資料１－１

独立行政法人医薬基盤研究所について

独立行政法人医薬基盤研究所の概要

1．沿　革

　附属研究機関の再編強化を行うこととし、少子高齢化の中で新たに求められる画期的な創薬の開発に資する研究所を、国立医薬品食品衛生研究所大阪支所を母体とし、国立医薬品食品衛生研究所薬用植物栽培試験場及び国立感染症研究所筑波医学実験用霊長類センターを統合してできたものである。

　そして、効率的な運営を行う為、組織形態として、独立行政法人の形態をとったこの研究所が、独立行政法人医薬基盤研究所法（平成16年第159回通常国会）をもって設立されることが決まり、平成17年4月1日に正式に発足するに至った。

2．所在地　大阪府茨木市彩都あさぎ7丁目6番8号

3．人　員　　86名（平成22年4月1日現在）

　　〇役　　員　　4名（理事長（常勤）、理事、監事2（非常勤））

　　〇常勤職員　82名（事務職　28名　研究職　47名　技術専門職　7名）

4．予　算　　10，317百万円

5．業　務

- 〇　医薬品及び医療機器等並びに薬用植物その他の生物資源の開発に資することとなる共通的な研究を行い、その成果を普及すること。
- 〇　基礎的研究を他に委託して行い、その成果を普及すること。
- 〇　試験研究を政府等以外の者に委託して行い、その成果を普及すること。
- 〇　政府等以外の者に対し、試験研究を国の試験研究機関又は試験研究に関する業務を行う独立行政法人と共同して行うことについてのあっせんすること。
- 〇　海外から研究者を招へいすること。
- 〇　医薬品技術及び医療機器等技術に関する情報を収集し、整理し、提供及び調査すること。

医薬基盤研究所と新薬開発について

新薬開発の背景

○新薬を開発できるのは**先進国のみ**（日米英仏独等）
→ ○日本が世界をリードする源
○先進国としての世界への責任

○新薬開発は、**最先端技術と知識**の結晶。
→ ○日本の国力の源
○**高度に専門的な公的な支援**が求められる

○開発には長期間（20年くらい）と巨額の研究費を要し、成功率も極めて低い。（**成功率0.005%**）
→ ○公的な支援が不可欠。しかも、**公的支援が有効に作用**しやすい。

新薬開発に対する国民のニーズ

○ **難病等の患者**からは新薬開発への**切実な要望**
→ **創薬に特化した公的な研究所**の必要性

○**副作用の予防と安全性の確保**
→ ○**「規制と振興の分離」**の考えの下、創薬の「振興」に特化した研究所が不可欠。

新薬研究と企業、大学

○企業は**他社と競争関係**。
→ ○**公的な機関が間に入って企業間の連携**を深める必要性。（「橋渡し」）

○企業は、必要性があっても他製品にも共通の**基盤となる技術開発**には**投資する余裕がない**。
→ ○**基盤的な研究**を進める必要性

○**大学**は、学術的業績につながりにくい**創薬に向けた応用研究には取り組まない**。
→ ○**基盤的な研究を公的に進める**必要性
○研究機関としてのノウハウを活かした**研究振興事業により、大学等の研究者を応用研究へと誘導**。

（独）医薬基盤研究所（平成17年～）が果たしている役割

医薬基盤研究所の役割

＜企業における新薬開発の背景＞

○**先進国**でしかできない新薬開発。
○最先端の知識と技術の結晶。**約20年間の研究期間**を要し、**成功率は、0.005%**。

→ **公的支援**が不可欠、かつ有効に働く分野。

基礎研究 → 創薬研究 ※ → 非臨床試験【動物】 → 臨床試験（治験）【ヒト】 → 申請 → 審査 → 承認 → 市販

大学

研究技術、**生物資源**、**研究資金**の提供による創薬支援,橋渡し

製薬企業

医薬基盤研究所

基盤的技術研究

○民間ではできない、医薬品開発に役立つ基盤的研究

生物資源研究

○研究に必要な生物資源の研究開発と供給。

研究開発振興

○研究資金の提供と、研究のフォロー。

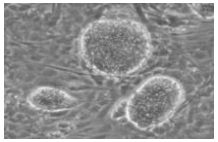
○独法の特色を活かした産学官連携

○国の政策課題に応えるため、①難病対策、②迅速な新薬開発、③次世代ワクチン開発に研究分野を特化

基盤的技術研究

○　画期的な医薬品等の開発支援を行うことにより、難病対策、迅速な新薬開発、新興・再興感染症対策等の国の政策課題の解決を図るため、自ら研究を推進する。

①難病対策　　／難病等の治療薬開発の基礎となる研究
②迅速な新薬開発　　／医薬品等の毒性の事前予測に関する研究
③新興・再興感染症対策等　／次世代ワクチン開発の基盤研究



ヒトiPS細胞

主な成果の例

① 難病（自己免疫疾患）治療薬になる物質（タンパク質）の操作技術の確立
② 医薬品の毒性を事前に予測できるデータベースの構築 （世界最大規模・高品質）
③ 複数ウイルスに効果を持つ多価ワクチン開発技術の確立 （ワクチンの効果増強や毒性軽減の技術）

（背景）
・大学は基礎研究中心、企業は採算性中心。他製品にも汎用性のある技術開発は進みにくい。
・製品化に必要な「橋渡し」の分野の技術が必要

疾患の関連たんぱく質（354種類）の発見。診断薬や治療薬への活用が期待できる物質の精製に関する基盤的な技術の開発
（例：病気の原因となるたんぱく質をコントロールする物質の作成技術など）

医薬品の毒性を予測できるデータベース（8億件）の開発

ヒトiPS細胞を臓器細胞に高効率に作製する技術の開発
（例：肝臓細胞を高効率に作製する技術を開発。より精度の高い実験が可能に）

・複数ウイルスに同時に効果のある「次世代ワクチン」の基盤となる技術の開発
（例：ワクチン効果増強や毒性軽減の技術）
・鼻等からのワクチン接種を可能にする技術の開発

一企業のメリットに留まらない創薬の共通基盤として成果還元

→ 難病治療薬の開発
→ 開発期間の大幅な短縮
→ 医薬品の安全性の向上

生物資源研究

○ 難病対策、迅速な新薬開発、新興・再興感染症対策等の国の政策課題の解決を図るため、ヒト疾患に関係する以下の生物資源の開発、収集、保存、提供等を行う。

難病等研究資源バンク

難病治療等の政策課題解決に向けて、難病等の試料（実験等に利用する試験材料）を中心に収集、研究資源化し、難病等の研究者に分譲等を行う。

⇒ これにより、国内の難病治療研究が進む。

薬用植物資源研究センター

漢方に用いる薬用植物の保存や生薬の作成、バイオテクノロジー等を活用した新品種の開発を行う。

⇒ 我が国の漢方研究に役立つ。

霊長類医科学研究センター

世界一の高品質なカニクイザルや自然疾患モデルのサルの飼育・繁殖を行う。

⇒ 新たな感染症ワクチンの開発や、創薬研究につながる。

研究開発振興事業

○ 他の研究機関に対して研究資金を提供することによる研究振興。
○ 単に研究資金を提供するのみではなく、その後も、自らの研究実績も踏まえて、専門家により、研究の改善等について、きめ細かく助言等の支援を実施。

基礎研究推進事業

◆ 画期的な医薬品や医療機器の開発につながる可能性の高い基礎的な研究に対して研究費を交付し、その成果を広く普及

実用化研究支援事業

◆ 画期的な医薬品・医療機器の開発を目指すベンチャー企業による実用化段階における研究を支援。　※ Ｈ２１より新規分は休止

希少疾病用医薬品等開発振興事業

◆ 厚生労働大臣に指定された希少疾病用医薬品や医療機器（オーファンドラッグやオーファンデバイス）の研究開発を促進するため、助成金交付、指導・助言、及び認定事業を実施

承継事業（出融資事業）

○ 医薬品開発を行う法人に、過去に出資・融資したものの回収や指導・助言

- 旧医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構（旧機構）より引き継いだ事業
- 新規の出資・融資は行っておらず、旧機構が過去に行った分（S62～H15年度）の回収や収益に向けた指導のみ実施

医薬基盤研究所の功績の例

○平成20年度の研究者1人当たりの競争的資金の獲得は日本一　（全独法中　第1位）（1580万円／人）

○先端医療開発特区（スーパー特区）に2課題が採択される（全24課題）（東大、京大に次いで第3位）

○世界最大規模の毒性評価を予測するデータベースを開発　（企業を束ねて、8億件のデータ）

○ヒトiPS細胞の樹立に成功
（基礎研究推進事業の研究初期段階の支援により、京都大学・山中教授の研究プロジェクトにおいて、ヒトiPS細胞の樹立に成功）

○希少疾病用医薬品の製品化に貢献
（希少疾病用医薬品等開発振興事業は、子供の難病であるムコ多糖症Ⅵ型やHIVの治療薬など、87品目が製品化）

○我が国唯一、世界的にも画期的な生物資源　（日本唯一の薬用植物、世界一高品質なサル）
⇒　よりヒトに近い正確な実験が可能に。安全な医薬品供給へ。

○国民目線に立った一般公開を毎年実施。
（H17～21年度合計3630人来場。満足度約90%）

医薬基盤研究所の意義

○　**（独）医薬基盤研究所**においては、企業や大学等の研究機関では十分対応がなされていない研究を行っており、具体的には、

- **難病患者**の治療のための医薬品の開発につながる研究
- **ワクチン**の開発につながる研究
- 医薬品開発の**安全性評価**（毒性評価）**のための基盤的インフラ構築**

等について、中核的な役割を担っている。

○　また、他の研究機関では取組が不足しがちな研究分野に対して助成を行っている。

○　例えば、**iPS細胞の研究**については、他の研究開発支援機関に先駆けて早期に**山中教授**のヒトiPS細胞樹立の**研究を強力に支援**し、**世界初のヒトiPS細胞の樹立という画期的な成果**を上げている。

医薬基盤研究所の“基盤的技術研究”の成果と実用化の取組

医薬基盤研究所は、医薬品・医療機器の開発の支援、実用化につなげる目的（橋渡し）で、**特に**、

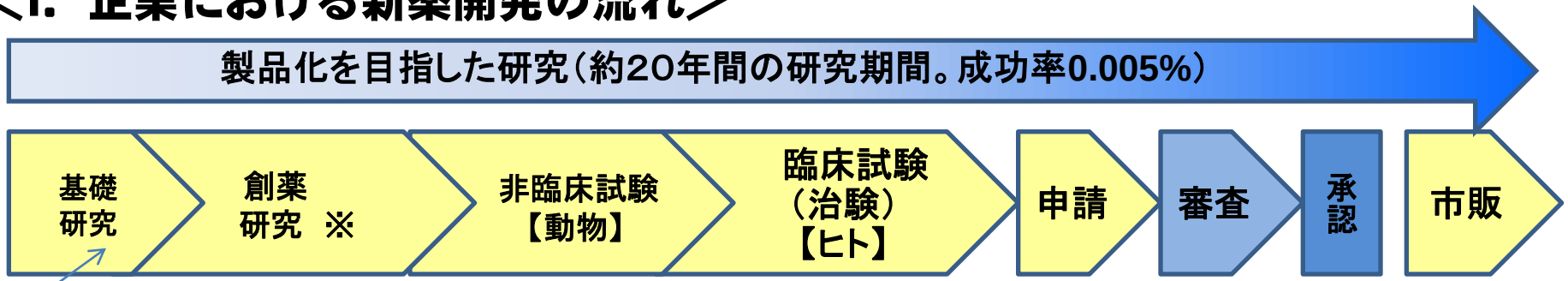
① 大学等であまり行わない創薬関連の国のニーズに沿った研究、製薬企業等でこれまで行われなかった採算性が悪い疾患（難病）等分野の関係研究を、実用化の目標達成に向け適宜企業等の協力を得ながら行っている。

② 製薬企業等の医薬品開発に対して共通的な支援となる分野 （例えば、安全性予測等）の研究を行っている。

現状・背景	医薬基盤研究所の研究成果	実用化に向けた企業の状況等
○難病は種類が多いが、各難病の患者数は少ないことから研究開発投資の回収が困難。一方で社会的ニーズは高い。	**（例１）難病研究の例** ○ベーチェット病、クローン病等の難病の画期的なバイオマーカー（病気の進み具合の診断指標）を発見。	○製薬企業と、治験に向けて共同研究中。 （患者数 ：ベーチェット病→約2万人。 クローン病 →約3万人。）
○ワクチンは、国の政策と関係が深い分野。国内ワクチンメーカーの事業規模は大きくない。	**（例２）多価ワクチンの開発** ○おたふくかぜと、水疱瘡の両方に効果のある多価ワクチンの開発。	○製薬企業と、治験に向けて共同研究中。
○各社単独で蓄積していた多量の物質の毒性データの集約による情報共有、有効活用の道がなかった。	**（例３）毒性評価についての研究例** ○大手製薬企業全社との共同で、毒性評価に関する世界最大規模のデータベースを構築。	○内閣府の産学官連携功労者表彰を受賞。 ○企業で既に創薬に活用中。 ○将来,創薬の迅速化に寄与。

医薬基盤研究所の“基盤的技術研究”の位置づけ

＜1. 企業における新薬開発の流れ＞



各企業の開発戦略の範囲に限定

※創薬研究： 候補化合物の発見（決定）、候補化合物の絞り込み(最適化）を行う

＜2. 医薬基盤研究所の研究の位置付け＞

②：前頁の例3

①：前頁の例1，例2

基盤研の研究（橋渡し）

創薬に方向性を定めた研究。
複数企業で使える基盤的な研究。
複数企業との共同研究。

基礎研究 **大学の研究**

分子レベルでの病気の状態の解明の研究。
※研究の結果、候補化合物を発見したとする場合はあるが、大凡ここまで。

当 面 の 改 革 事 項

○ 他の研究開発型の独立行政法人との統合

研究開発法人のあり方の検討も踏まえつつ、他の研究開発型の独立行政法人との統合を行い、業務の効率化、合理化を図る。

○ 基盤的技術研究、生物資源研究について、事業の重点化等による規模縮減

- 難病など、民間では実施できない分野に特化し、重点化する。
- ヒューマンサイエンス振興財団との関係の見直しに併せ、生物資源配分の適正な価格水準の検討等を行い、交付金の縮減を図る。

○ ヒューマンサイエンス振興財団（HS財団）との関係の見直し

- HS財団との共同による事業（細胞分譲）を廃止し、基盤研が自ら実施する。

※ 移管の具体的な方法等については、研究者への分譲に影響がでないよう留意しつつ、本年度中を目途に検討。

○ 基礎研究推進事業については、来年度より新規募集分を国で実施する。希少疾病用医薬品等開発振興事業については、政府における研究開発独法のあり方の論議等も踏まえ、今後の事業の実施体制を引き続き検討する。また、有識者会議等により助成額等の評価基準を作成し、国のガバナンス強化を図る。実用化研究支援事業については、平成２３年度から廃止とし、資金回収が見込める既契約分のみ経過的に実施する。承継事業については廃止とし、既出融資のみ経過的に実施する。