

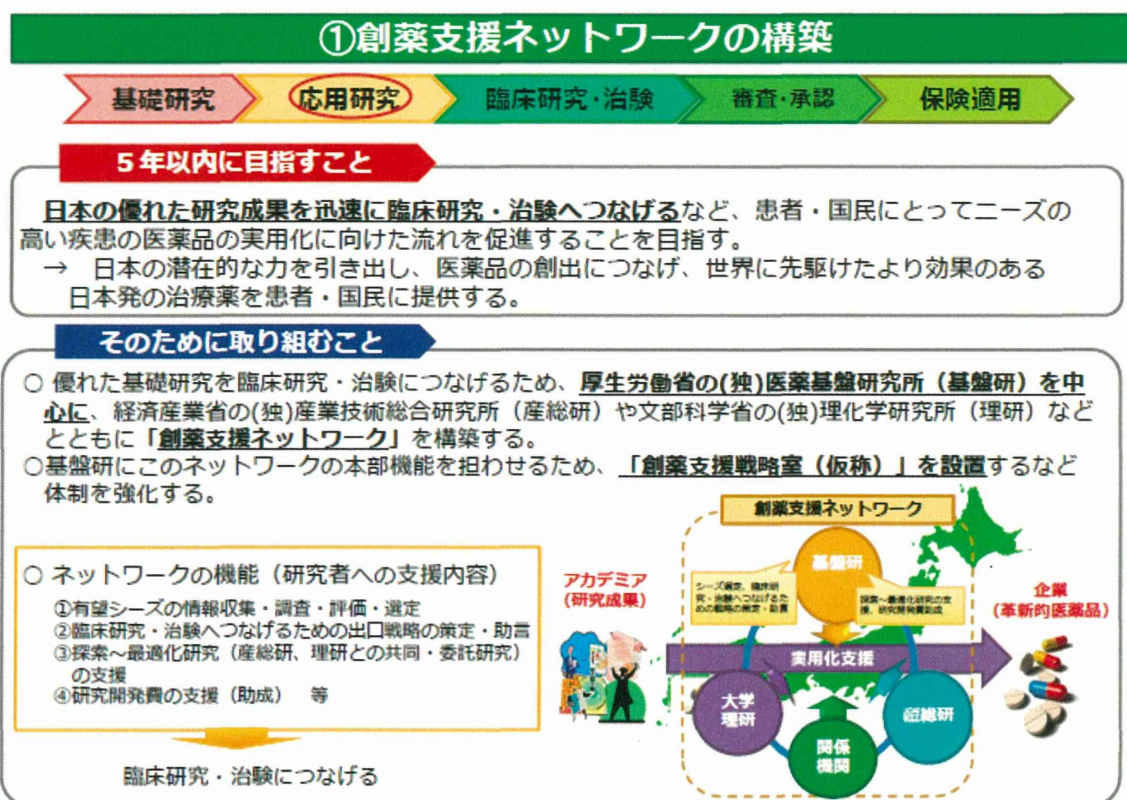
(3) 創薬支援ネットワークの機能に対する期待

平成 24 (2012) 年 6 月に公表された「医療イノベーション 5 か年戦略」(医療イノベーション会議) では、革新的医薬品・医療機器の開発のため、世界レベルのインフラ整備を推進することとされた。特に新薬実用化については、オールジャパンでの創薬支援体制として、独立行政法人医薬基盤研究所が中心となる創薬支援ネットワークを構築されることになった。

創薬支援ネットワークは、大学等研究機関における優れた研究成果を確実に医薬品の実用化につなげることができるように、基礎研究等から医薬品の実用化まで切れ目なく支援するため創薬支援体制として、独立行政法人医薬基盤研究所を中心に関係府省・創薬関連研究機関等の連携により構築される。

創薬支援ネットワークにおいては、有望なシーズの情報収集・調査や評価・選定をはじめ、研究に対する出口戦略の策定・助言、応用研究から非臨床試験を中心とした技術的助言や支援、企業連携支援等を行うとともに、これに関連する重点的な研究開発費の助成等を行うことを通じて実用化を支援する役割を担うことになる。

本調査では、前述の創薬支援ネットワークの各機能に対する研究者の期待・要望等を収集した。



出典：「医療イノベーションの推進により目指すことと厚生労働省の取り組み」厚生労働省

① 機能1：有望シーズの情報収集・調査・評価・選定

第1の機能である「有望シーズの情報収集・調査・評価・選定」については、大学等研究機関の有するシーズ情報は、特許事項に抵触するためその集約が図られず、アカデミア内はもちろん、製薬企業等とも情報共有が進んでいない。そのような現状を踏まえ、創薬支援ネットワークには、シーズに関する広範な情報収集を積極的に行い、製薬企業等へリアルタイムに情報提供を行う機能が求められている。あわせて、特許に係る相談窓口機能を求める意見もみられた。

また、シーズの評価にあたっては、適正かつ公平であり、市場性や実現性を考慮する視点が必要であり（評価の根拠の開示も重要である）、評価者の資質として多様な視点からの評価が可能な人材が求められている。

広範な情報の収集機能

- ・シーズ情報は特許事項であることもあり、学会等を通じて収集しにくい。したがって、創薬支援ネットワーク内に位置付けられる臨床研究グループは創薬開発をしないことを前提として守秘義務を担保した上で基礎研究シーズの情報を自由に閲覧し、シーズ開発者と協議の上、臨床研究に展開できる権利を持つようなシステムが必要である。
- ・大学等の研究機関の研究者は、自らの研究領域外の情報は基本的に所持していないので、非常に広い範囲の研究者から情報を集めることが必要である。
- ・全国の大学や研究機関で開発された有望シーズについて、最新の情報を調査、評価し、リアルタイムにインターネット上で専門外の研究者や企業の人でも理解しやすく、分野別や目的別に容易に調べることができる情報を与えることが重要である。
- ・情報収集は「応募を待つ」というスタンスではなく、積極的に各大学を訪問して情報を集め、恒常的に続くシステムを構築する。
- ・製薬企業の下請けにならないように、各企業のテーマを開示すべきである。

特許事項の相談窓口機能

- ・相談窓口を設けて、特許等を含めて指導してほしい。
- ・知財の助言が欲しい。
- ・特許の出願と管轄の機能を有してほしい。
- ・スーパー早期審査の仕組みを継続、引き継ぐ。

評価の視点

- ・研究者は自分の研究の全体的な位置づけ、価値などをつかめないので、適切な評価が重要である。
- ・情報が調査、評価、選定のためのみに使用され（機密の保持）、公平に評価されることが重要である。
- ・科学的インパクトも大事だが、特許や GMP 製造疾患の市場性、臨床試験の実行可能性等で判断するべきである。
- ・評価などの説明も明示してほしい。

評価者の資質

- ・全てにおいて、優れた見識をもつ評価者とシステムが必要。
- ・大学の研究者のみでは無理であるため、新聞記者やベンチャー社長など、幅広い職種知識、アイデア、豊富な人が選定すべき。
- ・新薬開発に関与する臨床医の意見を取り入れてほしい。
- ・評価は非常に難しく、製薬業界の視点を持つ人材（特に、独創的、画期的な医薬品開発に関する最先端研究の経験に乏しい者）が評価すると、かえって画期的なシーズを見逃すことになる可能性もある。ただし、大学等の研究機関の研究者が評価するにしても、優秀な基礎的研究成果を有する学者が必ずしも適切な評価者となれるかどうかは疑問である。

② 機能2：臨床研究・治験につなげるための出口戦略の策定・助言

第2の機能である「臨床研究・治験につなげるための出口戦略の策定・助言」については、「倫理審査機能」、「非臨床試験機能」、「臨床試験促進機能」、「企業とのマッチング機能」、「成功事例に関する広報機能」を求める意見が寄せられた。

倫理審査機能

- ・倫理規定が各施設によって大きく異なり、施設毎に研究実施前段階での困難さが異なる。さらに、他施設共同研究が実施しにくい。倫理規定の統一化を図るために、倫理審査を一括して担当する公的施設が必要である。研究シーズを持つ施設と臨床研究を実施する施設が必ずしも一致しない。したがって、臨床研究用の施設を選定する必要がある。

非臨床試験機能

- ・いわゆる非臨床試験に関しては、専門機構で進めて欲しい。大学で学生が行うには無理がある。

臨床試験促進機能

- ・創薬情報とともに全国の臨床試験体制情報を集約し、「創薬情報から臨床試験情報」の流れを国として構築する。
- ・ヒトの臨床試験が行いやすい組織が必要である。

企業とのマッチング機能

- ・連携先の製薬企業の仲介と交渉支援等は非常に有益である。企業があまり食指を動かさない、希少疾患治療薬とか既存約の現行適用疾患外の使用などについては、ニーズがあると思う。

成功事例に関する広報機能

- ・実際に有望シーズから実用化につながった成功例を具体的に評価、公表し、今後の新しい有望シーズの実用化に向けた参考になる情報を与えることが重要である。

③ 機能3：探索～最適化研究の支援

第3の機能である「探索～最適化研究の支援」については、下記のような機能を求める意見が寄せられた。

- ・化合物ライブラリー整備やハイスループットならびにインシリコでの化合物スクリーニングの支援、有機化学合成による構造展開の支援は非常に重要であるが、外部機関への公平なサービス業務に徹底するべきである。知財権も主張しない方向がよい。
- ・開発がスピードアップを図るための適切な支援をしてほしい。
- ・全国から集められた有望シーズと関連する企業とのマッチングを行い、実際の橋渡し研究の実施に向けた環境整備について助言を行うことが求められる。
- ・共同・委託研究に指定された臨床グループは、理化学研究所、産業技術総合研究所との協議の上、臨床試験を実施するか否かの判断を行う。このような臨床グループに指定されたことによる報酬として、実際に臨床試験を実施した場合の成果報酬としての研究費の支援を受ける必要がある。
- ・化合物の最適化のため、非臨床試験の実施する資金が必要である。
- ・人工酵素運搬体の応用範囲は広いので、各フィールドで最適化研究を行ってゆく必要はある。

④ 機能4：研究開発費の支援（助成）

第4の機能である「研究開発費の支援（助成）」については、橋渡し研究のみならず、基礎研究への研究開発費の長期的な助成を求める意見があった。

その他、人材確保のための助成、大学等研究機関と企業のマッチングの成功事例に対する助成等といった意見も寄せられた。

基礎研究への開発費の助成機能

- ・製薬企業は、有望なリード化合物が得られていない状況では、なかなか共同開発に踏み出さないことを改めて実感している（こちらの権利を完全に放棄すれば、もっと早い段階から参加するとは思うが）。したがって、基礎段階の研究とそこまでをつなぐ研究開発費の支援（助成）は、最も重要である。

橋渡し研究への開発費の助成機能

- ・全国から集められた有望シーズを実際に実用化しようとする企業や研究機関に対して、一定期間の研究開発費を援助すること。
- ・選択する能力の向上、決めたら実用化まで（5年以上）支援
- ・資金がムダでなくなならないよう、各ステージに応じた助成額を必要とされる時にタイムリーにいただきたい。

その他の機能

- ・特に人材雇用のための助成、あるいは人員の派遣を希望する。
- ・製薬企業と研究機関のベストマッチングを実現させるシステムの構築をし、その上でベストマッチングペアに助成を。
- ・臨床研究だけを運営・実施するための時間労働的な職位在大学には無いため、臨床業務と臨床研究を同時進行しなければいけない。臨床研究のための時間を大学から買い取るような研究費と大学側のシステムが必要である。

4. ヒアリング調査結果の概要

(1) A社

製薬企業として、国の取組である「創薬支援ネットワーク」創設の方向性には期待している。ただし、「橋渡し」というコンセプトとしては従来からあるものであり、この創薬支援ネットワーク創設により何が変わるのか、について明確にする必要がある。また、創薬支援ネットワークには「リーダーシップ」と「評価体制」の2点が重要であり、特に評価にあたって、マイルストーンの目標、評価基準を明確にするべきである。

現在、アカデミアのシーズについては、各大学の産学連携本部からの紹介や、各種学会等での研究者からの発表によって情報収集を行っている。しかし、企業の開発ポートフォリオ全体をみると、アカデミアのシーズから開始されたものは少ない。

アカデミアのシーズの導入がうまくいかない理由としては以下の点が挙げられる。

- ・ターゲットバリデーションも不十分なシーズが多いため、製薬企業はリスクの高いものに投資をすることは出来ない。
- ・アカデミアと製薬会社をつなぐ機能として、応用に向けた視点を良く分かっている人、つまり、製薬企業出身で研究開発経験があり、各マイルストーンで頻繁に問題となる点を良く理解している人が窓口にいることが必要になる。

しかし、アカデミアが基礎的な研究をするのは重要な機能であるが、例えば化合物ライブラリやスクリーニング1つとっても、各大学で準備できる設備は非常に小規模なものに限られる。そのような場合は、共同利用施設的に集中して行うのが良いのではないか。

(2) B社

著名な研究者からの共同研究依頼は従来からあるが、本当の意味での橋渡しに向けての取組みはなかった。しかし、2010年問題（2010年に大型医薬品の特許が一斉に切れる問題）を背景として、企業側のオープンイノベーションの取組みがここ数年進んでいる。

しかし、企業側からみると、アカデミアは企業の *unmet medical need*（薬や治療法が研究されていない医療ニーズ）を理解しているとは思えないのが現状である。逆に言えば、企業の *unmet medical need* がアカデミアにうまく伝わっていないともいえる。例えば、アカデミアは安全性を軽視して、副作用が起こる可能性の高いターゲットを選択してしまう傾向も感じられる。昔であれば、抗がん剤などは有る程度毒性があってもやむなしという考え方もあったが、今は許されないものであり、企業としては投資リスクが高すぎるという判断をせざるをえない。また、アカデミアの研究者はどうしてもリサーチ指向であり、それは研究者の評価基準の問題（例えば、論文の数により

評価するなど) でもある。

そのため、アカデミアのシーズと、企業のニーズのマッチングを行うシステムの確立が必要である。

アカデミアのシーズについては、国内の地方大学も含めた各大学の TLO (Technology Licensing Organization) や産学研究本部から情報収集を行っているが、特許化されたものしかリストが無く、研究段階のものを把握できていない。研究段階のものについても (他企業と既に共同研究しているものであっても)、その存在についてのリストを公表してほしい。なお、海外のアカデミアのシーズについては、訴訟リスクが発生するため積極的には情報収集を行っていない。

また、知的財産の問題については、以前は特許申請前に論文を出してしまう研究者が多くみられたが、最近は減ってきているように感じる。また、POC (Proof of concept) までアカデミアには求めておらず、それは企業で作成した方が早いケースも多いのではないか。企業としては、新規のシーズについては、**Vitro** で出来たぐらいの早い段階での情報提供を期待したい。

創薬支援ネットワークの創設にあたっては、まず、人材の確保が重要となる。具体的には、知財・目利き機能を担える人材が必要であろうし、**medicinal chemist** も必要である。加えて、マイルストーンで **no-go decision** ができる人材も重要である。

また、知財戦略については、特許戦略、出口戦略の策定が重要である。特許は早く申請すればいいというものでもなく、競合の状況の特許出願状況から探りながらタイミングを図ることが肝要である。

さらに、企業がライブラリの数を1社で増やすのはコスト面から限界を迎えており、ライブラリの共通部分を共同利用できる機能が求められる。

平成24年度厚生労働科学研究
現在の創薬を取り巻く実態調査

1 わが国の医薬品・医療機器の開発において、大学等の研究機関におけるシーズが、企業での実用化に結びつきにくいことが指摘されています。

この要因、解決策として、資金面・人材面・設備及び技術面・制度及び規制面・情報面のそれぞれについて、どのようにお考えでしょうか？

① 資金面（金額・期間等）

② 人材面

③ 設備及び技術面

④ 制度及び規制面

⑤ 情報面（不足していると思われる情報等）

2 製薬企業等との連携にあたって、認識が異なっていたことがありますか？

可能な範囲で具体的な事例をお教えてください。

3 現在、国では優れた基礎研究を臨床研究・治験につなげるため、(独) 医薬基盤研究所を中心に、(独) 産業技術総合研究所や(独) 理化学研究所等とともに「創薬支援ネットワーク」を構築することを構想しています。

創薬支援ネットワークの機能としては以下の4つが挙げられていますが、それぞれの機能について、どのようなことを期待されますか？

機能1：有望シーズの情報収集・調査・評価・選定

機能2：臨床研究・治験につなげるための出口戦略の策定・助言

機能3：探索～最適化研究（産総研や理研との共同・委託研究）の支援

機能4：研究開発費の支援（助成）

質問は以上です。ご協力ありがとうございました。

