

情報委員会・国外調査ワーキンググループ(敬称略、会社名五十音順)

【WG メンバー】

第一三共株式会社	研究開発本部	佐藤 督 (リーダー)
味の素製薬株式会社	創薬研究所	岩田 博司
興和株式会社	医療用開発本部	川越 淳一
大正製薬株式会社	薬制部	池田 陽子
大正製薬株式会社	医薬事業企画部	川西 政史
武田薬品工業株式会社	医薬研究本部	内林 直人
日本新薬株式会社	医療政策情報部	中立 一克
Meiji Seika ファルマ株式会社	医薬製品企画部	林 宏行
株式会社レクメド	代表取締役社長	松本 正
株式会社レクメド	創薬事業グループ	柏 純子
株式会社レクメド	創薬事業グループ	鈴木 規由
(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	佐々木 徹
(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	井口 富夫
(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	加藤 正夫

目 次

第 1 章 調査の概要

1-1. 調査の目的.....	1
1-2. 訪問先と主な入手情報.....	1
1-3. 調査団メンバー.....	11
1-4. 調査日程.....	12
1-5. 調査協力者.....	13

第 2 章 訪問先別調査結果

■ 米国

【Washington DC】

2-1. Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)	14
2-2. Biotechnology Industry Organization (BIO)	18

【Bethesda/MD】

2-3. National Institutes of Health (NIH)	21
--	----

【Tucson/AZ】

2-4. Critical Path Institute (C-Path)	24
---	----

【San Diego/CA】

2-5. ISIS Pharmaceuticals, Inc.	31
2-6. Arena Pharmaceuticals, Inc.	36

【San Francisco/CA】

2-7. California Institute for Quantitative Biosciences (QB3)	44
--	----

【Menlo Park/CA】

2-8. Johnson & Johnson Innovation Centers.....	49
--	----

■ 欧州

【Paris, France】

2-9. Sanofi.....	56
2-10. Pierre Fabre SA	63

2－11. Medicen Paris Region	67
【Leiden, Netherlands】	
2－12. Leiden Bio Science Park	72
【Madrid, Spain】	
2－13. Centro Nacional de Biotecnología (CNB) ／英名 : The Spanish National Centre for Biotechnology.....	77
2－14. Sylentis S.A.	81
【London, UK】	
2－15. UK Trade & Investment (UKTI)	85
2－16. Human Induced Pluripotent Stem Cells Initiative (HipSci)	88
2－17. Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA)	92
第3章 調査結果の総括と提言	
3－1. 調査結果の総括.....	94
3－2. 提言.....	95

注：本文中の金額の桁表記として、K=1,000（千）、M=1,000,000（百万）、B=1,000,000,000（十億）、を用いた。

巻末付録 CD-ROM

巻末付録 CD-ROM に、各訪問先から受領したプレゼンテーション資料及びプレゼンテーション補足資料をPDFファイルに変換し、収載した(計26個)。なお、各訪問先から受領した資料の内、ホームページからダウンロードできる資料については割愛した。

01. Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)

受領資料なし

02. Biotechnology Industry Organization (BIO)

02-1. BIO Overview

03. National Institutes of Health (NIH)

03-1. NIH Big Data to Knowledge Initiative (BD2K)

04. Critical Path Institute (C-Path)

04-1. Critical Path Institute Overview

04-2. Accelerating Pathways to a Healthier World: The C-Path Paradigm

04-3. Building a Translational Safety Strategy: Review of nonclinical and clinical biomarker qualification efforts in the Predictive Safety Testing Consortium

05. ISIS Pharmaceuticals, Inc.

05-1. ISIS Corporate Presentation: Prepared for Japan Health Sciences Foundation

06. Arena Pharmaceuticals, Inc.

06-1. Arena Pharmaceuticals Company Overview & History

07. California Institute for Quantitative Biosciences (QB3)

07-1. QB3: ucb ucsc ucsf: created to fuel the California bioeconomy

08. Johnson & Johnson Innovation Centers

08-1. Johnson & Johnson Innovation: “The J&J Innovation Centers: Partnering with Academia and Entrepreneurs to Catalyze Innovation”

09. Sanofi

09-1. Sanofi Presentation

10. Pierre Fabre SA

10-1. Pierre Fabre

11. Medicen Paris Region
 - 11-1. Medicen Paris Region: Enabling biotechnology and med-technology in France's capital region
 - 11-2. CURRENT & FUTURE OF OLIGONUCLEOTIDE-BASED THERAPEUTICS: A Broad Platform For Drug Development
 - 11-3. DT01 PRESENTATION: "DT01, a 1st-in-class DNA repair inhibitor to treat resistant cancers"
12. Leiden Bio Science Park
 - 12-1. Leiden Bio Science Park: The Life Sciences hot spot in the Netherlands
 - 12-2. Home to successful life science companies
13. Centro Nacional de Biotecnología (CNB)
 - 13-1. CNB Visit of Japanese Health Science Foundation
 - 13-2. Centro Nacional de Biotecnología
 - 13-3. Perspectives of cryoEM image processing
 - 13-4. Structural biology of viral fibres
 - 13-5. Magnetic nanoparticles as drugs and/or biomolecules tumor-targeted delivery systems for cancer immunotherapy
14. Sylentis S.A.
 - 14-1. Zeltia: Crossing new frontiers in healthcare through innovation
15. UK Trade & Investment (UKTI)
 - 15-1. Unlock Your Global Business Potential: Japan Health Sciences Foundation
 - 15-2. Unlock Your Global Business Potential: The New UK Life Science Prospectus
 - 15-3. Unlock Your Global Business Potential: UK Stratified Medicine
16. Human Induced Pluripotent Stem Cells Initiative (HipSci)
 - 16-1. HipSci Cell Phenotyping group at King's College, London
17. Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA)

受領資料なし

第 1 章 調査の概要

1-1. 調査の目的

平成 25 年度(2013 年度)の国外調査は、「創薬基盤強化の新機軸を探る-核酸医薬の新展開・産学連携の最新動向を中心に-」をテーマに、次ページに示すスケジュールにて、欧米各国の製薬企業、研究機関、及びライフサイエンス関連行政機関等を訪問するものであった。又、その具体的目的は、以下の通りであった。

目的 1:核酸医薬の進展

目的 2:各国のライフサイエンスに関する産学連携の最新動向

目的 3:大手・中堅製薬企業の経営戦略及び研究開発戦略

1-2. 訪問先と主な入手情報

1) Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)

- PhRMA は、一部の企業の色に染まらない業界全体に関する非常に多くの活動を進めており、約 200 人のスタッフは全て PhRMA に雇用されている専属スタッフである。
- 最近、前競争的(Pre-competitive)な提携への関与が増えており、代表的なものとして、Multi- Regional Clinical Trial Center、Regan Udall Foundation、Clinical Trials Transformation Initiatives、Observational Medical Outcomes Partnership Foundation、National Center for Advancing Translational Science、Foundation for NIH、Biomarker Consortium、Alzheimer's Disease Neuro-imaging Initiative 等がある。
- 上記活動の多くにおいて、NIH、FDA とは密接な連携を取っており、患者のためを考えたプロジェクト展開を図っている。
- 去年と今年で、Public-Private Partnership (PPP)に関する landscape analysis を実施しており、間もなく公開されるその報告書の中で、PPP が成功するための秘訣として、明確な目標設定、適正な専門性を持ち影響力のあるメンバーの選定、メンバー全員の参画、オープンな精神による真のパートナーシップの形成、単純かつガバナンスのはっきりした共同体組織の構築、適正な funding、が考察されている。

2) Biotechnology Industry Organization (BIO)

- BIO は、米国内外の 1,000 を越える多くの企業が会員となっている世界最大のバイオ産業業界団体であり、製薬産業を含む、幅広いバイオ産業の推進・発展に取り組んでいる。研究開発型企業が 66%を占め、さらに年商 25M 米ドル以下のバイオテク企業が 92%を占めていることから、これらの会社のニーズを十分に汲み取った種々の活動を展開している。
- BIO の活動の特徴として、Committee Structure があり、会員企業は各社の関心に合わせてそれぞれの Committee に参加し、その活動を通して必要な情報の入手や、政府への提言等をまとめている。
- BIO は、約 160 人のスタッフ(オフィス系業務担当者も含む)を直接雇用し、コンソーシアムによる前競争段階の創薬関連技術の評価・実装、政府バイオ関係補助金・事業支援費の増額を目指したロビー活動、バイオ産業に関する規制改革、会員企業間の交流・連携等

多種多様な業務にあたっている。

- ・ BIO は、コンソーシアム等の枠組みの中で、NIH 等の公的研究機関や FDA 等政府機関との共同研究等に直接取組んでおり、PPP に関する会員企業の実績や米国でのトレンド等も精度高く把握して、その情報発信に努めているようであったが、もともと PPP は、最終的に各企業が判断・実施するものであるため、業界団体として何らかの具体的な方針や推進策等を有しているわけではないようであった。
- ・ 核酸医薬に関して、BIO の直接的な取組みはないものの、会員企業では、RNAi に関する研究開発の割合が増加している。また、会員企業は、BIO の薬事関係の Committee で、FDA の最新情報を入手することができる。

3) National Institutes of Health (NIH)

- ・ NIH Common Fund Program の Big Data to Knowledge (BD2K) Initiative について説明を受けた。
- ・ NIH でのライフサイエンス関連ビッグデータへの取組みは、数年前からの予備的検討を経て、来年度からの本格的始動に向け、急ピッチで実行計画が練られている状況であった。
- ・ 1990 年代より、ライフサイエンス研究・医療分野では、将来 IT 活用が重要になると認識されており、NIH も目的を絞った小規模プロジェクトでの検討を断続的に行ってきたが、当時の当該データは仕様が様でなく、データ活用の目的やゴール設定も明確にし難かったため、大きなプロジェクトとして継続的に取組むには至らなかった。
- ・ しかし、昨今、技術的進展が顕著となり、ビッグデータ活用基盤の整備も進みつつある状況となったことに鑑み、今般、コリンズ長官自らの判断で、7 年間の予定で、年間数 100M 米ドルの資金を投入する大型プロジェクトが動き出すこととなった。
- ・ BD2K Initiative と名付けられたこのプロジェクトでは、分散している情報の単なる統合や既存ツールの改良等を目指すのではなく、データ活用の目的と方策を科学的に検討することを重視しているが、当面の目標は対象とするデータのカatalog作りであり、データの信頼性保証や得られる知的財産の取扱い等については、今後協議することとなっている。
- ・ 本プロジェクトには、NIH 内の複数の研究所が参画し、当該研究所が保有するデータを対象とするが、IT 企業や主要大学等も参画するコンソーシアム形式で運営される予定であり、既に、Key Person を座長としたワークショップの開催等により、今後の具体的計画案に関する協議・パブリックオピニオンの聴取に着手している。
- ・ 世界最大のライフサイエンス拠点として絶大な影響力を有する NIH が、本腰を入れてビッグデータ活用の取組みを開始したことは大いに注目すべきであり、今後どのような成果を産生して行くのか、継続的にフォローして行くべきである。

4) Critical Path Institute (C-Path)

- ・ C-Path は、40 人弱のスタッフからなる小規模の NPO ながら、新たな医薬品評価基準の確立等、前競争段階・非競争機能での医薬品研究開発・承認プロセスの効率化・迅速化に繋がる各種検討を国際的コンソーシアム形式で進めており、現時点では、複数のコンソーシアムが活動中である。
- ・ C-Path の運営資金は、FDA 等からのグラント、各種慈善財団・患者団体からの支援資金、

コンソーシアム会員企業からの会費等で構成されており、結核治療の改革を目指したコンソーシアムである CPTR イニシアティブにおいては、ゲイツ財団から多大な経済的バックアップを受けている。

- ・ 活動中のコンソーシアムは、何れも医薬品研究開発・承認プロセスに関する問題・課題を解決するための取組みであり、目的やゴールも明確で、多くの企業が能動的に参画しているようであった。
- ・ 複数のコンソーシアムで、規制当局との連携・協業も積極的に行っており、これまでの成果が FDA や EMA に採用されていること等から、規制当局からも高く評価されていることが伺われるが、PMDA との連携・協業は限定的であり、今後の関係強化を大いに期待しているとのことであった。
- ・ C-Path の今後の Key challenge として、多忙な関係者からの協力・支援を如何に確保するか、十分なスタッフ維持のための資金確保、規制プロセスや先端科学の教育、コンソーシアムメンバーの意見調整などを挙げている。

5) ISIS Pharmaceuticals, Inc. (ISIS)

- ・ ISIS は 1989 年に設立され、一貫してアンチセンス医薬の研究開発を継続している。
- ・ 同社が開発した、第 1 世代の修飾核酸(Phosphorothioate 型)である alicaforsen が 2008 年 6 月に希少疾患である回腸囊炎を適応に、第 2 世代(2'-methoxymethyl 型)である mipomersen が 2013 年 1 月にホモ型家族性高コレステロール血症を適応に FDA より承認されており、核酸医薬のパイオニア企業である。
- ・ スタッフは現在 350 人ほどで、今後も POC を確認後にライセンスアウトする現在のビジネスモデルを継続し、規模は拡大しない方針である。
- ・ 修飾核酸に関する多くの特許を有し、現在、第 2 世代から半歩進んだ第 2.5 世代の修飾核酸を中心に研究を進めている。
- ・ 創薬を目指す疾患領域は、心血管系疾患、難治・希少疾患、代謝性疾患、がん、炎症その他の疾患であるが、特に領域を特定せずアンチセンスが有効とされる疾患を貪欲に攻めているようである。
- ・ 将来を見据えた活動として、Biogen IDEC と、中枢領域において創薬初期段階から戦略的に提携している。
- ・ ISIS の本社・研究所は、サンディエゴ郊外の小高い丘の上にあり、環境を重視しつつ、研究者同士の交流に配慮し、研究に専念できる環境と研究者の活発な交流を意図したデザインとなっている。

6) Arena Pharmaceuticals, Inc.

- ・ Arena Pharmaceuticals は、1997 年に設立され、2000 年に Nasdaq に上場した、G タンパク質共役受容体(GPCR)を標的とする創薬を行なうバイオテク企業であり、従業員数は約 230 名である。
- ・ 独自に確立した GPCR のスクリーニング系を用いた創薬で実績を重ね、セロトニン受容体アゴニストの抗肥満薬 lorcaserin が 2012 年に FDA 承認を取得し(抗肥満薬として 13 年ぶりの認可)、6 つの医薬品候補化合物が臨床開発段階にある。販売提携先のエーザイが米

国販売を行っている。

- ・ プロジェクトの研究開発の進捗に合わせ、合成、薬理、動態、毒性等の研究機能を立ち上げ、さらに、スイスの製造工場を買収して、100%子会社を設立した。
- ・ 研究は、GPCR を標的とした循環器、中枢、炎症等に注力し、開発は、Phase3 まで自社で行う方針を取り、約 1.5 年に一つのパイプラインを上市できる研究開発能力を有している。
- ・ 研究開発の意思決定では、初期研究テーマと創薬プロジェクトで異なるスキームを取り、初期研究テーマでは、主要な研究者を中心に、進捗等を管理し、ディスカッションをもとに方向を決定し、創薬プロジェクトでは、主要な研究者と関連部署 (CMC、毒性、ADME 等) から成るコミッティーを組織して意思決定を行なう。
- ・ lorcaserin の日米での販売を行うこととなったユーザイを始め、大正、アステラス等の日本企業との提携が多く、Lilly や Merck 等の欧米企業、韓国 Ildong、台湾 CV Biotech 等のアジア企業との提携実績を有するが、アカデミアとの提携は積極的に行なっていない。

7) California Institute for Quantitative Biosciences (QB3)

- ・ 2000 年 12 月、当時のカリフォルニア州知事 Gray Davis は、同州が世界のハイテクリーダーであり続ける事を意図し、カリフォルニア大学各校の研究基盤と知財を活用した産学連携構想 California Institute for Science and Innovation を発表した。この構想に基づいて設立された 4 つのプロジェクトの 1 つで、ライフサイエンス分野をカバーしているのが QB3 である。
- ・ QB3 に参画しているのは、サンフランシスコ校、バークレー校、サンタクルーズ校の 3 校であり、サンフランシスコ校がリーダーを務めている。
- ・ QB3 が目指しているのは、Genentech のような業界をリードするバイオテック企業の創出・育成であり、Start-up 企業に対して、法務、人事、財務、知財等の専門家を紹介したり、起業家としてのトレーニング、外部提携に関するコンサルティング、研究室の提供、試薬機器類購入等に関するサポートも行っている。
- ・ 資金面に関しては、Mission Bay Capital がベンチャーキャピタルとして機能しており、11.3M 米ドルの資金量を持ち、既に 11 社に投資している。
- ・ 2006 年よりインキュベーター施設の運営を始め、現在、5 つの施設に 62 社が入居中である。
- ・ 過去 12 年間で 156 社を立ち上げ、内 36 社は operational な企業に成長、これらの企業は 370M 米ドルの資金を獲得し、400 人以上の雇用を創出した。
- ・ 産学連携に関しては、Pfizer、Novartis、Roche、Bayer、J&J 等の製薬企業を含む 100 以上の企業との提携が実現しており、Pfizer は 3.5M 米ドル/年を提供している。

8) Johnson & Johnson Innovation Centers (JJIC)

- ・ JJIC は、「新しい方法で社外イノベーターとネットワークを築くことにより J&J のイノベーションを活性化する」という、J&J の CSO の提案が認められ、旧 The Corporate Office of Science And Technology (COSAT) も取り込んで設立された。
- ・ 「新しい方法」で取り組むという意識を保つため、社員に固有のデスクがないことや、多くの機会を通じて地域との交流を深める等の取り組みを行っている。

- JJIC は、医薬品、医療機器、診断薬、消費財における社外イノベーションを発掘・育成し（医薬品では早期研究から POC まで）、J&J 本体へ引き継ぐことをミッションとしている。
- ボストン、サンフランシスコ、ロンドン、上海に 4 つのセンターを設立し、各地域のアカデミア研究者、ベンチャー研究者、コンソーシアムスタッフ、投資家等との協力関係を構築し、早期研究段階からの関与による成功確率の向上、幅広いイノベーション機会の探索を目的としている。
- 疾患領域別にアサインされたリーダーが、各案件のプレスクリーニングと評価の社内コーディネートをを行い、いずれのプロセスもスピードを重視している。
- JJIC には、経験豊富な研究者、開発スタッフ、アライアンススタッフ、法務・知財スタッフがおり、社外に対して、メンターシップ、インキュベーター、投資やライセンスなど提供している。
- サンフランシスコの JJIC は、科学的評価、New Ventures & Transaction、投資、管理等の担当者から成る 25 人で運営されており、半数以上を外部から採用し、多様な経験・専門性から様々な視点でイノベーションを評価・検討することで、質の高い評価が可能になると考えている。

9) Sanofi

- Sanofi は、数年前に経営方針を変更し、製薬企業から治療ソリューションを多角的に提供するグローバルヘルスケア企業となった。特許切れ、R&D 生産性の低下、欧米先進諸国の医療改革の三大要因から成る製薬産業の環境変化に対応するため、GROW（成長基盤）、INCREASE（R&D の革新）、SEIZE（外部機会の獲得）、ADAPT（世界市場の構造変化への適合）の 4 つの基本戦略を打ち出した。
- 成長基盤については、新興市場、糖尿病治療製品（医薬品以外を含む）、ワクチン、コンシューマーヘルス、動物用医薬品、ジェンザイム（希少疾患、多発性硬化症等）、その他革新的製品から成る 7 分野を中核としている。
- R&D の革新のため、トランスレーショナルメディシンとオープンイノベーション、及びその融合に取り組んでおり、トランスレーショナルメディシンでは、疾患及び患者の理解を重視し、オープンイノベーションでは、アカデミア、ベンチャーキャピタル、バイオテック企業、製薬企業、患者団体等の様々な外部機関と共同研究・開発、投資、M&A 等の多様な枠組で連携している。
- 主要領域は、がん、ワクチン、糖尿病、希少疾患、多発性硬化症、免疫、心血管、加齢性神経変性疾患、眼科、感染症（一時期撤退したが復帰）、動物医薬、その他、の 12 領域である。
- 研究開発の外部連携は、フランス及びドイツの欧州 2 大研究拠点、Genzyme と統合したボストン研究拠点、上海の研究拠点をハブとして行っており、日本は上海拠点がカバーしている。
- 研究開発投資は、成長基盤としている確立した疾患領域に対して 40%、次世代の成長基盤に対して 40%、さらに、ハイリスクな革新的な機会に対しても 20%の割合を配分している。
- 世界市場の構造変化への対応としては、新興国の疾患ニーズに沿った R&D を行ってい

る。

- ・ Genzyme については、希少疾患等の強みのある分野は残した上で Sanofi のリソースも統合して強化し、がん領域等の Sanofi が強い分野については Sanofi へ統合した。

10) Pierre Fabre SA

- ・ Pierre Fabre は、Pierre Fabre 氏により 1961 年に設立されて以降、継続的・発展的に医薬品事業を展開して来た。
- ・ 同社の昨年（2019 年）の総売上高は 1,978M ユーロであり（47%が医薬品、53%が皮膚用化粧品）、フランスの製薬企業として国内 3 位、皮膚用化粧品やオーラルケアの事業規模は欧州最大である。フランス国内以外に他のヨーロッパ諸国や南米等に販売網を持ち、売上高の約 50%がフランス国外であるが、今後はさらに新興国への進出を図り、2020 年には売上高 3,800M ユーロを目指している。
- ・ 医薬品の研究開発には資源を惜しみなく投入しており、昨年の研究開発費は医薬品売上高の約 17%（159M ユーロ）で、がん領域を最優先として約 50%の研究開発費を配分しているが、これ以外に皮膚疾患領域、中枢神経領域、婦人科領域に重点を置いている。
- ・ 創業者である Pierre Fabre 氏が本年 7 月に他界した後も経営は順調で、当面はこれまでと同様の企業理念・方針にて、既存路線を邁進するとのことであった。
- ・ 中堅製薬企業が生存するには、自社の特徴・強みを徹底的に活かすこと、常に迅速な判断を心掛けること、深くて長い付き合いができるよう外部との関係を大事にすること、身丈にあった規模で事業展開すること、が重要と考えているとのことであった。
- ・ PPP や国内外他社とのアライアンスも積極的に行っており、特に、日本企業に対しては大変好印象を持っており、今後もパートナーとして関係を維持・強化していきたい意向である。
- ・ 抗体医薬品の品目数を 3 品目から 5～6 品目へ増やす予定であり、共同開発パートナーとなる企業を探しているとのことであった。

11) Medicen Paris Region (MPR)

- ・ MPR の概要及び PPP に関する活動、及び、MPR 支援先の核酸医薬バイオテック企業の DNA Therapeutics 及び Genethon の事業について説明を受けた。
- ・ MPR は、フランス政府が産業競争力向上のために 2005 年に認可したパリ地域圏のバイオ・医療産業クラスターであり、フランスのバイオ・医療産業クラスターで最大規模を誇り、イノベーションの創出、国際的バイオ・医療産業の集積・発展を目指している。職員数は 12 名で、政府からの支援と参加機関からの会費等を基に組織を運営している。
- ・ パリ地域圏は、パスツール研究所等の主要研究機関、9つの大学、4つのサイエンスパークがある他、39 の病院、24,000 床から成る欧州最大の病院ネットワークが立地し、Sanofi、Ipsen、Servier 等のフランス大手製薬企業に加え、フランスバイオテック企業の約 50%、GE Healthcare 欧州拠点も立地し、ライフサイエンス・創薬に関する PPP では欧州最適な地域の 1 つである。
- ・ MPR の PPP の事業は、トランスレーショナルリサーチ、イメージングツール、バイオ医薬品、バイオ IT 等に集約しており、がん、中枢神経系、感染症、循環器代謝等の疾患領域に強

みを持っている。

- PPP 事業として、2006～2012 年に 744M ユーロの研究資金（公的資金と企業出資のマッチング）を獲得し、206 件を支援したが、この内、21 件のプロジェクトが終了し、48 件の特許を取得、14 製品（イメージング、メディカルデバイス、バイオリジカルツール分野）が製品化されている。
- DNA Therapeutics は、MPR が支援している DNA 二本鎖切断修復を阻害する短鎖二本鎖 DNA を用いた医薬品開発を行うバイオテック企業で、黒色腫を適応とするプロジェクトを Phase I 開発中である。
- 同じく、Genethon は、希少疾患を適応とする遺伝子治療医薬品の開発を行うバイオテック企業で、ex vivo 型では Wiskott-Aldrich 症候群プロジェクト、in vivo 型では γ -サルコグリカン異常症プロジェクトが臨床開発段階にある。

12) Leiden Bio Science Park (LBSP)

- LBSP は、120 エーカーの用地を有する欧州最大規模のライフサイエンス系サイエンスパークであり、振れることなく、バイオメディカル・ライフサイエンスのみに注力して、企業の新設・運営の支援、既存企業に対するビジネスチャンスの提供を行って来た。
- LBSP は、オランダ屈指の学術都市であるライデン市中心部にあり（ライデン駅に隣接）、スキポール空港から鉄道で 15 分、車で 30 分程度の距離にあり、海外からのアクセスは非常に便利である。
- LBSP 内には、約 100 社のライフサイエンス関連企業があり、アステラス製薬、Janssen Biologics、Crucell、Millipore、Galapagos 等、著名なライフサイエンス系企業が本社・研究拠点を置いている。
- LBSP では、約 15,000 人が働いており（医療従事者：約 6,700 人、企業：約 4,250 人、大学等：約 2,700 人等）、進出企業の増加、医療センターの拡張等により、2025 年には 25,000 人に増加する計画である。
- LBSP の最大の特徴は、進出企業に対する親身で継続的な支援・協力であり（例：製薬企業の進出に合わせ、大学が有する各種計測・分析機器の利用の幅を拡張したり、各種研究開発業務受託企業の進出を実現したりしている）、それが既に進出した企業の高い評価に繋がっているものと思われた。
- オランダ政府による R&D 優遇政策や大型で先端的な医療機関である Leiden 大学医療センターにおいて、トランスレーショナルリサーチや分子画像診断・解析等の分野で企業との連携が常時可能な状況にあることも、医薬品・医療機器の開発を目指す企業にとって魅力的であるものと思われた。
- オランダ国内においてもバイオクラスター間の競争が激しくなっている。首都のアムステルダム地域、ドイツ国境に近い西側地域の方が財務的に潤っており、資金的支援が充実しているが、LBSP は、それ以外の支援で対抗しているようであった。

13) Centro Nacional de Biotecnología (CNB) / 英名 : The Spanish National Centre for Biotechnology

- CNB は、1992 年に設立されたスペイン国立のバイオ研究拠点で、大学ランキングでスペイ

ン 1 位のマドリッド・オートノマ大学キャンパス内にあり、新設したシステムバイオロジーを含めた 6 つの Department の 68 研究室に、約 600 名の研究者・サポートスタッフ等が所属している。

- ・ CNB の重要な使命の 1 つは、研究成果の社会還元であり、毎年行っている研究テーマ及び獲得成果のレビューにおいては、これを強く意識し、論文・学会発表や特許出願のみではなく、より幅広く、社会全体への貢献の程度を評価に組み入れているとのことであった。
- ・ ポスドクを中心とする若手研究者の育成にも注力しており、国外からも多くの若手研究者が留学しており、研究員あたりの論文・学会発表件数(昨年実績で 1,153 件)では、国際的にも高い水準にある(スペインでは 3 位、全世界では 49 位)とのことであった。
- ・ 今回の訪問では、研究所長から直接概要や運営方針等を説明して頂くとともに、各研究分野のヘッド及び各研究室長(教授)から、多くの興味深い研究の紹介を受けた。AIDS やインフルエンザに対するワクチンの研究、がん細胞の脂質代謝異常に着目した新規癌治療法に関する研究等では、ユニークで独自性の高い研究が進められており、新たなブレイクスルーが生まれる可能性を感じた。

14) Sylentis S.A.

- ・ Sylentis は、2006 年、スペインの化学・医薬品企業である Zeltia Group が設立した siRNA を用いた核酸医薬の開発に特化したバイオテック企業である。
- ・ 患者の QOL を改善する新たな治療法の発見・開発・実用化をミッションとし、有効な治療法が存在しない疾患を主たる標的としている。
- ・ 現在臨床開発している治療薬は、高齢化に伴って患者数が増加している緑内障・ドライアイ症候群を対象とするものであり、慢性炎症領域(炎症性腸疾患、関節炎)や中枢神経系領域(脳血流不全、認知症)において、非臨床段階のプロジェクトを有している。
- ・ 当面、対象とする疾患は、全身投与を必要としない眼科領域、慢性炎症領域、中枢神経系領域の一部となるが、将来的には、siRNA を全身投与するための核酸修飾技術・製剤技術にも取り組む予定である。
- ・ 対象疾患の選択やプロジェクトの優先度判断等は、シニアメンバーが協議して迅速に決定することとしており、僅か 16 名の実働スタッフにて、外部委託先を活用しつつ効率的に研究開発を進めている。
- ・ 核酸医薬に取り組んでいる他のバイオテック企業との明確な違いは、現時点で修飾核酸での開発を考えていない点である。その目的は、修飾に伴う未知の代謝産物等による副作用発現のリスク、オフターゲットへの非特異的作用が増強されるリスクを回避することである。

15) UK Trade & Investment(UKTI)

- ・ UKTI のライフサイエンス産業政策への取組みについて説明を受けた。
- ・ UKTI は、英国企業の国際的事業拡大・発展を支援する英国政府機関であり、国外企業の英国進出や既に英国に拠点を有する企業の英国内での事業拡大に対する支援も行なっている。
- ・ UKTI では、ライフサイエンス産業、特に製薬産業が英国の国益にとって非常に重要との認識に従い、その進展・拡大のために様々な取組みを実施しており、そのスタッフ数は約

2,280 人(海外 1,230 人、英国内 640 人、英国領内 410 人)、年間予算は約 85M 英ポンドとのことであった。

- ・ 昨今、欧州においても、ライフサイエンスビジネスの育成・強化に注力している国が増えていくが、英国は、税制面での優遇処置、NHS(ナショナルヘルスサービス)で蓄積している各種データや医療機関のネットワークを活用できること、Research Charities(例 Cancer Research Fund など)の充実等から、ドイツ、フランス、スウェーデン等に対して優位にあると認識している。
- ・ 2011 年 5 月に公表された 5 ヵ年計画「Britain open for business」でも取上げているように、UKTI では、これまで大企業中心であった企業の海外展開支援を中小企業にも拡大し、特に、国際的にも通用する革新的技術を有すると判断された中小企業に対しては、選択的に経済的支援を実施することにした。
- ・ 今回、主たる対応を取って頂いた Dr. Mark Treherne は、昨年、UKTI の組織改編とともに新設されたライフサイエンス投資部門の責任者(Chief Executive)であるが、これまでの職歴は、ファイザーや中小バイオテック企業等の製薬関連企業中心であり、初めて公的機関で勤務することになったとのことであった。
- ・ 我が国においても、このような民間人材の抜擢等により、より企業にとって現実的で効果的な政策を検討・実施できる体制を構築する等、参考にすべき点が少なくないと思われる。
- ・ 2012 年 英国の保険医療政策として dementia への challenge をキャメロン首相がアナウンスし、2015 年までに dementia care & research への予算を付ける方針を打ち出している。

16) Human Induced Pluripotent Stem Cells Initiative(HipSci)

- ・ HipSci は Wellcome Trust や Medical Research Council(MRC)からの資金提供を元に、昨年からはまった英国での新たな再生医療関係の取り組みであり、高質な iPS 細胞の収集とカタログ化を目指している。当面、英国内の 800 人の健常人と 700 人の患者から、iPS 細胞を樹立する予定で、現在、実施基盤の整備を進めている状況である。
- ・ 今回、HipSci を紹介して頂いた Dr. Danovi の研究グループ(HipSci Cell Phenotyping group)は、King's College の Guy's Hospital に昨年設置されたばかりで、現在 8 名の研究員で構成されており、その主たる研究目的は、正常細胞が病的状況に変化する際の細胞や細胞質内オルガネラの形態・生化学的変化を見つけだし、疾患発症のメカニズム解明に結びつけることである。
- ・ Cell Phenotyping 以外の HipSci の具体的な取り組みは、Wellcome Trust Sanger Institute のゲノミクス、Dundee 大学のプロテオミクス、EMBL-European Bioinformatics Institute のデータマネージメント等であり、企業の参画に関しては、最近、協議を始めたばかりである。
- ・ iPS 細胞の標準化や規格設定に関しては重要な課題となるが、具体的な方針は協議中である。
- ・ HipSci の運営費用は、2015 年までの 4 年間の総額で 30.5M 英ポンドとなっており、今後、京大の山中教授を始めとする他国専門家との共同研究も積極的に検討して行きたいとの意向であった。
- ・ 英国では NHS(国営医療サービス)が充実しており、これによって、研究者や臨床医が、患者やその臨床データに容易にアクセスできる。このことが、英国で疾患関連 iPS 細胞研究

を実施しやすい理由となっているとのことであった。

17) Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA)

- MHRA の核酸医薬に対する薬事規制の考え方について説明を受けた。
- 核酸医薬に関する薬事規制に関しては、日米欧での見解・判断の相違が散見されているが、MHRA では、全合成で製造する限り、原則、核酸医薬は、低分子医薬品と同じ規制を適応するとの明確な方針を有していた。
- しかしながら、MHRA の核酸医薬に関する評価経験は極めて限られており、今後、予期せぬ問題が起きる可能性もあるため、当面は、1 つ 1 つの案件を慎重かつ詳細に評価して行くとのことであった。
- 核酸医薬の評価において、現時点で MHRA が最も注意しているのは、その純度と不純物が有する非特異的薬理作用である。
- EMA と同様、当面、MHRA も核酸医薬に特化したガイダンスやガイドラインを作成する予定はないが、作成の必要が認められた場合は、速やかに対応できるようにしておきたいとのことであった。

1-3. 調査団メンバー

調査団メンバーは、情報委員会・国外調査ワーキンググループ(WG)メンバー及び事務局で構成される以下 9 名であった。

団長/WG リーダー	佐 藤 督	第一三共株式会社	研究開発本部
	池 田 陽 子	大正製薬株式会社	薬制部
	川 西 政 史	大正製薬株式会社	医薬事業企画部
	松 本 正	株式会社レクメド	代表取締役社長
	柏 純 子	株式会社レクメド	創薬事業グループ
	鈴木 規 由	株式会社レクメド	創薬事業グループ
	佐々木 徹	(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部
	井 口 富 夫	(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部
	加 藤 正 夫	(公財)ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部

1-4. 調査日程

月日 (曜日)	訪問都市	訪問先
10月21日 (月)	Washington DC, USA	1. PhRMA 2. Biotechnology Industry Organization (BIO)
22日 (火)	Bethesda, USA	3. National Institutes of Health (NIH)
23日 (水)	Tucson, USA	4. Critical Path Institute (C-Path)
24日 (木)	San Diego, USA	5. ISIS Pharmaceuticals, Inc. 6. Arena Pharmaceuticals, Inc.
25日 (金)	San Francisco, USA Menlo Park, USA	7. California Institute for Quantitative Biosciences (QB3) 8. Johnson & Johnson Innovation Centers
26日(土) /27日(日)	(移動日)	
28日 (月)	Paris, France	9. Sanofi 10. Pierre Fabre
29日 (火)	Paris, France	11. Medice Paris Region
30日 (水)	Leiden, Netherlands	12. Leiden Bio Science Park
31日 (木)	Madrid, Spain	13. Centro Nacional de Biotecnología (CNB) 14. Sylentis
11月1日 (金)	London, UK	15. UK Trade & Investment (UKTI) 16. Human Induced Pluripotent Stem Cells Initiative (HipSci) 17. MHRA

1-5. 調査協力者(敬称略)

- ・ 塚本 芳昭／一般財団法人バイオインダストリー協会(JBA) 業務執行理事 専務理事／
BIO、PhRMA
- ・ 森下 節夫／一般財団法人バイオインダストリー協会(JBA) 事業連携推進部 次長／
BIO、PhRMA
- ・ James C. Greenwood／President and CEO, Biotechnology Industry Organization／BIO
- ・ Joseph Damond／Senior Vice President, International Affairs, Biotechnology
Industry Organization／BIO
- ・ Ira Wolf／Japan Representative, Pharmaceutical Research and Manufacturers of America
(PhRMA)／PhRMA
- ・ Tina Chung, MPH／Program Officer for Asia and the Pacific, Division of International
relations, Fogarty International Center／NIH
- ・ 碓井 悦子／ノバルティスファーマ株式会社 薬事部レギュラトリーポリシー担当マネージャー
／C-Path
- ・ Steven T. Broadbent／Chief Operating Officer, C-Path／C-Path
- ・ Jack Lief／Co-Founder, Chairman, President and Chief Executive Officer,
Arena Pharmaceuticals, Inc.／Arena Pharmaceuticals, Inc.
- ・ Catherine Sharpe／FibroGen, Inc.／QB3
- ・ 島田 秀孝／サノフィ株式会社 渉外本部長／Sanofi
- ・ 西原 朗／協和発酵キリン株式会社 事業開発部 マネージャー／Pierre Fabre
- ・ 水田真紀／在日フランス大使館 企業振興部 ライフサイエンス担当／Medicen Paris
Region
- ・ Nettie Buitelaar, Ph.D.／Managing Director, Leiden Bio Science Park Foundation／Leiden
Bio Science Park
- ・ 武井 尚子／駐日英国大使館 貿易・対英投資部 ライフサイエンス 対英投資上級担当
官／UKTI、HipSci、MHRA
- ・ 越川 麻子／駐日英国大使館 貿易・対英投資部 ライフサイエンス 対英投資副担当官／
UKTI、HipSci、MHRA

注：調査協力者は訪問までに調整等にご協力いただいた方々を掲載した。

調査協力者の記載情報は、氏名／所属等／協力をいただいた訪問先、の順に記載した。

第 2 章 訪問先別調査結果

2-1. Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)

Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)

米国研究製薬工業協会

所在地： 950 F Street, NW Suite 300 Washington DC 20004, USA

電話： +1 202 835 3404

FAX: +1 202 715 7086

Homepage: www.phrma.org/

面談日時： 2013 年 10 月 21 日(月) 10:00～11:00

面談場所： 上記所在地

面談者： Salvatore Alesci, MD, Ph.D.
Vice President, Scientific Affairs

Contact Person: Salvatore Alesci, MD, Ph.D.
Vice President, Scientific Affairs

面談目的：

以下の項目に関する調査、情報収集を行うこと。

- ・ 米国における産学連携に関する PhRMA の対応方針、姿勢

説明内容：

1. PhRMA の概要

- ・ Salvatore Alesci 氏より説明を受けた。同氏はイタリアで Ph.D.、M.D.取得後、1998 年に渡米、NIH で 8 年間、医学基礎研究に従事した後、Wyeth Pharmaceuticals で translational research のリーダーとして 4 年間在職後、Merck に移り早期臨床試験を担当。2011 年に PhRMA に加わり、Vice President, Scientific Affairs として活躍中である。
- ・ PhRMA は 1958 年に”Pharmaceutical Manufacturers Association”として設立され、1994 年に現在の名称、“Research”の追加されたもの、に変更された。
- ・ 現在の PhRMA のミッションは以下に記載のごとく、名称変更を反映して、新薬の研究開発に重きを置いたものとなっている。

PhRMA's mission is to conduct effective advocacy for public policies that encourage discovery of important new medicines for patients by pharmaceutical and biotechnology research companies. To accomplish this mission, PhRMA is dedicated to achieving these

goals in Washington, the states and the world:

- Broad patient access to safe and effective medicines through a free market, without price controls;
- Strong intellectual property incentives;
- And transparent, effective regulation and a free flow of information to patients.
- 現在の会員は 45 社。内 29 社は年商 500M 米ドル以上の Full Member 会社、16 社は年商 500M 米ドル未満の比較的新しい Research Associate Member 会社に分けられている。
- PhRMA は、一部の企業の色に染まらない業界全体に関する非常に多くの活動を進めており、約 200 人のスタッフは全て PhRMA に雇用されている専属スタッフである。

2. PhRMA が関与する Public-Private Partnership (PPP)

- 最近、前競争的な提携 (pre-competitive collaboration) への関与が増えており、PhRMA が関与するもので代表的なものとして、Multi-Regional Clinical Trial (MRCT) Center、Clinical Trials Transformation Initiatives (CTTI)、Observational Medical Outcomes Partnership (OMOP) Foundation、Biomarker Consortium、Alzheimer's Disease Neuro-imaging Initiative (ADNI)、California Partnership for Access to Treatment (CPAT) 等がある。
- Multi-Regional Clinical Trial (MRCT) Center
 - 設立: 2009 年
 - メンバー: Harvard 大、PhRMA、製薬企業、病院、慈善団体
 - 活動: 国際共同臨床試験や translational research のルール、基準作り
- Clinical Trials Transformation Initiatives (CTTI)
 - 設立: 2007 年
 - メンバー: Duke 大、FDA、PhRMA、製薬企業、アカデミア、病院
 - 活動: 臨床試験の質向上を目指した調査、意見交換、提言
- Observational Medical Outcomes Partnership (OMOP) Foundation
 - 設立: 2008 年
 - メンバー: Foundation for NIH (FNIH)、FDA、PhRMA、製薬企業
 - 活動: 医薬品とそのアウトカムの関係を観察研究で明らかにする
- Biomarker Consortium
 - 設立: 2007 年
 - メンバー: NIH、FNIH、FDA、PhRMA、製薬企業、BIO、各種 NPO
 - 活動: 新規バイオマーカーの探索と検証
- Alzheimer's Disease Neuro-imaging Initiative (ADNI)
 - 設立: 2004 年
 - メンバー: FNIH、製薬企業、Alzheimer's Association
 - 活動: 画像解析を中心にしたアルツハイマー病の発症の客観指標の標準化
- California Partnership for Access to Treatment (CPAT)
 - 設立: 2005 年
 - メンバー: PhRMA、製薬企業、医療機関、患者団体、教会、各種団体、個人