

## 医薬基盤研究所の概要と第2期中期計画



理事長  
米田悦啓



理事  
樽林陽一



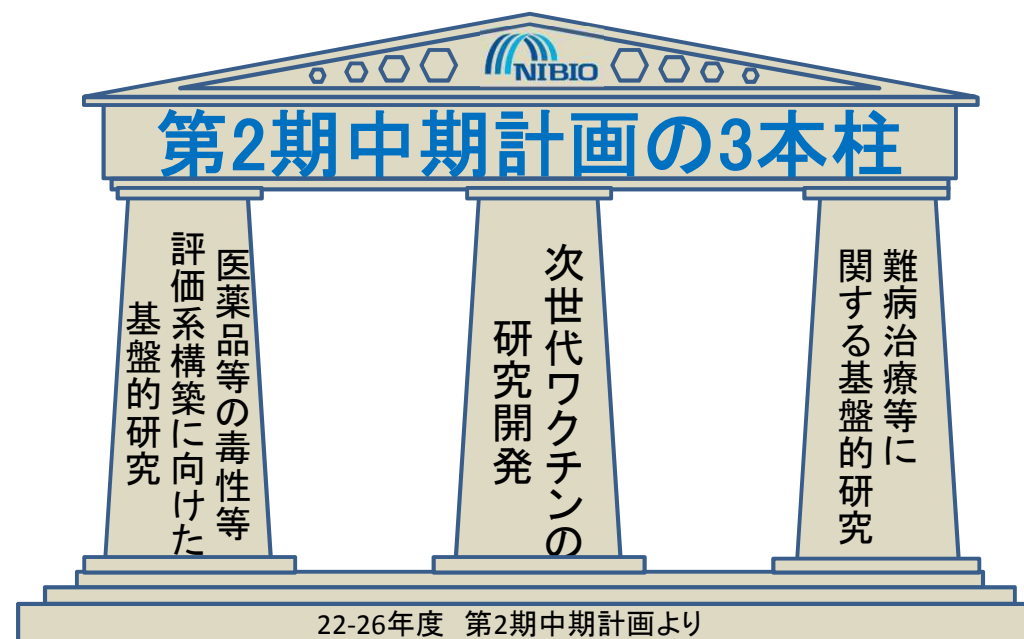
相談役  
山西弘一



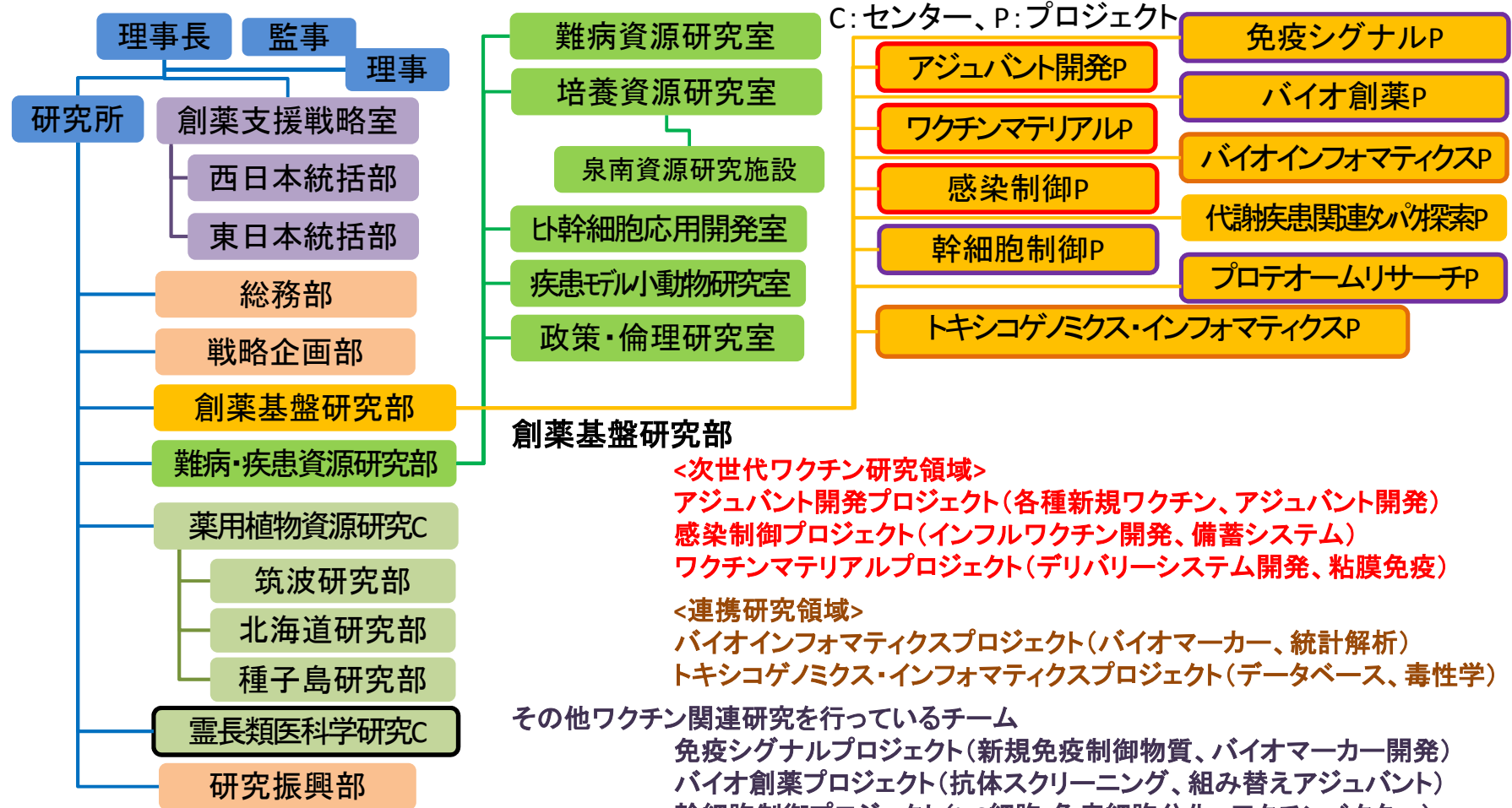
相談役  
竹中登一

& 研究員＋スタッフ の総数約270名 (H25. 4)

医薬基盤研究所は、厚生労働省所管の独立行政法人として、医薬品・医療機器の開発に向けた基盤技術を研究し、研究開発を振興することを通じて、革新的な医薬品などの創出に貢献と国民保健の向上を目指し、国立医薬品食品衛生研究所大阪支所を主な母体に、国立感染症研究所、(独)医薬品医療機器総合機構の組織の一部を統合して、平成17年(2005年)4月、大阪府茨木市彩都に設立されました。



# 医薬基盤研究所の組織図と次世代ワクチン研究開発チーム



### 創薬基盤研究部

<次世代ワクチン研究領域>  
 アジュバント開発プロジェクト(各種新規ワクチン、アジュバント開発)  
 感染制御プロジェクト(インフルワクチン開発、備蓄システム)  
 ワクチンマテリアルプロジェクト(デリバリーシステム開発、粘膜免疫)

<連携研究領域>  
 バイオインフォマティクスプロジェクト(バイオマーカー、統計解析)  
 トキシコゲノミクス・インフォマティクスプロジェクト(データベース、毒性学)

### その他ワクチン関連研究を行っているチーム

免疫シグナルプロジェクト(新規免疫制御物質、バイオマーカー開発)  
 バイオ創薬プロジェクト(抗体スクリーニング、組み替えアジュバント)  
 幹細胞制御プロジェクト(iPS細胞-免疫細胞分化、ワクチンベクター)  
 プロテオームリサーチプロジェクト(HTPスクリーニング)

### 霊長類医科学研究センター

(新規結核ワクチン、エイズワクチン、霊長類実験モデル)

医薬基盤研究所における  
ワクチン開発研究、および関連創薬支援  
平成18－24年度

なぜ医薬基盤研究所がワクチンなのか？

# 医薬基盤研究所における感染症ワクチンの開発研究(支援)-1 基盤研が中心となりワクチン開発研究の コンソーシアム「ワクチン開発研究機関協議会」が発足

## 【趣旨】

◎ワクチン産業ビジョン(平成19年3月策定)に基づき、ワクチンの基礎研究を行う研究機関相互の連携を高め、基礎研究の効率的な実施を可能とする共同研究のネットワーク(ワクチン研究機関協議会)を形成し、ワクチンの研究開発を促進する。(平成19年11月設立)

## 【構成】

ワクチン開発に係る基礎研究を行う研究機関の代表者

- 国立感染症研究所
- 東京大学医科学研究所
- 大阪大学微生物病研究所
- (独)医薬基盤研究所(会長)

※オブザーバー:厚生労働省、(独)医薬品医療機器総合機構、(社)細菌製剤協会、  
日本製薬工業協会

※協議会に幹事会を置く

## 【活動内容】

- ワクチン開発研究の方向性等に関する意見交換
- ワクチン開発研究の普及事業
- その他、関係機関への提案などワクチン開発に係る研究の推進に関すること

# 次世代・感染症ワクチン・イノベーション特区 実施体制図

## 中核組織

次世代・感染症ワクチン・イノベーション特区推進協議会  
事務局: (独) 医薬基盤研究所

## 開発

- 【民間企業】
  - 【製薬企業】
    - 大塚製薬(株)
    - ロート製薬(株)
  - 【ワクチンメーカー】
    - (財) 阪大微生物病研究会
    - (財) 化学及血清療法研究所
    - (学) 北里研究所
    - デンカ生研(株)
  - 【バイオベンチャー】
    - ディナベック(株)
    - コスメディ製薬(株)
    - セルフリーサイエンス(株)
  - 【その他関連企業】
    - 日油(株)
    - ハイトカルチャー(株)
    - (株)朝日工業社
    - 日本製紙(株)

## 研究

- 【研究機関・研究者】

研究代表者: 山西弘一((独) 医薬基盤研究所)

  - 長谷川秀樹(国立感染症研究所)
  - 梁明秀(国立感染症研究所)
  - 内田哲也(国立感染症研究所)
  - 河岡義裕(東京大学医科学研究所)
  - 清野 宏(東京大学医科学研究所)
  - 俣野哲朗(東京大学医科学研究所)
  - 黒田昌治((独) 農業・食品産業技術総合研究機構)
  - 堀井俊宏(大阪大学微生物病研究所)
  - 石井 健(大阪大学微生物病研究所)
  - 明石 満(大阪大学大学院工学研究科)
  - 中川晋作(大阪大学大学院薬学研究科)
  - 喜田 宏(北海道大学人獣共通感染症リサーチセンター)
  - 森 康子((独) 医薬基盤研究所)
  - 保富康弘((独) 医薬基盤研究所)
  - 紅露 拓((独) 医薬基盤研究所)

「医・工・農・薬」連携  
オールジャパン研究体制

## 治験

- 【臨床機関】
  - ◎ 治験を行う病院等
    - 東大医科学研究所附属病院
    - 奈良県立医科大学附属病院
    - IAVI(国際エイズワクチン推進機構)
  - ◎ 治験ネットワーク
    - 国立病院機構治験ネットワーク

## 動物実験

(独) 医薬基盤研究所 霊長類医科学研究センター

## 基準づくり

【ワクチン開発 非臨床評価・臨床評価・アジュバント ガイドライン策定】  
H19～21 厚生労働科研費 主任研究者: 山西弘一

## 連携

(独) 医薬品医療機器総合機構

## 成果：基盤研オリジナルの新規結核ワクチンの開発

2007年～2011年 知的クラスター「ワクチン臨床開発へ向けた基盤組織の構築」

2008年～2012年 スーパー特区「次世代感染症ワクチンイノベーションプロジェクト」

リバーシジェネティクス法により粘膜免疫誘導型ベクター（ヒトパラインフルエンザ2型ウイルス：hPIV2）の作製  
抗原組み込みリコンビナントhPIV2(rhPIV2)：結核、インフルエンザ、風疹等

### 結核ワクチンに焦点を絞り開発

2010年 国際特許申請 (PCT/JP/2010/069435)

マウスでのPOC

2010年 AERASが臨床治験支援の表明

霊長類でのPOC

2012年 AERASがGMP製造を米国で行うことを表明

2012年 研究開発でのHead of Agreement (HOA)をAERASと締結

2013年 国内で新会社設立

## 日本初の核酸アジュバントの開発

### 平成24年度までの成果

マラリアワクチンの新規核酸アジュバント(CpG ODN)につき、

- ・医薬基盤研アジュバント開発Pが中心になり、  
アカデミア治験チーム(Academic Research Organization: ARO)を  
大阪大学医学部附属病院、大阪大学微生物病研究所、阪大微研会、バイオベンチャーのジーンデザイン等と構築した。
- ・平成24年3月: 非臨床試験を完了、基盤研初のPMDA治験前相談を実施した。
- ・平成25年2月: 日本初の核酸アジュバント入りワクチンの健常人に対する医師主導型の第I相治験を大阪大学医学部附属病院で開始する体制を構築した。

平成25年度中に、第I相治験を終了予定。

### 本治験は

- 1) 核酸合成ベンチャー企業のジーンデザインによる日本初のGMP核酸アジュバントを使用した。
- 2) 日本初の国産核酸アジュバントの臨床試験、First-in-human trialである。
- 3) 大阪大学初の健常人に対する医師主導型治験である。

## 医薬基盤研究所における感染症ワクチンの開発研究(支援)－2 ワクチン開発における審査行政への貢献

- 感染症予防ワクチンの臨床試験及び非臨床試験のガイドライン案を作成 (2010/06/01)
  - －「感染予防ワクチンの臨床試験ガイドライン」
  - －「感染予防ワクチンの非臨床試験ガイドライン」
- パンデミックインフルエンザに備えたプロトタイプワクチンの開発等に関するガイドライン案を作製(2011/10/31)
- 2010-2013にわたり、WHOにおけるアジュバント入りワクチンガイドライン策定にかかわった(2013年4月にWHOよりパブコメ)。



# 基盤研を中心に産学官のコンソーシアム「次世代アジュバント研究会」が発足

■ **設立**:平成22年10月

■ **趣旨**:アジュバント研究促進のための産学官共同研究のプラットフォーム組織

## ■ 研究会メンバー

◎山西 弘一((独)医薬基盤研究所 理事長兼研究所長):会長

○審良 静男(大阪大学免疫学フロンティア研究センター拠点長)

○中西 憲司(兵庫医科大学 学長)

○清野 宏(東京大学医科学研究所 教授)

○瀬谷 司(北海道大学大学院医学研究科 教授)

○石井 健((独)医薬基盤研究所 アジュバント開発プロジェクトリーダー)

...以上が研究会幹事...

## [その他の研究会メンバー]

以下の企業の研究者

### 《製薬企業》

○アステラス製薬(株)

○ゼリア新薬工業(株)

○武田薬品工業(株)

○MSD(株)

○ハルティスファーマ(株)

○大塚製薬(株)

○第一三共(株)

○田辺三菱製薬(株)

○グラクソ・スミスクライン(株)

○ファイザー(株)

○塩野義製薬(株)

○大日本住友製薬(株)

○中外製薬(株)

○サファイパツール(株)

### 《ワクチンメーカー》

○(財)化学及血清療法研究所

○(学)北里研究所

○(財)阪大微生物病研究会

### 《バイオベンチャー》

○(株)MBR

○ジーンデザイン(株)

○セルメディシン(株)



# 医薬基盤研究所における ワクチン開発研究、および関連創薬支援

日本におけるワクチン開発研究、支援の  
現状と課題、展望と今後の戦略

# 「ワクチン開発研究および支援」における 現状と課題

現状と課題；ワクチン開発研究は

- 1) (たとえ治療薬があっても) 感染症対策として必須
- 2) (開発から行政まで) グローバルな対応が求められている
- 3) 対象疾患が感染症の枠を超えて広がっている
- 4) 単独チーム (シーズ側) でのワクチン開発はアカデミアのみならず企業でもほとんど不可能

対策： = 産学官連携のもとワクチンデザイン力+予算を結集し

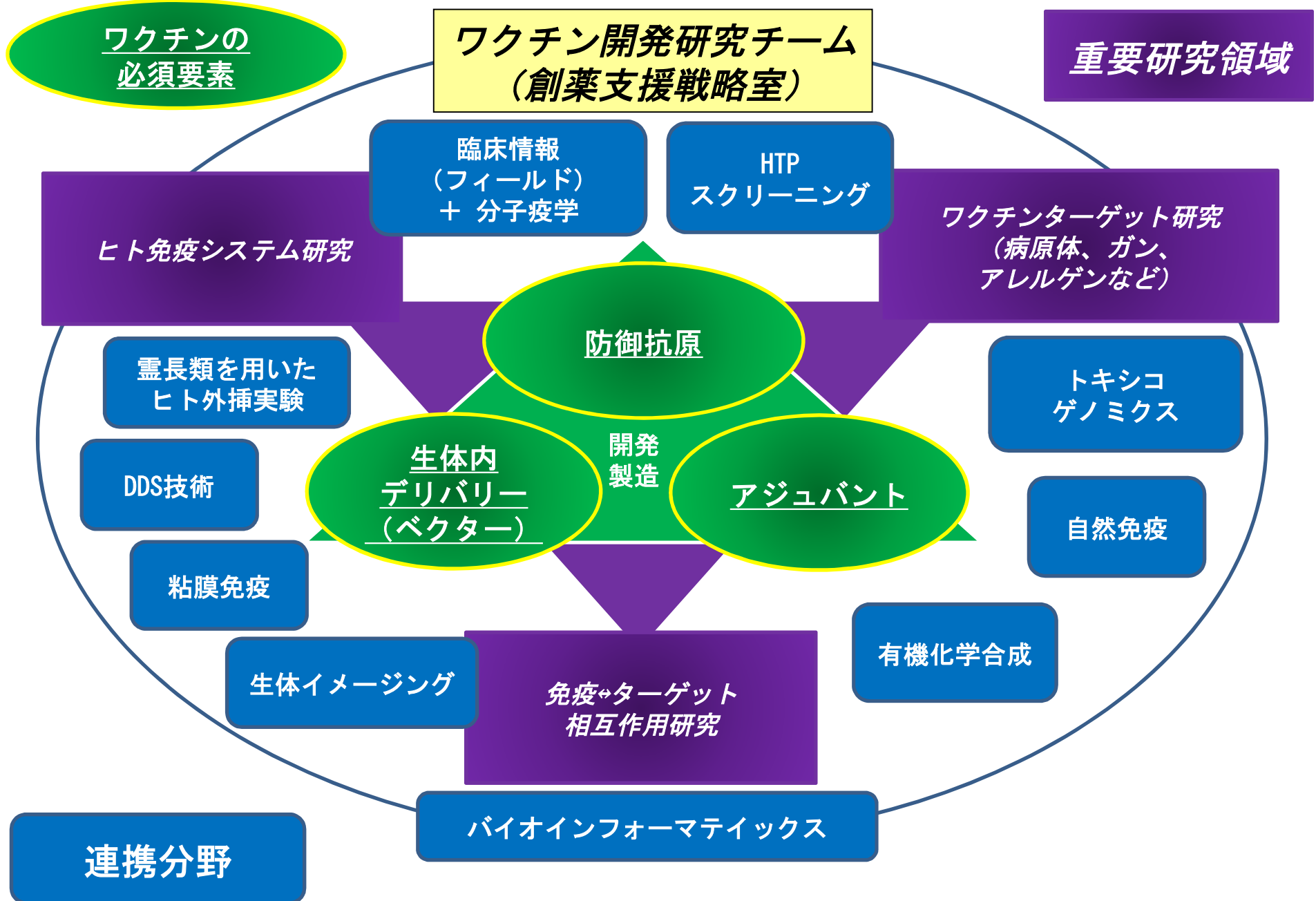
一つ屋根の下 (厳しいが理想：人 (財) が育つ)

もしくは

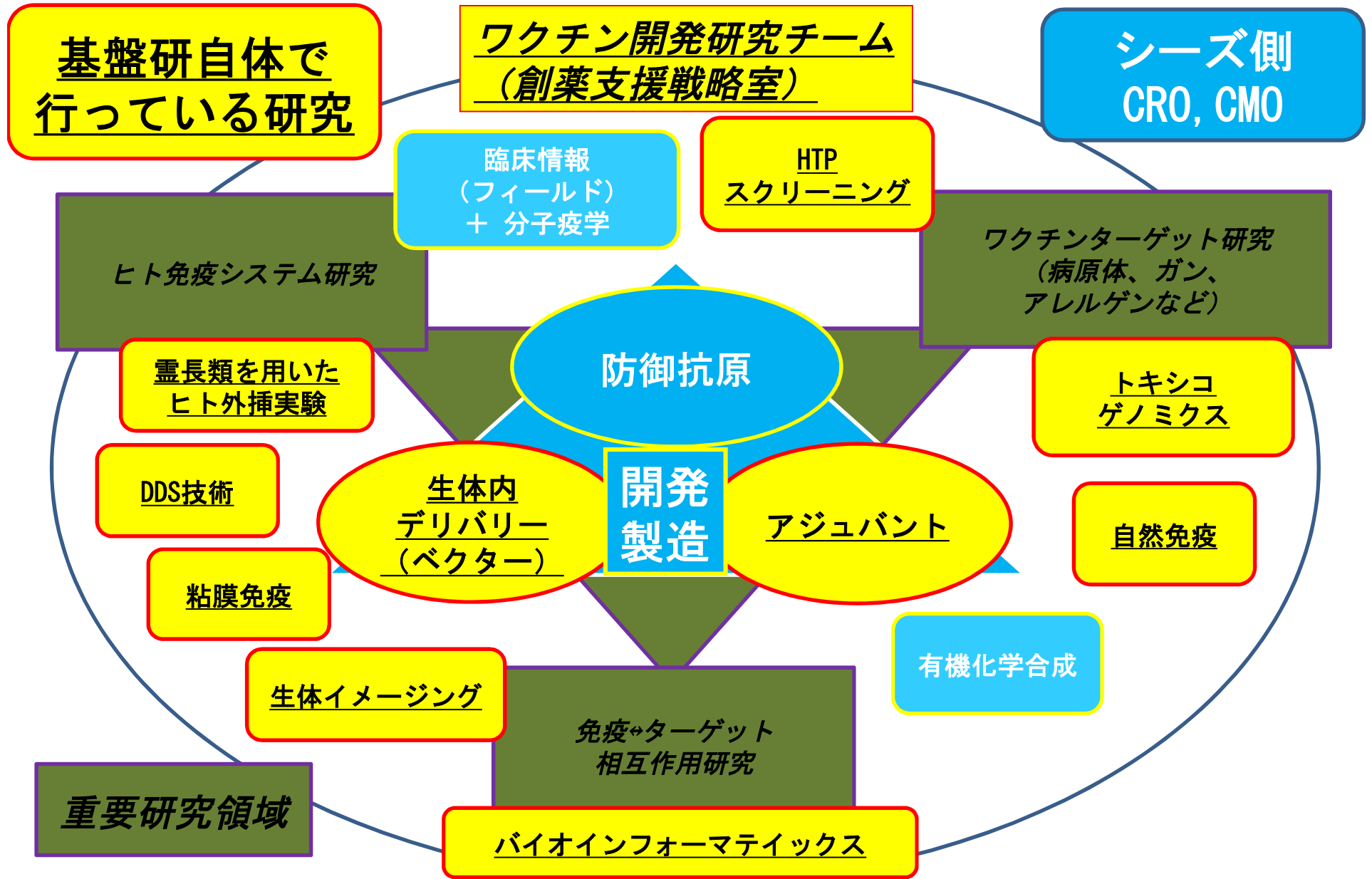
バーチャルなコンソーシアム (妥協点：プロダクトは育つ)

による 「ワクチン開発チーム+ファンド」 の形成が必要

# 基盤研が想定する次世代ワクチン開発研究のイメージ(例)



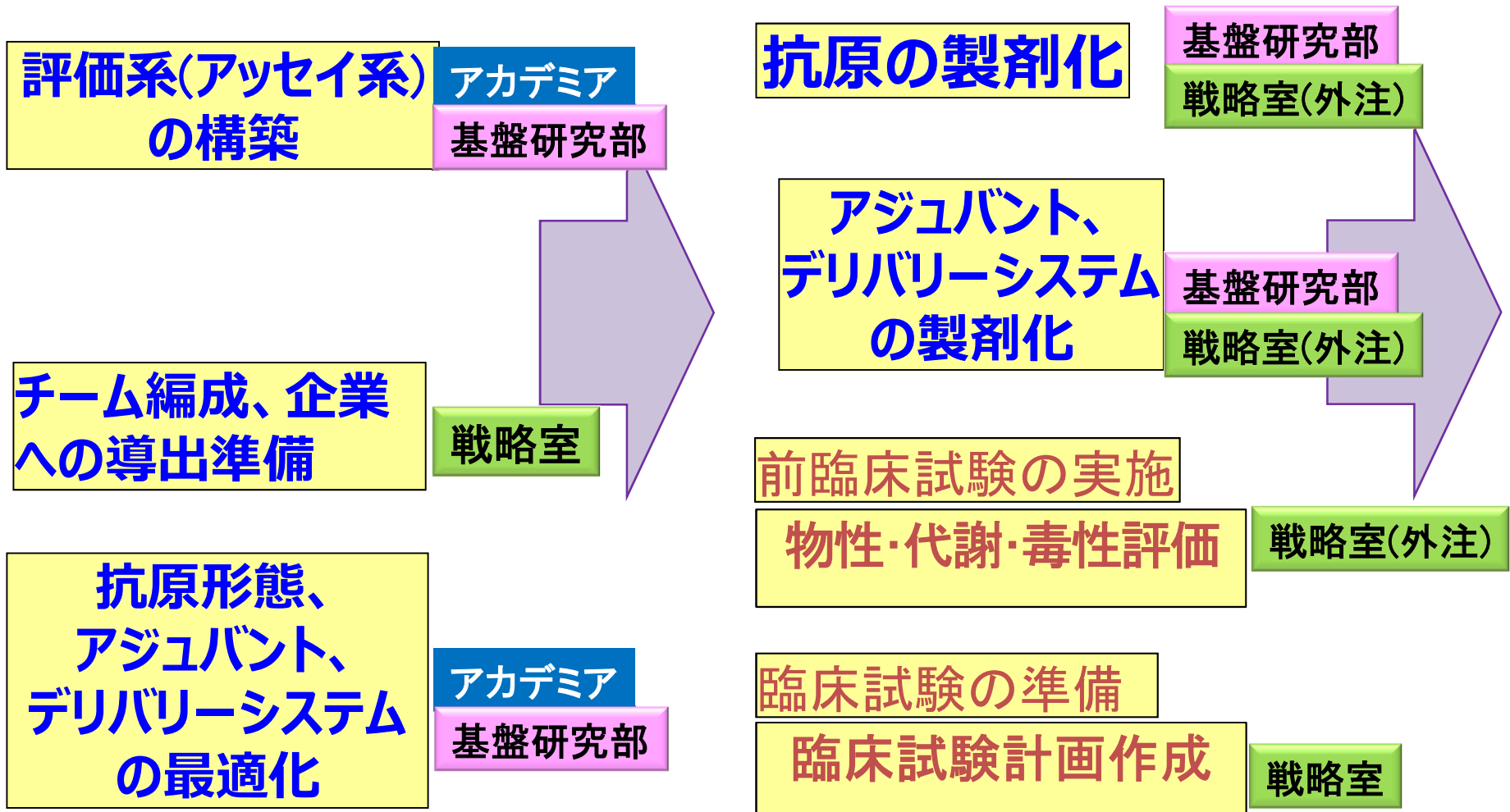
# 基盤研のワクチンデザイン(支援)の潜在的能力



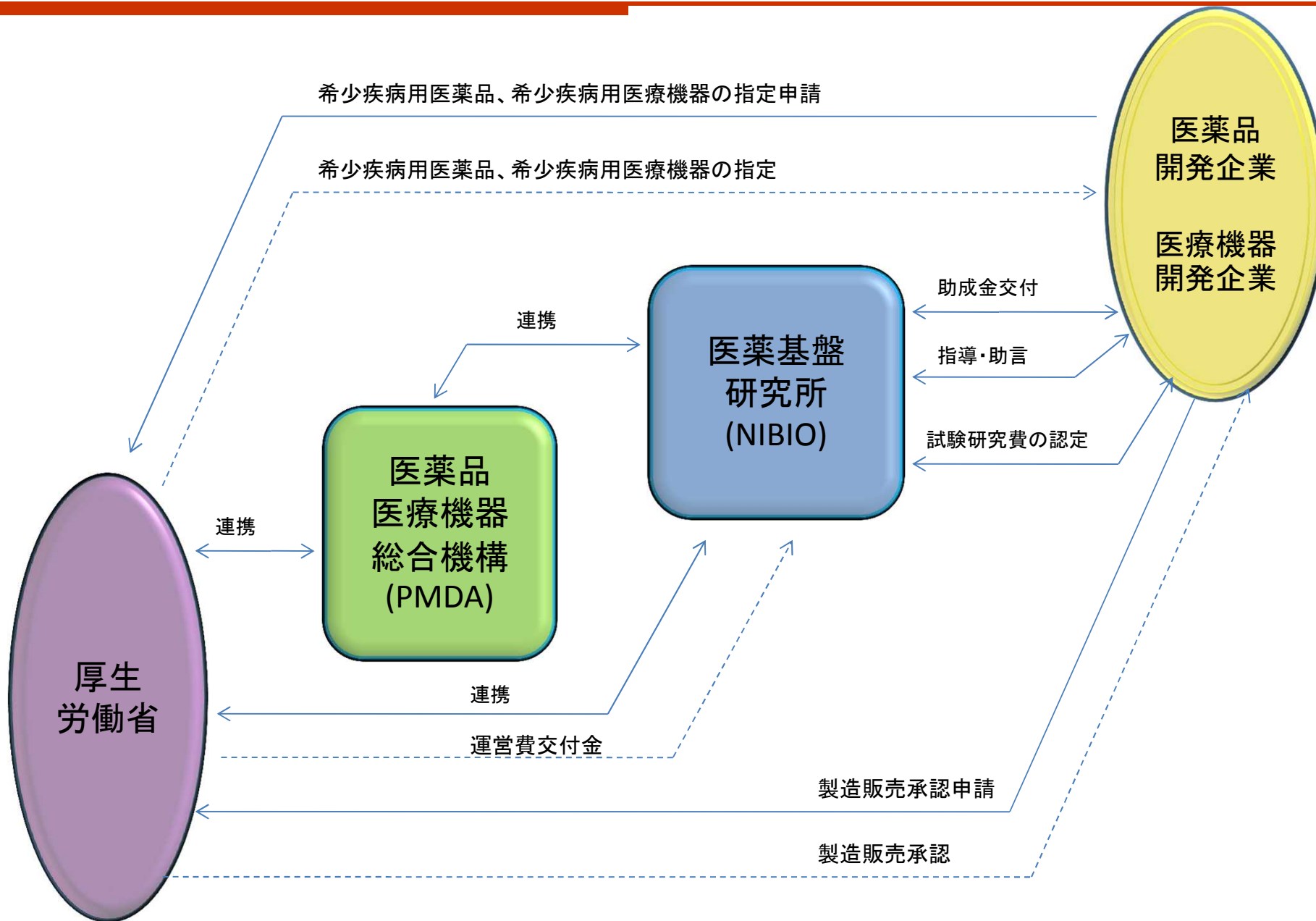
# 医薬基盤研究所内におけるワクチン開発研究支援体制 創薬基盤研究部と創薬支援戦略室の連携（案）

抗原、アジュバントの最適化  
POC獲得

ワクチン製剤化、臨床試験



# 医薬基盤研究所におけるオーファンドラッグ・オーファンデバイスの研究開発促進制度



## 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の開発支援と製品化(実績)

### 指定状況(平成5~24年度)

希少疾病用医薬品	300品目
希少疾病用医療機器	23品目

### 助成金交付品目総数

希少疾病用医薬品	152品目
希少疾病用医療機器	14品目

### そのうち、これまでに承認された品目数

希少疾病用医薬品	95品目
希少疾病用医療機器	6品目

### 平成24年度助成金交付品目数

希少疾病用医薬品	19品目(新規12品目)	866,024,000円
希少疾病用医療機器	2品目(新規2品目)	11,401,000円
	合計	877,428,000円



## 希少疾病用医薬品の指定を受けたインフルエンザワクチン（平成25年6月30日現在）

指定年度	指定日	指定番号	助成期間(年)	指定を受けた医薬品の名称	指定を受けた、予定される効能、効果又は対象疾病	指定を受けた申請者の氏名又は名称	製造販売承認を受けた効能又は効果	製造販売承認を受けた者の名称	製造販売承認を受けた日	製造販売承認を受けた販売名	備考
18	H18.6.9	(18薬)第184号	1	沈降インフルエンザワクチン(H5N1)	インフルエンザ(H5N1)の予防	デンカ生研㈱	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	デンカ生研株式会社	H25.3.25	沈降インフルエンザワクチンH5N1「生研」1mL	
18	H18.6.9	(18薬)第185号	1	沈降インフルエンザワクチン(H5N1)	インフルエンザ(H5N1)の予防	(社)北里研究所	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	北里第一三共ワクチン㈱	H19.10.19	沈降インフルエンザワクチンH5N1「北里第一三共」	
18	H18.6.9	(18薬)第186号	1	沈降インフルエンザワクチン(H5N1)	インフルエンザ(H5N1)の予防	(財)阪大微生物病研究所	本剤は、新型インフルエンザ(H5N1)の予防に使用する。	一般財団法人阪大微生物病研究会	H19.10.19	沈降インフルエンザワクチン「ピケン」	
18	H18.6.9	(18薬)第187号	2	沈降インフルエンザワクチン(H5N1)	インフルエンザ(H5N1)の予防	(財)化学及血清療法研究所	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	一般財団法人化学及血清療法研究所	H22.10.27	沈降インフルエンザワクチンH5N1「化血研」	
20	H20.6.6 H23.11.16 ※1	(20薬)第211号	3	UMN-0501(組換えインフルエンザHAワクチン(H5N1)) ASP7373(組換えインフルエンザHAワクチン(H5N1))※1	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	㈱UMNファーマ アステラス製薬㈱ ※1	—	—	開発中	—	指定取消 (H23.11.16) ※1
20	H20.9.12	(20薬)第215号	3	GSK1557484A(AS03アジュバント添加(プレ)パンデミック(H5N1)インフルエンザウイルスワクチン)	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	グラクソ・スミスクライン㈱	—	—	開発中	—	
22	H22.6.16 H23.6.10 ※2	(22薬)第229号		BLB-750(細胞培養H5N1インフルエンザワクチン)	H5N1インフルエンザの予防	H22.6.16/バクスター㈱ H23.6.10武田薬品工業㈱ ※2	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	バクスター㈱ 武田薬品工業㈱	H25.6.18	細胞培養インフルエンザワクチン(H5N1)「バクスター」 細胞培養インフルエンザワクチン(H5N1)「タケダ」5mL	
24	H24.6.13	(24薬)第274号		乳濁細胞培養A型インフルエンザHAワクチン(H5N1株)	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	一般財団法人化学及血清療法研究所	—	—	開発中	—	
24	H24.6.13	(24薬)第275号		乳濁細胞培養A型インフルエンザHAワクチン(プロトタイプワクチン)	新型インフルエンザの予防	一般財団法人化学及血清療法研究所	—	—	開発中	—	
24	H24.9.13	(24薬)第289号		細胞培養全粒子プロトタイプワクチン	パンデミックインフルエンザの予防	バクスター㈱ 武田薬品工業㈱	パンデミックインフルエンザの予防	バクスター㈱ 武田薬品工業㈱	H25.4.26	細胞培養インフルエンザワクチン(プロトタイプ)「バクスター」 細胞培養インフルエンザワクチン(プロトタイプ)「タケダ」5mL	
24	H24.12.11	(24薬)第296号		沈降細胞培養インフルエンザワクチン(H5N1株)	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	北里第一三共ワクチン株式会社	—	—	開発中	—	
24	H24.12.11	(24薬)第297号		沈降細胞培養インフルエンザワクチン(プロトタイプワクチン)	新型インフルエンザの予防	北里第一三共ワクチン株式会社	—	—	開発中	—	

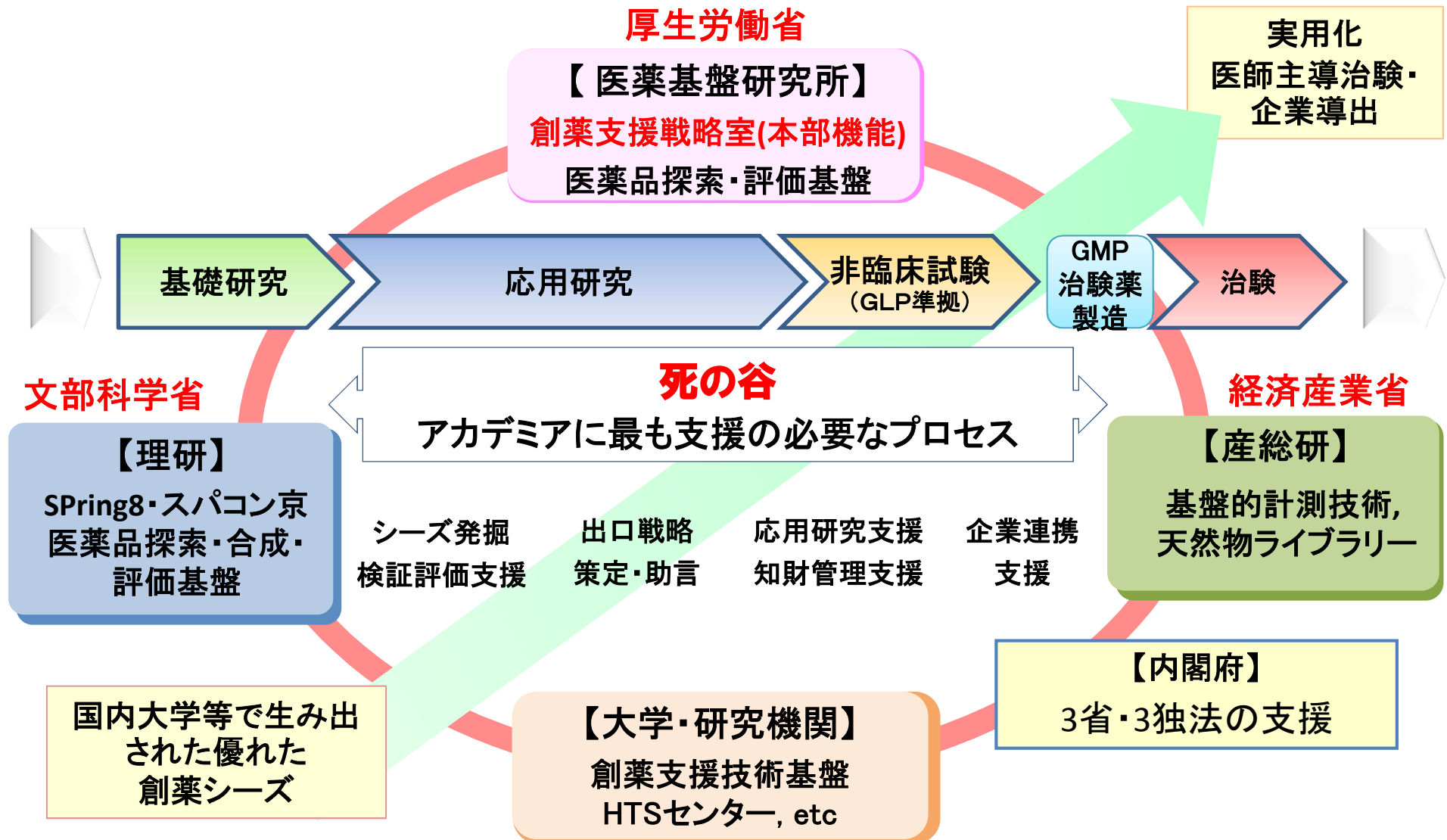
※1 平成20年に受けた指定について、平成23年11月16日付けで、(株)UMNファーマが一旦、取消しとなり、同日付でアステラス製薬(株)が指定を受けたことを示しています。また、この際、医薬品の名称も「UMN-0501」から「ASP7373」になっています。

※2 平成22年6月16日にバクスター(株)が指定を受けた後、平成23年6月10日に武田薬品工業(株)が指定を受けたことを示しています。

# 創薬支援戦略室

- 平成25年5月16日設立@医薬基盤研究所
- 「創薬支援ネットワーク」の本部機能
- 創薬支援ネットワーク
  - 文科省・経産省・厚労省による健康医療イノベーション推進のための府省横断的プロジェクト
  - 理研・産総研・医薬基盤研・大学等、オールジャパンでネットワークを構築し、アカデミア発創薬を協力を支援
  - 優れた基礎研究成果を医薬品としての実用化に繋げる
  - 健康社会の実現と国際競争力の強化
- ~30名の創薬エキスパートで構成される日本初の本格的な公的アカデミア創薬支援組織

# 創薬支援ネットワークの概要



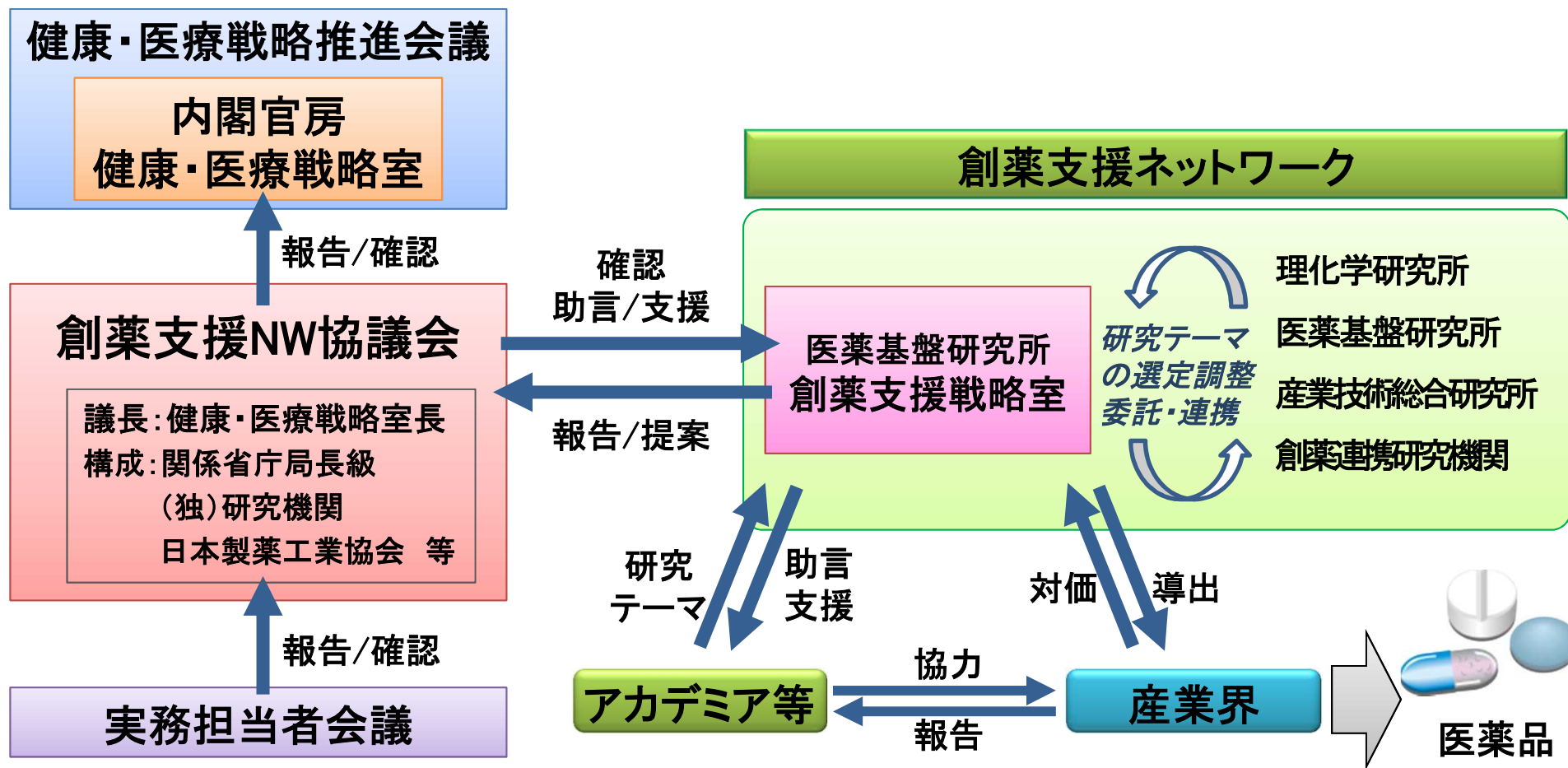
# 創薬支援ネットワーク協議会

(厚生労働省作成資料)

「創薬支援ネットワーク協議会」は、国内の有望な基礎研究の成果を、実用化につなげる創薬支援ネットワークを、関係各府省・関係機関が連携して構築するために開催する。

関係機関の事務の緊密な連絡を図り、協議会を円滑に運営するため、関係府省、関係機関の職員及び有識者を構成員とする「実務担当者会議」を開催する。

平成25年4月17日 健康・医療戦略推進会議決定「創薬支援ネットワーク協議会の開催について」



# 創薬支援ネットワークの支援対象

- First in Class 創薬の支援に注力
- 低分子化合物、天然物、生物製剤(ワクチン、抗体等)
- “New Modality”: 核酸、細胞等
- 重点8領域  
がん、難病・希少疾病、肝炎、感染症、糖尿病、  
脳心臓血管系疾患、精神神経疾患、小児疾患等
- 応用研究(標的選択から前臨床試験)を中心に切れ目ない  
技術・戦略両面での支援