP90阻害剤（大鵬）

世界に希少がんのエビデンスを作る

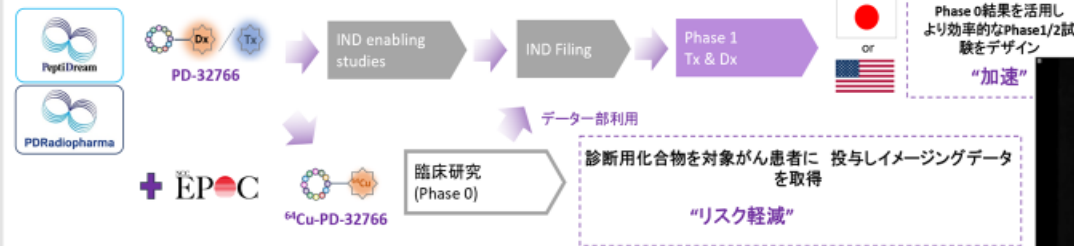


国際共同試験でGISTの標準治療であるグリベック併用で相乗効果を期待

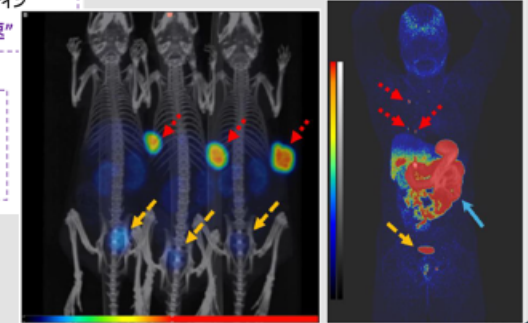


特定臨床研究を用いてラボGMP製剤*での特定臨床研究を実施

基礎実験で導出されたRI薬剤候補薬の臨床研究への迅速な展開



*日本の承認申請治験・市販後規格として使用不可



ヒトと動物での薬剤分布の差が医薬品で大きな副作用の差になる
ヒトでの効果や副作用を早期に予測するセラノスティクス（動物実験では予測不能）

卓越したアカデミアシーズ・海外シーズをグローバルへ展開

日本初のベンチャー・スタートアップシーズの世界へ進出+海外研究者シーズを日本で治験実施



海外資本でベンチャーシーズ海外進出を支援
EBによる日本進出・治験実施



日本で創製された再生医療等製品※1のうち、海外で承認された製品はない
欧米で開発中の再生医療等製品のうち、日本で開発中の製品は少ない
(ドラッグラグ・ロス)

CDMO

欧米で第3相臨床試験実施中の再生医療等製品の国内開発数※2

	欧米	日本
開発数	135	20

柏の葉再生医療プラットフォームの目的

- ① 国内シーズの開発加速支援
- ② 開発した国内シーズの海外進出の支援
- ③ 海外製品の国内製造・開発の支援

2つの臨床研究中核病院
+PI治験のエキスパートが支援

海外規制の査察経験や国際規格の治験データ

最新製造技術提携および米国開発展開の支援

RESILIENCE

- グローバルスタンダードの最新製造技術提携
- 北米製造・顧客紹介提携

現在拡張中

RESILIENCE (US)

Hilman Laboratories (シンガポール)

Strategic Alliance

MediRidge

TFBS(台湾)/メディリッジ

アジア起点のイノベーション加速を目的とし、CDMO間で提携

Hilleman Laboratories

MSD・Wellcome Trust Joint Venture

再生医療プラットフォーム

国立がん研究センター
National Cancer Center Japan

三井不動産
MITSUI FUDOSAN

国内早期シーズの開発支援
ターゲット疾患、対象患者の選定
臨床試験・研究の実施

柏の葉再生医療プラットフォーム

プラスミドおよびウイルスベクター製造

MediRidge

TFBS

再生医療CDMO/再生医療関連のコンサルティング
プラスミドCDMO/カルタヘナ・薬事・製造関連のコンサルティング
ウイルスベクターCDMO/ベクター製造関連のコンサルティング

TEIJIN

■ プラスミドおよびウイルスベクター製造
■ アジアへの開発展開
■ カルタヘナ法等、日本特有の規制対応支援

アステラス
(TME iLab)

アルカリス
(mRNA)

新世代感染症センター
(東大)

参考資料

課題① 国内SUエコシステム



○医療系SU設立が困難

- ・サイエンスバックグラウンドを持つCXO人材が不足
→スターサイエンティスト自ら起業→研究に集中出来ない
- ・VC側にサイエンス面でのリテラシーが不足
→（カンパニークリエーション等も含めて）経営面の支援に偏重

○SU設立後の育成にも課題

- ・SUが利用可能な、サポートインダストリーのクラスター・
コーディネート機能が不足し、素早く・適切な費用での開発が難しい
- ・VCのみでは、適切な薬事・開発戦略等の支援が難しい
→遅い・高い・不味い（不効率な）開発

課題② 海外展開・資金調達



○SUの資金調達は米国中心にシフト

- ・国内グロース市場の低迷（”100（億）均”問題）、国内市場の相対的縮小
- ・VCからの資金調達額はシリーズA（初回）でも10倍以上の格差
→国内での資金調達・IPOを目指す戦略はほぼ不可能になりつつある

○しかし、、日本のSUが米国VCから資金調達するには障壁が存在

- ・米国VCは基本的に米国籍（かつ米国人CXOの）SUにしか投資しない
- ・Bostonなどは既に日本のSUが入り込む余地が無い
- ・既存の海外展開プログラムは、現地での会社設立・CXO雇用まではサポートできていない
→米国に実際に進出して資金調達できたSU数はかなり限定的である

NCCの取組み①：SUエコシステムの強化：NCC Seed Acceleration Program(NCC SAP) （AMED）大学発医療系スタートアップ支援プログラム



NCCの研究開発能力を活用、VC等協力機関との連携体制構築

- ・日本型カンパニークリエーションモデルの構築
- ・世界トップレベルのKey Opinion Leader（KOL）による開発戦略支援
- ・サイエンスバックグラウンドを持つ若手研究者をCXO候補として育成

海外のアクセラレーターとの連携による海外展開支援

- ・現地アクセラレーターによる会社設立・人材獲得・資金調達の支援

NCCの取組み②：サポートインダストリーのクラスター構築；柏の葉再生医療プラットフォーム等

- ・柏の葉地区にCDMO（帝人/J-TET）、製薬企業のオープンラボ（アステラス TME iLab(柏の葉)）などが集積し、海外CDMOとの連携体制も構築

NCCの取組み③：（SUの元となる）シーズ育成、研究開発機能の提供：NCC各部局による外部シーズ育成機能強化

- ・橋渡し研究推進センター（CPOT）による「橋渡し研究プログラム」（AMED文科省）の提供、基盤的臨床開発研究コアセンター（FIOC）、先端医療開発センター（EPOC）による非臨床段階での技術支援の外部提供
- ・臨床研究中核病院である中央病院・東病院による、早期臨床導入の支援体制（企業治験・ARO/医師主導治験）の構築

解決すべき課題

米国市場への展開が重要

- ## 内視鏡診断支援



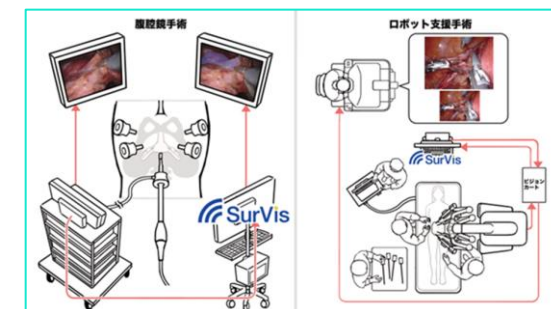
PC-CT



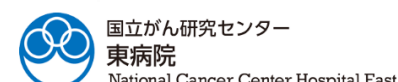
エコシステム構築



内視鏡手術支援プログラム SurVis-Hys(Jmees)



- 開発支援/伴走支援体制（外部連携部分）



大型・ハイクラス

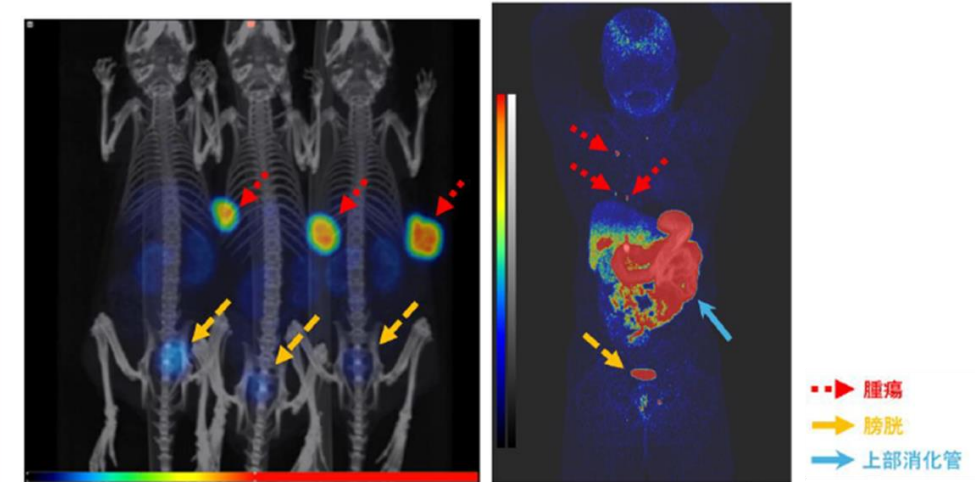
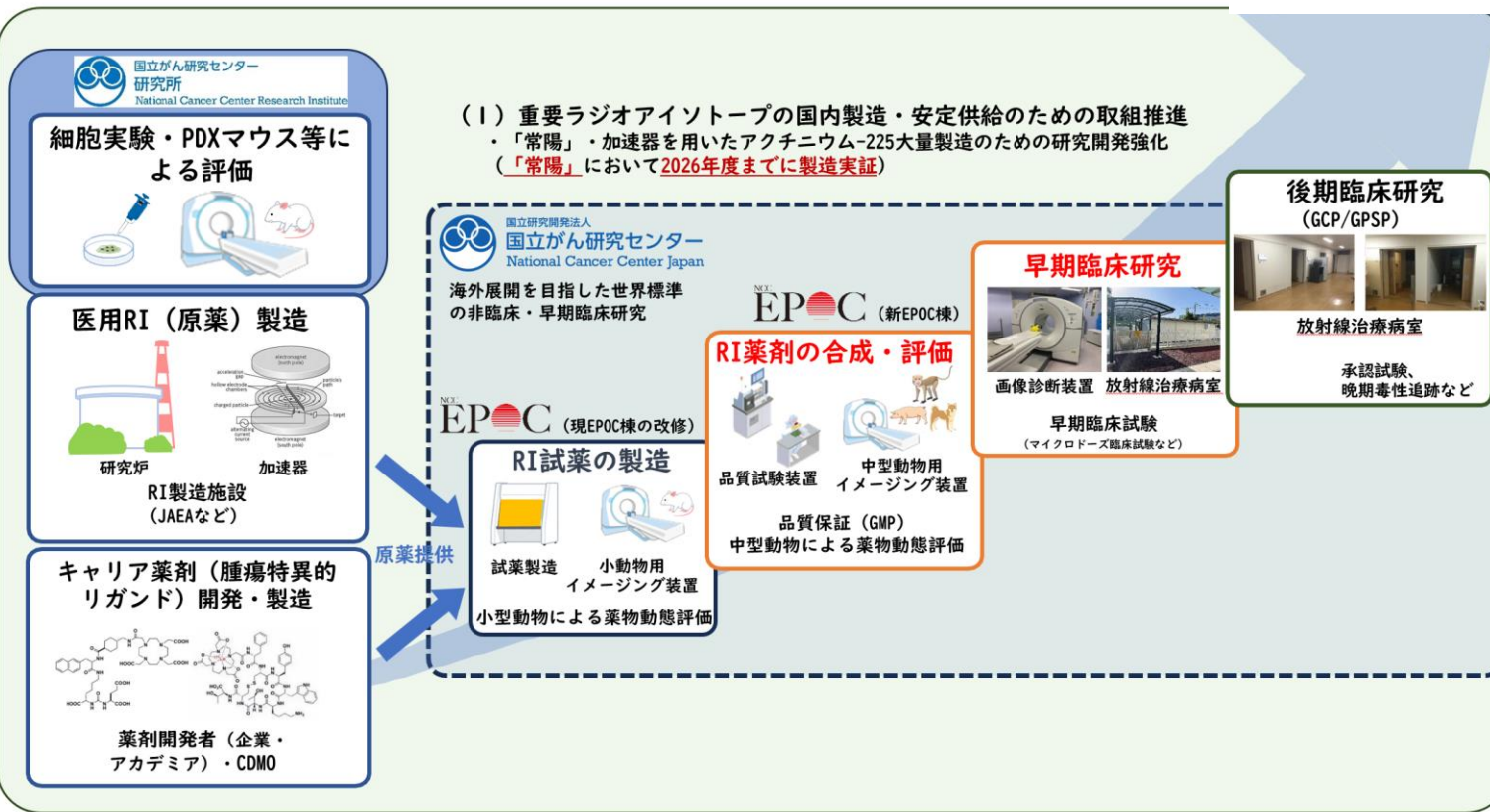
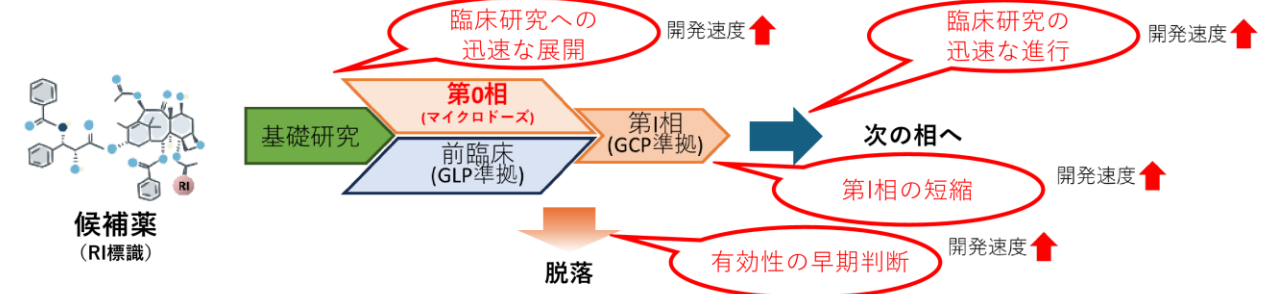
優れた医療機器の創出に係る産業振興拠点強化事業（AMED）

診断・プログラム・AI

新規薬剤などの実施可能な簡易RI病棟を設置（東病院）



特定臨床研究による新規RI薬剤のfirst in human試験実施 日本の薬機法と海外規制とのギャップを埋めることが可能に



腫瘍に集積するRI標識薬剤のPETイメージング

セラノスティクスの大事なステップ

DDSでは臓器分布、時間変化が種差のため動物モデルから予測できない。早期の段階からマイクロドーズ+診断薬開発の確立が必要（本剤標的は、腎臓周囲へ発現といわれているが、消化管へ集積がヒトでは認められている）