

## IMI's flexible intellectual property policy

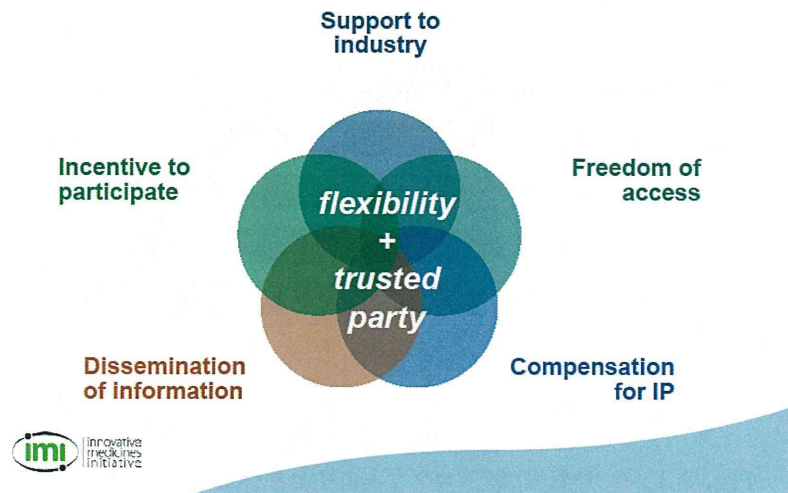


Fig. 2-15-4 IMIにおける知財取り扱いの原則（受領資料より）

### 3. IMIのこれまでの成果

- ・ プログラムが成功したかどうかの判断材料としては、IMIのプログラムにより科学面の改善が decision making にどれだけ貢献したか、例えば、以下のような進展があったかどうかを見ている。新しいモデルや評価系の開発を目的とするプロジェクトでは、新しい評価系と評価基準が設定され、次いで、企業により実践されたかどうか、最終的には規制面のガイダンスへの反映がなされたかどうかを見ている (Fig. 2-15-5)。

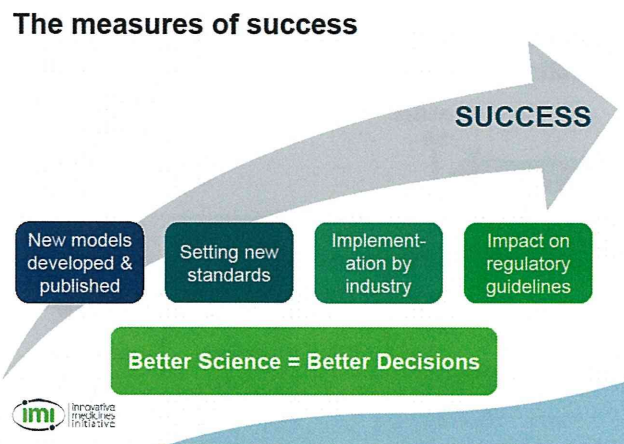


Fig. 2-15-5 プログラムの成功不成功の判断基準（受領資料より）

- ・ また、IMI各プログラムより公開された論文の質も評価基準になるが、Citation IndexはFNIH (Foundation for NIH) や Wellcome Trustのそれを上回っている (Fig. 2-15-6)。

## IMI projects deliver excellent science

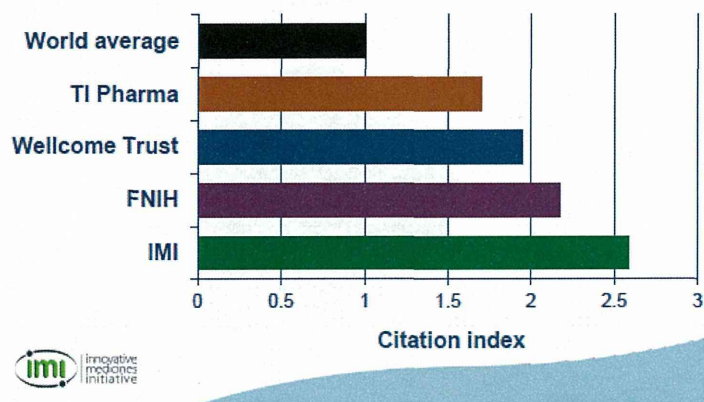


Fig. 2-15-6 IMI の諸プログラムより出された論文の質 (受領資料より)

- 成功事例の個別例としては以下が挙げられる。
  - Schizophrenia の臨床試験 (67 試験) の統合データベースを構築した。
  - 安全性: 537 化合物の毒性データベースを構築した。
  - European Lead Factory: 感染症の IMI プログラムの ENABLE と共同で数化合物を前臨床段階まで推進した (Fig. 2-15-7)。

## IMI's drug discovery platforms

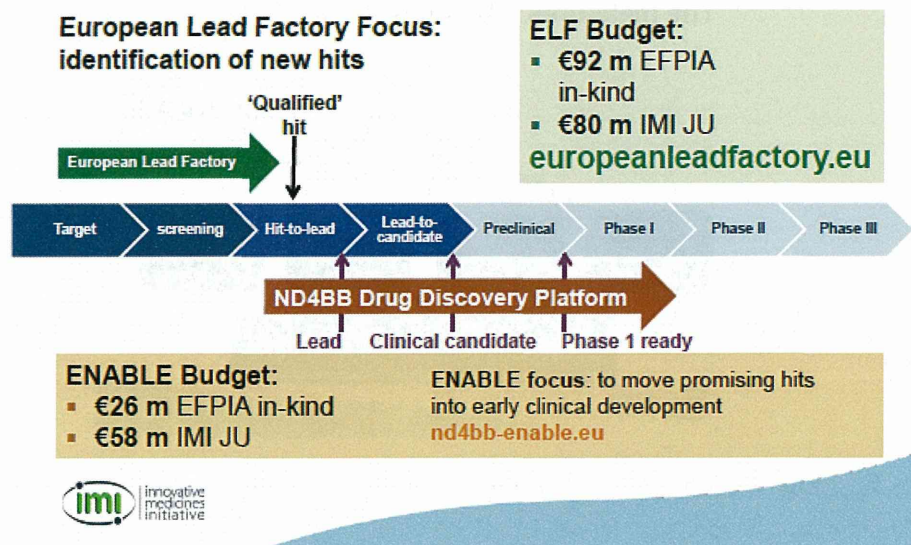


Fig. 2-15-7 European Lead Factory (ELF) と ENABLE の協働体制 (受領資料より)

### 4. IMI 2

- 2013 年にプログラムインプットが終了した IMI (IMI 1) の後継プロジェクトとして、IMI 2 が 2013 年より開始されている (Fig. 2-15-8)。予算は IMI 1 と同レベルで、EU が 1.6B ユーロ、

EFPIA が 1.4B ユーロ、他産業が 0.2B ユーロをそれぞれ拠出する。

- ・ 個別化医療と医療の優先度(予防医療か治療か)に焦点を当て、ライフサイエンス以外のセクターの参加も可能となっている。IMI 1 では対象外であった医療機器の開発も視野に入ってくる。
- ・ 現在、開始されたプログラムは2つのみであるが、年内にあと2つ立ち上がり、さらには緊急の課題として Evora 出血熱関係のプログラムも準備されているところである。

## IMI 2 – building on successes of IMI1

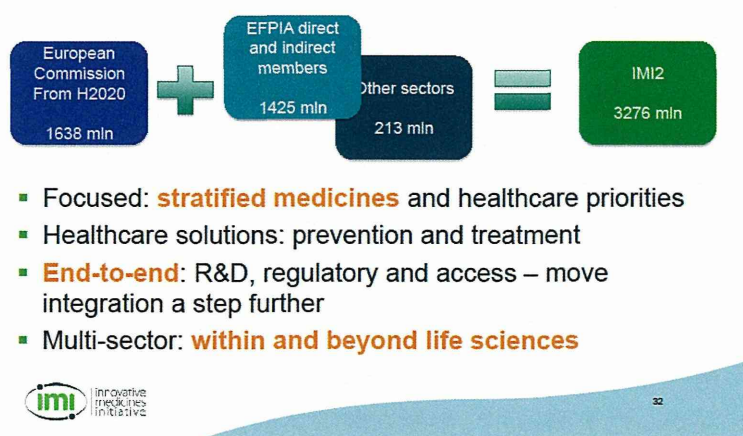


Fig. 2-15-8 IMI 2 の概要 (受領資料より)

### 5. 個別プログラムの紹介

- ・ 以下のプログラムについて個別に紹介を受けた。
  - がん: ONCOTRACK、PREDECT、QUIC-CONCEPT、MARCAR
  - 感染症(耐性菌克服): ND4BB、COMBACTE、ENABLE、TRANSLOCATION
  - 感染症(結核): PREDICT-TB
  - 幹細胞研究: EBiSC、STEMBANCC
  - 患者団体支援: EUPATI

#### ① ONCOTRACK

- 2011年に開始。EFPIA 会員 7 社、アカデミア 8 機関、中小サイズ企業 3 社が参画。
- システムバイオロジーによりがん領域での新規診断用、薬効予測用バイオマーカーを探索する。
- 100 例超の大腸がん患者由来の組織の多層オミックス解析データ及び患者組織を移植した Xenograft モデルでの各種抗がん剤に対する感受性のデータを元に、in silico のモデル(ModCell™)を構築、新規バイオマーカー探索及び薬効予測のツールとする。

#### ② PREDECT

- 2011年に開始。EFPIA 会員 7 社、アカデミア 9 機関、中小サイズ企業 3 社が参画。

- がんの病態を反映した再現性と予測性を持つ新規な *in vitro* 及び *in vivo* 薬効評価系あるいは創薬標的分子の検証系の構築を目指す。
- 具体的には、3次元培養系の最適化、トランスジェニックマウスの活用などを試みている。
- モデル系での多層オミックス解析データをシステムバイオロジーからのアプローチで解析することにより、*in silico* での創薬標的分子の妥当性検証にも挑戦する。

### ③ QUIC-CONCEPT

- 2011年に開始。EFPIA 会員 8社、アカデミア 13機関、中小サイズ企業 1社、非営利団体 1団体が参画。
- がんの画像バイオマーカーを探索する。PET、MRI、CT 技術を駆使しがん細胞の増殖、ネクロシス、アポトーシスを検出できる画像解析手法を確立する。
- 現在は動物モデルでの検討を行っているが、2016年に Phase1 臨床試験で使用される事を目標としている。

### ④ MARCAR

- 2010年に開始。EFPIA 会員 5社、アカデミア 6機関、中小サイズ企業 1社が参画。
- 抗がん剤の non-genotoxic な発がん性を検出できるバイオマーカーを探索する。
- 早期の発がん性予測により、無駄な動物実験を省略できるようにする。
- エピジェネシスや microRNA からのアプローチを進めている。

### ⑤ ND4BB

- 薬剤耐性菌の脅威、欧州では年間 25,000人が死亡、経済損失は 1.5Bユーロに達すると言われているが、新規な抗菌剤の開発が停滞、この 30年間に 2剤が承認されたのみである。この現状を鑑み、2011年に EU では 12の Action plan を設定、その一つに新規抗菌剤の開発が謳われている。
- これを受け、IMI では Discovery 段階から臨床開発段階まで各ステージでの新規抗菌剤の研究開発の促進、強化を目指すプログラムを 7つ立ち上げ、それらを統括するプログラムとして ND4BB がある (Fig. 2-15-9)。600Mユーロを超える EU 予算が拠出される。
- 今回は、個々のプログラムのうち、COMBACTE、TRANSLOCATION 及び ENABLE について紹介を受けた。

# Overview of the ND4BB programme

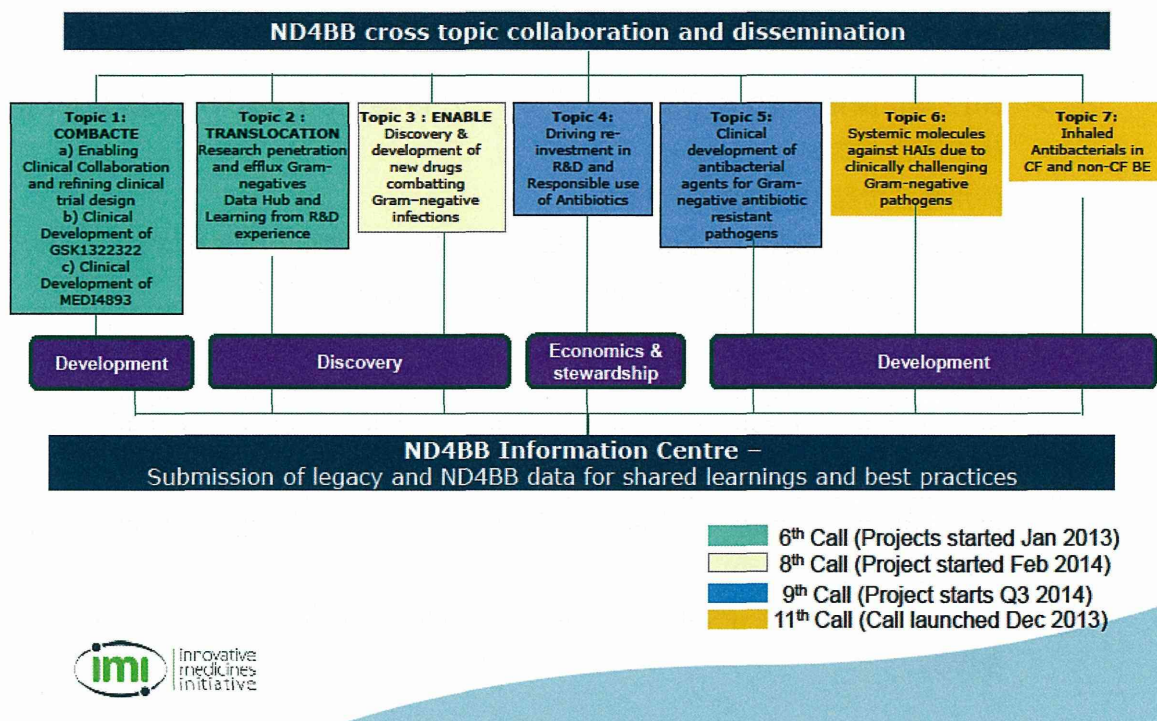


Fig. 2-15-9 ND4BB の概要 (受領資料より)

## ⑥ COMBACTE

- 2013年に開始。EFPIA 会員 3 社、アカデミア 29 機関、中小サイズ企業 1 社が参画。
- 抗菌剤の効率的開発のため、34ヶ国 294 病院が参加するネットワーク (CLIN-Net) の構築により、情報の共有、ネットワークを活用した臨床試験の実施、臨床開発の効率化を目指す。
- 情報の共有に関しては、前臨床、臨床、両方のデータの共有、前臨床試験データの PK/PD からの解釈、自社の臨床試験データの他社試験のデザインへの活用などが目標とされている。
- MD14893 (抗 S.aureus モノクローナル抗体) についてのネットワーク活用のモデルケースとしての臨床試験を既に開始している。

## ⑦ TRANSLOCATION

- 2013年に開始。EFPIA 会員 5 社、アカデミア 14 機関、中小サイズ企業 5 社が参画。
- 多剤耐性グラム陰性菌の膜透過性を評価する系の構築を目指す。

## ⑧ ENABLE

- 2014年に開始。EFPIA 会員 4 社、アカデミア 18 機関、中小サイズ企業 10 社が参加。
- 官民共同で創薬シーズを探索するプログラムであり、別の IMI プログラムである European Lead Factory での HTS のヒット化合物を最適化して臨床試験に入れる化合物を創出する。

- グラム陰性菌に対する抗菌剤のリード化合物を3化合物、臨床開発候補を2化合物保有しており、少なくとも1化合物は前臨床から Phase1 を目指せると考えている。

#### ⑨ PREDICT-TB

- 2012 年に開始。EFPIA 会員 3 社、アカデミア 13 機関、中小サイズ企業 2 社、患者団体 1 団体が参加。
- 併用療法で結核の克服を目指す。
- 米国、Critical Path Institute の結核治療法開発に関する官民プロジェクトである CPTR プロジェクトと提携関係にあり、情報の共有を進めている。

#### ⑩ EBiSC

- 2014 年に開始。EFPIA 会員 6 社、アカデミア 8 機関、中小サイズ企業 6 社、公的機関等 6 機関が参加。
- iPS 細胞の収集、検査、研究者への配布に当たる中央機関の設立を 2015 年に目指している。
- 2,500 人の患者由来 iPS 細胞を欧州内研究機関から収集し、2016 年までにカタログ化を行う。

#### ⑪ STEMBANCC

- 2012 年に開始。EFPIA 会員 11 社、アカデミアと中小サイズ企業 23 機関/社が参加。
- iPS 細胞の創薬利用、薬効評価と安全性評価への活用を促進する。
- 患者由来 iPS 細胞の疾患メカニズム研究への活用:500 名の患者から iPS 細胞株 1,500 株樹立を目指す。対象疾患はアルツハイマー、パーキンソン等中枢・神経系疾患と糖尿病に絞り込んでいる
- iPS 細胞の作製法については、日本のディナベック株式会社のセンダイウィルスベクターによる遺伝子導入法に統一している。
- iPS 細胞の供給体制の確立を目指し、欧州以外の研究機関や企業にも細胞を提供する。

#### ⑫ EUPATI (European Patients' Academy on Therapeutic Innovation)

- 2012 年に開始。EFPIA 会員 18 社、アカデミアと公共機関 8 機関と 4 つの患者団体が参加。
- 患者や患者団体を新薬の研究開発のすべてのステージで取り込むため、患者への疾患や新薬開発についての教育や情報提供を行う。
- 患者への教育として、3 段階の手法を用意しており、上位レベルから、Patients Expert Training Course、Educational Tool Box、Internet Library である。

所 感:

ヒューマンサイエンス振興財団の調査活動において、過去にも IMI の官民共同連携活動を取り上げてきたが、何れも EFPIA に対しての情報収集であったので深い情報までは触れることができない

かった。今回、IMI 本部を訪れる機会をいただき、現場の状況を知るプロジェクトマネージャーの皆様から、直接に話を聞くことができ、IMI の諸プロジェクトが順調に展開していること、更にはその要因を知ることができた。

2008 年に IMI が設立され、2010 年に最初のプログラムが立ち上がり、その後、5 年程度の期間に 50 以上の官民連携プロジェクトが立ち上がったと言うのは、日本の官民連携の実情を考えるとただ、驚くのみである。

その要因を考えてみると、以下の事実、一部推測もあるが、が挙げられる

- ・ 最初に予算ありきで、立ち上げ後 5 年程度の資金提供が確保されていること
- ・ EFPIA 企業は資金の提供ではなく、現物支給、労務や知財等の提供だったので、参加へのハードルが下がったのではないか。
- ・ プログラム立ち上げへ向けての手続きが簡素化されている。EFPIA 側からのテーマ提案からプログラム開始まで 1 年以内というスピード感は手続きや仕組みのデザインがうまくできているからと思われる。
- ・ プログラムの目標設定が官民双方に受け入れやすいものになっている。
- ・ 知財の管理は最初から細部にわたる取り決めをするのではなく、基本的な原則の下、各プログラムの状況に応じてフレキシブルに対応している点。

以上に加えて、IMI 本部のプログラム管理のノウハウと、企業側とアカデミア側から 1 名ずつ選出されるコーディネーターの協力関係が運営上大きな役割を果たしていると思われる。また、もう一つの重要なポイントとしては、一つのプログラムに EFPIA 会員企業が最低 5 社程度は参加し、同種企業間の pre-competitive な連携となっている点がある。創業の困難性が増す中、何れの企業も pre-competitive な連携は必要と感じているものの、その仕組み作りに相当な労力が必要となる。

この課題を、EU と EFPIA、その間にできた IMI が資金付きで解決してくれたとも言える。

複数の企業が参画する官民連携は、米国でも AMP (Accelerating Medicines Partnership) はじめいろいろなものが走っている。残念ながら、本年 4 月より発足する日本医療研究開発機構にはそのような構想は全く見当たらないが、将来の戦略、民間企業や医療関連業界を活性化する戦略として取り上げられることを期待する。

(加藤 正夫)

受領資料:

#### 1. 説明資料

- 1) The Innovative Medicines Initiative: The European engine for pharmaceutical innovation
- 2) Project Overview: PreDiCT-TB
- 3) Project Overview: NEW DRUGS FOR BAD BUGS, ND4BB PROGRAMME
- 4) Project Overview: MARCAR
- 5) Project Overview: MARCAR
- 6) OncoTrack, Methods for systematic next generation oncology biomarker development
- 7) Novel complex models for cancer target validation
- 8) Project Overview: QuIC ConCePT
- 9) EBISC: The European Bank for induced pluripotent Stem Cells
- 10) StemBANCC: Stem cells for Biological Assays of Novel drugs and predictive toxicology

- 11) Patient Outreach
- 12) EUPATI: EUROPEAN Patients' Academy on Therapeutic Innovation

2. 配布資料

- 13) IMI JU SCIENTIFIC PRIORITIES FOR 2014
- 14) The right prevention and treatment for the right patient at the right time
- 15) Innovative Medicines Initiative Highlights May 2014
- 16) Innovative Medicines Initiative 2: Europe's fast track to better medicines
- 17) 1st Call for Proposals 2014 Innovative Medicines Initiative 2
- 18) IMI Intellectual Property Policy
- 19) New Drugs 4 Bad Bugs (ND4BB)
- 20) The Innovative Medicines Initiative: a Public Private Partnership Model to Foster Drug Discovery
- 21) Public-private partnerships as driving forces in the quest for innovative medicines

参 考 資 料:

- 1) HS レポート#75・平成 23 年度ヒューマンサイエンス振興財団国外調査 WG 報告書
- 2) HS レポート#84・平成 25 年度ヒューマンサイエンス振興財団研究資源委員会報告書  
「産学官連携による創薬 –アカデミア発シーズへの創薬支援戦略–」



Cancer Research UK (CRUK)・Cancer Research Technology (CRT)

所在地: Angel Building, 407 St John Street, London EC1V 4AD, UK

電話: +44 20 7242 0200 (CRUK), +44 20 3469 6300 (CRT),

FAX: +44 20 3469 6400 (CRUK)

Homepage: [www.cancerresearchuk.org/](http://www.cancerresearchuk.org/)

面談日時: 2014年10月31日(金) 9:00~11:00

面談場所: 上記所在地

面談者: Phil L'Huillier, PhD MBA

Director, Business Management, Cancer Research Technology Ltd.

Dr Ola Zaid

New Projects Manager, Clinical Partnerships Team, Centre For Drug

Development, Cancer Research UK

Chris Baker Phd

Busines Development Manager, Strategic Partnerships, Cancer Research UK

Contact Person: Andrea Schievella, Ph.D.

Business Manager, CRT Inc.

Siobhan Kennedy

Executive Assistant to Dr Phil L'Huillier, Cancer Research Technology Ltd.

面談目的:

以下の項目に関する調査・情報収集を行うこと。

- ・ CRUK におけるがんの臨床と研究全般 CRT の機能及び企業との連携活動

説明内容:

- ・ 3人の説明者によって、CRUKとCRTの関係と機能分担、臨床試験における企業との連携、及び、CRUKでの層別化医療について紹介がなされた。
- ・ 以下、各項目の説明内容を示す。

1. Cancer Research UK と Cancer Research Technology LTD の概要の説明

1) Cancer Research UK (CRUK) の概要

- ・ CRUK は世界レベルの研究を提供しうる英国内の広範な研究者ネットワークを支援している。
- ・ CRUK は世界最大規模のがん研究の慈善団体であり、予算のほとんどが国民の寄付から

成り立っている。年間研究予算は 350M 英ポンド(約 620 億円)を超え、英国内の研究所、臨床試験ユニット、病院、大学への資金提供を行っている。

- CRUK のゴールの1つとして、英国におけるがん患者の生存率を今後 20 年間で、健常人の 3/4 まで向上しうることである。
- がんの基本的な理解、がんの予防、早期診断に関する研究、アンメットニーズの高いがん、治療法の革新、予防医学等に対して、優先的に今後、投資を行っていくことを考えている。

## 2) Cancer Research Technology (CRT)

- CRT は CRUK のがんに特化した技術開発と商業開発の関係事業を担う部門である。125 人のスタッフ(内 70 人が drug discovery unit に所属)からなり、ロンドンに本部、米国ボストンに US 支部がある。2014 年は CRUK に 17M 英ポンドを資金提供することができ、今後 4 年間でも 55M 英ポンドの寄付ができるものと予想している。
- CRT の知財の供給源となる研究所、大学を Fig. 2-16-1 に示す。CRT は英国内の多くの研究所、大学へ資金提供し、共同研究を行っている。
- アカデミアの薬剤開発ユニット等への投資や CRT Discovery Laboratories (CRTDL) において、低分子化合物、バイオ製剤を含めた 80 以上の新薬開発プログラムが進行中である。
- Center for Drug Development (CDD) は企業あるいはアカデミア由来の創薬シーズの前臨床、早期臨床開発プログラムに対して、資金提供を行い、主体的にプロジェクトを運営、データマネジメント、試験の実行を行っている。これまでに前立腺がんに対する Zytiga、脳腫瘍に対する Temodar、肺がんに対する Alimta 等の CDD による早期開発の実績がある。

### CRT'S SOURCES OF INTELLECTUAL PROPERTY

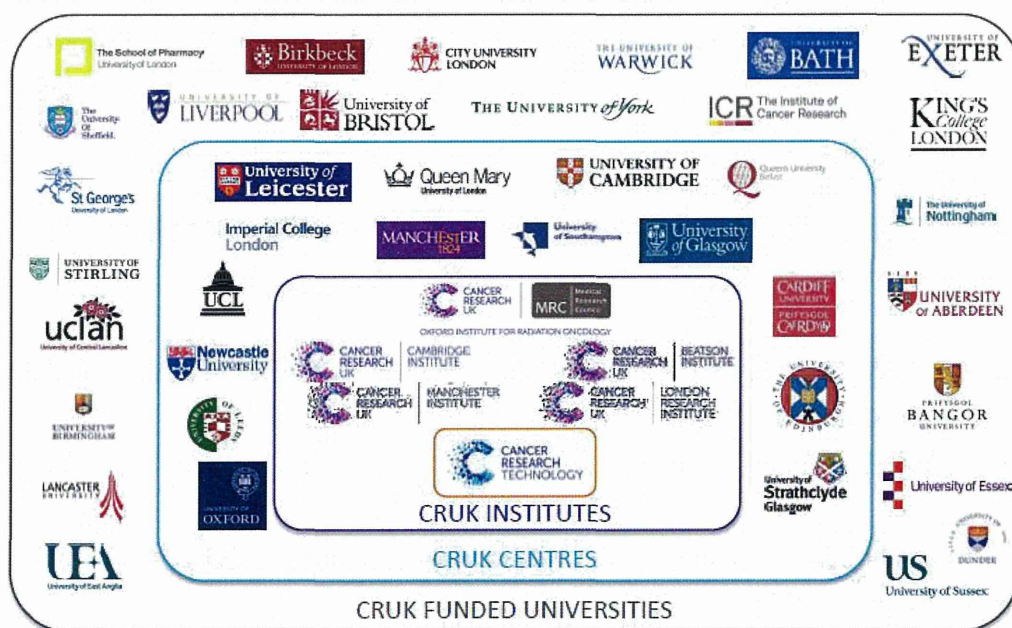


Fig. 2-16-1 CRT が投資を行い、知的財産の基礎となる研究所、大学(受領資料より)

- CRT の operational model として、CRTDL が Academia、Commercial Partner とのギャップを埋める新しいモデルを提示、AstraZeneca、FORMA、TEVA 等とアライアンスを締結している。このモデルの利点として、CRUK が資金提供している世界クラスの研究所、研究者との提携、新規の薬剤標的の確認とその開発における CRTDL の専門的技術と知識、企業の薬剤研究と開発の能力といったアカデミアと企業の最も優れた点を結びつけることが可能となる。

## 2. Clinical Development Partnerships

- 本セッションでは、CRUK 組織内の CDD の新薬の発見と臨床開発における企業との連携の手法及び活動を中心に説明がなされた。
- CDD は 1982 年に設立され、企業、アカデミア由来の創薬シーズの非臨床、早期臨床開発プログラムに対し、資金提供、マネージメント、プログラムの遂行を独自で行う。
- CDD は柔軟なビジネスモデルを提供し、企業の有するポートフォリオ (prioritized あるいは deprioritised の決定を含めて) のプロジェクトに対して、共同である。
- これまでに 120 以上の候補物質の Phase 1/2 を行ってきた実績があり、6 つの product がその後上市された。(Temodar/temozolomide、Zytiga/abiraterone 等)
- 候補物質の種類として、低分子化合物が 68%、生物学的製剤が 32% (その内、抗体医薬が 60%、ワクチンが 20%) である。臨床試験の種類としては、First in Man が 61% と非常に割合が高い。
- Clinical Development Partnerships (CDP) の実際の例として、現在までに 10 件の企業と CDP との契約が締結され、現在 4 件が協議中である。CDP の現在のパイプラインを Fig. 2-16-2 に示す。

### CLINICAL DEVELOPMENT PARTNERSHIPS – CURRENT PIPELINE

AGENT/TARGET	COMPANY	INDICATIONS	DEVELOPMENT STAGE				
			EXPLORATORY	PRECLINICAL	PHASE I	PHASE II	PHASE III
GSK1070916A	GSK	Advanced solid tumours	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
IMA950	Immatics biotechnologies	Glioblastoma multiforme	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
AT 13148	Astex Therapeutics	Advanced solid tumours	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
AZD 0424	AstraZeneca	Advanced solid tumours	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
AZD 3965	AstraZeneca	Solid tumours; Lymphoma	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
DI-B4	Merck KGaA	Leukaemia; Lymphoma	●●●●●	●●●●●	●●●●●		
AZD2098	AstraZeneca	Renal cancer	●●●				
AST-VAC2	Asterias Biotherapeutics	Lung cancer	●●				

As of Sept 2014



Fig. 2-16-2 CDD の現在のパイプライン (受領資料より)

- ・ 薬剤の併用に関する Alliance についての試みが説明された。CDD は現在開発中にある企業発の薬剤の早期ステージにおける併用試験に注力している。AtraZeneca、Eli Lilly、Astex、MedImmune 等と共同で行っており、企業の壁を越えた併用試験の検討、優れた併用を同定するための非臨床でのプロファイル検討の拡大も将来的に検討する予定である。
- ・ この CDP のモデルは、企業に対して、臨床開発の薬剤パイプラインを拡大する機会、知的財産の権利、初期の臨床データを企業が保持することができる革新的なビジネスモデルを提供する。CRUK は世界最大の独立したがん研究機関であり、抗がん剤開発で実績のある専門集団であり、企業と連携して、患者により多くの抗がん剤を提供する機会を望んでいる。

### 3. CRUK Stratified Medicine Programme 2

- ・ 3 番目のセッションでは、CRUK の層別化医療計画について、過去の経験 (SMP1) を踏まえ、現在進行中である CRUK Stratified Medicine Programme 2 (SMP2) についての説明がなされた。
- ・ 2011 年から 2013 年にわたり、英国内を中心とした約 9,000 人の患者に対して遺伝学的検査が行われたが、検体の質が不良であったり、ばらつきが多かったこともあり、良好な結果、結論を得ることができなかった (SMP1)。
- ・ SMP2 においては、生存率が依然として、低いままである肺がんに焦点を当てることとした。EGFR や ALK といったような特定のバイオマーカーによって、選択された少数の患者を対象とする今までの層別化治療の方法 (routine stratified therapy) ではなく、Fig. 2-16-3 に示すように複数のバイオマーカーによって、複数の薬剤へのアプローチを可能とするプログラム (CRUK Stratified Therapy) が計画されている。

## CRUK Stratified Medicine Programme 2 (SMP2) – CRUK Stratified Therapy

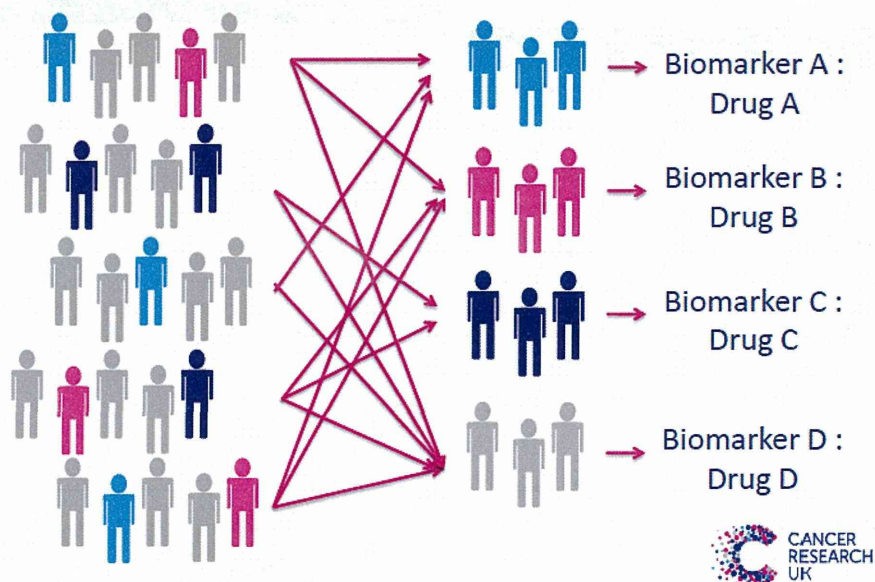


Fig. 2-16-3 CRUK 層別化医療プログラムによる患者層別化の方法 (受領資料より)

- 本プログラムは以前の SMP1 で確立された分子遺伝学的スクリーニングの系を用い、適切な患者に適切な場所で適切な薬剤を提供することを目的とした英国国民全体を網羅した臨床試験プログラムである。本プログラムは新薬追加、新規の技術、新規の適応症、併用療法を可能としうる。
- 製薬企業、アカデミアとの共同モデルを用いたプログラムであり (Fig. 2-16-4)、現在、20 M 英ポンド以上の総投資額で、AstraZeneca や Pfizer 発の 14 種類以上の薬剤を用いて層別化医療の構築を進める予定である。
- 分子遺伝的なプレスクリーニング、次世代シーケンシングパネルの提供者として、illumina がパートナーに選ばれ、多数の遺伝子変異 (single nucleotide variants、insertion & deletion、copy number variations、DNA rearrangements) の検査を行う。

## CRUK Stratified Medicine Programme 2 (SMP2) – A Collaborative Model

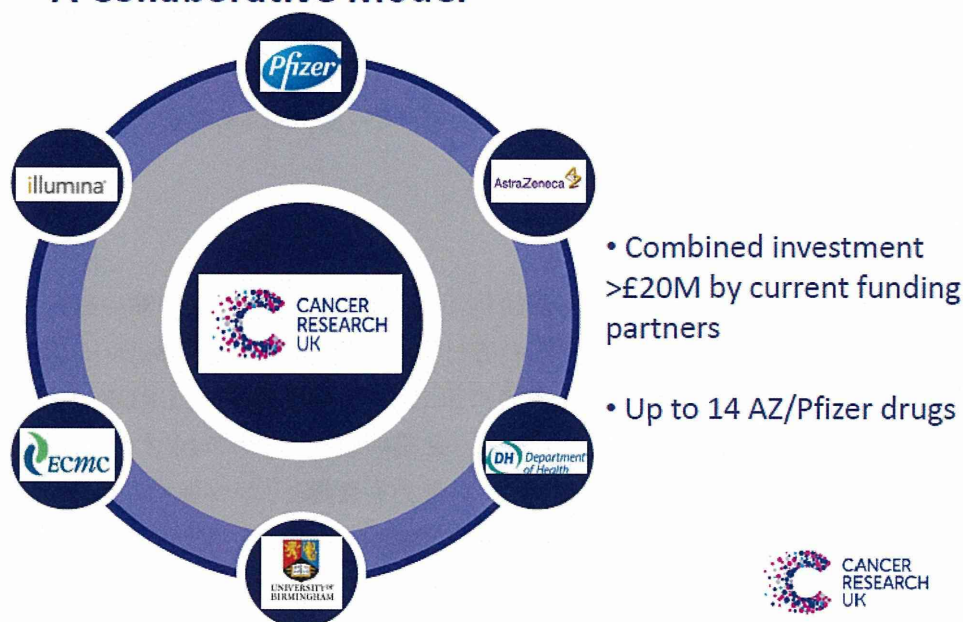


Fig. 2-16-4 CRUK 層別化医療プログラムによる協業モデル (受領資料より)

- 本プログラムにおいては、バイオマーカーを用いて選択する多数の arm、cohort に対して、複数の薬剤を提供する (Fig. 2-16-5)。また、すべての治験施設がすべての arm に参加することを可能たらしめている。
- SMP2 は UK 内の層別化医療の開発方法を変え、肺癌患者により多くの治療選択肢を提供するであろう。本プログラムは CRUK の ECMC (Experimental Cancer Medicine Centre) 全ネットワークとそれを越えた国家的な試みとなる可能性がある。
- 分子遺伝学的プレスクリーニングの系を共同で利用するモデルは患者、スポンサー、製薬企業にとって、有益となるであろう。

## CRUK Stratified Medicine Programme 2 (SMP2) – Multiple Arms/Cohorts Based on Biomarker Selection

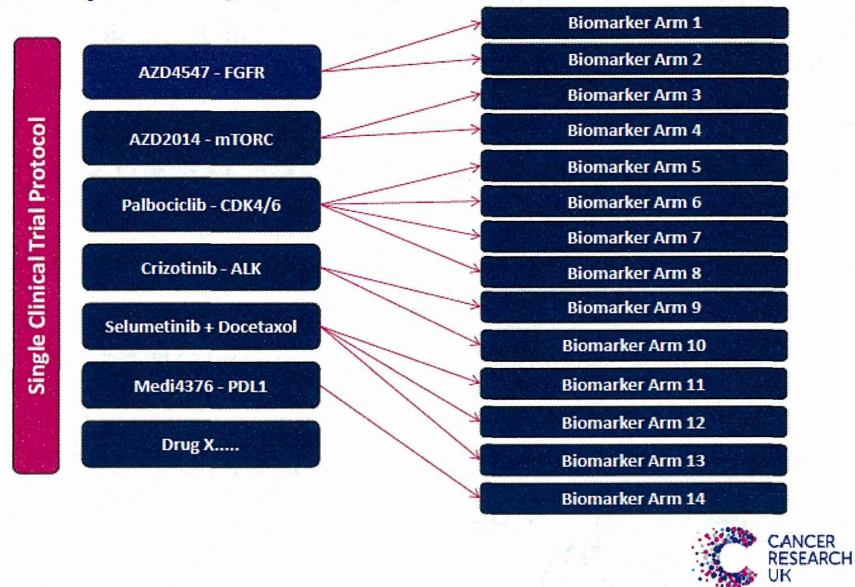


Fig. 2-16-5 CRUK SMP2 におけるバイオマーカーでの選択による治療法の選択

(受領資料より)

所 感:

CRUK が世界最大規模のがん研究の慈善団体であること、その寄付金の額の巨大さ(年間 350 M 英ポンド:約 620 億円)に驚かされた。英国の寄付文化に対する考え方(あるいは税の控除制度等)が日本とは大きく異なることを感じた。資金的に独立していることもあり、CRUK の抗がん剤の早期開発における initiative、独自性は際立っており、企業の新薬ポートフォリオの prioritization、対象疾患の選択、再投資に至るまで深く関与、強い影響力を発揮し、かつ多くの成功事例があることは強調してよい。英国、欧州の企業との連携が活発であるが、日本企業との共同研究も最近では行っていることから、新規の抗がん剤のターゲットのバリデーションに関して、世界トップレベルの専門的技術、知識を有する CRUK との連携は日本の製薬企業にとっても大変魅力的に映った。

(関 康博)

受 領 資 料:

1. 説明資料:

- 1) INTRODUCTION TO: -CANCER RESEARCH UK AND-CANCER RESEARCH TECHNOLOGY LTD
- 2) Clinical Development Partnerships, Releasing the untapped potential in cancer drug development
- 3) CANCER RESEARCH UK STRATIFIED MEDICINE PROGRAMME 2

2-17. UK Trade & Investment (UKTI)

UK Trade & Investment (UKTI)

所在地: 1 Victoria Street, London, SW1H 0ET, UK

電話: +44 (0)20 7215 8000

FAX: +44 (0)20 7215 2471

Homepage: [www.ukti.gov.uk/](http://www.ukti.gov.uk/)

面談日時: 2014年10月31日(金) 12:00~13:00

面談場所: 上記所在地

面談者: Dr Mark Treherne  
Chief Executive, Life Sciences Organisation

Contact Person: 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 対英投資上級担当者

面談目的:

以下の項目に関する調査・情報収集を行うこと。

- ・ UKTI のライフサイエンス産業政策への取組み
- ・ 特に、平成 25 年度国外調査訪問時からの進捗

説明内容:

1. Minister for Life Sciences

- ・ 2014年5月に新しく Minister for Life Sciences が置かれた。初代は、George Freeman 氏が、Department for Business, Innovation and Skills (BIS) と Department of Health との連名で任命された。
- ・ 同氏は、国会議員となる前は、ライフサイエンス関連のベンチャーキャピタル及びトランスレーショナルリサーチ専門のコンサルタントとしての経歴を持ち、ライフサイエンスの技術面、経済面の双方に明るい。
- ・ 本ポストを設けた目的は、基礎研究と国民医療サービスを結び付け、優れた科学技術を患者ベネフィットへと橋渡しすることである。
- ・ 同ポストと同時に新しく設置される部門においては、医療経済に強い人材を集めており、創造的な方法で、革新的の医薬品の研究開発コストの担い手の問題や、高齢化に伴う医療費増大の問題に取り組もうとしている。

## 2. 2014年のライフサイエンス関連の英国予算

- ・ 2014年のライフサイエンス関連のBIS予算は4.6B英ポンドであり、ライフサイエンス関連の基礎科学領域の学術研究に支出される。Department of Health (NHS) 予算は、128B英ポンドであり、国民医療サービスに対して支出される。
- ・ 他の国家予算が削減される中でライフサイエンス関連予算は、維持され、微増している。

## 3. UKTI Life Science Organization

- ・ UKTI Life Science Organization としては、これまで対外輸出促進と英国内投資を分けた組織編成をしてきたが、両組織を統合し、両方向を同時に関連させて支援することとした。
- ・ UKTI Life Science Organization のスタッフは、英国内のロンドン本拠地に10人程度がおり、それ以外の場所では他の産業分野を兼任して担当している場合があるが、英国内各地に50~100人が散らばっており、また、英国外の大使館等の107カ所に1名から数名のスタッフがいる。

## 4. 英国ライフサイエンス業界動向

- ・ ここ最近では、ライフサイエンスのテクノロジー分野としては、Big DataとGenomicsに注力している。Big Dataについては、ライフサイエンス領域においては、NHSにある6,200万人分の健常人と患者データの有効活用を考えている。Genomicsについては、NHS加入者10万人分の全ゲノム解析を行い、個別化医療の促進による医療コスト削減を目指している。
- ・ UK Biobankについては、NHSの電子データやNHSに寄付された生体試料との連携が行われている。
- ・ The Francis Crick Instituteが、政府、Wellcome Trust、Cancer Research UK等の資金により、ユーロスターのロンドン側ターミナルのロンドン・セントパンクラス駅近隣に、建設中である。ノーベル受賞者のがん研究者Sir Paul Nurseが初代所長を務める。がんを中心とする疾患に関する基礎研究を行う。
- ・ これまで様々な団体で公開されていたライフサイエンス関連企業のデータベースを統合し、来年早々に公開する予定。約5,000社の情報を閲覧できる。

## 5. 医学研究寄付財団

- ・ 医学研究寄付財団について、まず英米の違いとして、英国の大規模財団は、歴史が古く、例えば、Cancer Research UKは、1900年代発祥のThe Imperial Cancer Research FundとThe Cancer Research Campaign (CRC)が合併したものである。また、Wellcome Trustは、Sir Henry Wellcomeの創業製薬企業(Burroughs Wellcome & Co)の株式売却資産に基づいて1936年に設立された。一方、米国大規模財団は、新しく、また、新興富裕層の資産を基にしたものが多く、例えば、IT起業家の資産に由来するBill & Melinda Gates Foundation、ハリウッドスターの資産に由来するThe Michael J. Fox Foundation、化粧品企業オーナーの資産に由来するAlzheimer's Drug Discovery Foundation等がある。
- ・ 英国においては寄付に対する税制優遇があり、それだけではなく、寄付財団は各地にチャリティショップ(リサイクルショップ的なもので、中古品売却益を寄付)も有し、寄付活動に創



意工夫を行っている。

- また、最近の英米の傾向として、寄付の対象が、基礎研究や大学から、医薬品探索研究やトランスレーショナルリサーチを行う疾患財団等のより直接的に治療に繋がる対象へとシフトしている。
- 英国の疾患財団としては、大規模な例として Cancer Research UK が有名であり、小規模な例としては、Alzheimer's Research UK が有名である。Alzheimer's Research UK は、小規模であること、疾患修飾薬がまだないこと、人々が公にしたがらない等の理由で、寄付に苦労しており、疾患に関する国際サミットの開催により国際的な資金調達を目指している。

## 6. 再生細胞医療領域

- 再生細胞医療領域については、日本は iPS 細胞のノーベル賞を共同受賞したことから、競争相手というよりは提携相手と考えている。東京エレクトロンが細胞処理に関する共同研究のために英国に進出した。Cell Therapy Catapult が中心となって、規制整備、対外誘致、研究開発資金支援等の様々な活動を行っている。
- UKTI としては、規制づくりで先行している日本との連携について前向きに捉えており、英国内の各方面に働きかけていきたいと考えている。

所 感:

本年度の訪問では、最近の英国ライフサイエンス業界の動向について、質疑応答形式でヒアリングを行った。

UKTI にはここ数年連続して訪問しているが、英国におけるライフサイエンス分野の先進的な取組みの紹介がある一方で、毎年のように、日本には余り知られていない、英国におけるライフサイエンス分野の古くからの取組み(UK Biobank、CRUK 等)についての発見があり、非常に有益に感じる。

特に本年度は、イノベーションのコスト負担を誰が担うのか?という観点において、英国における Minister for Life Sciences による新たな施策と、疾患財団による旧来からの取組みという、事例を知ることができた。近年は、医薬品の研究開発コストが増大する中で、個別化医療や希少疾患等の大きな市場を期待できない治療薬の開発が求められている。その一方で、ここ最近是好調であるが、株式投資を軸とするベンチャーキャピタル投資は、景気や株式市場の動向に多大な影響を受け、本質的に好不調の波を持つため、イノベーションの資金ソースを漫然とベンチャーキャピタル投資のみに依存していくことは、ベンチャーキャピタル投資が不調の際の資金ソースの枯渇という潜在的なリスクを伴っている。このような状況に対して、英国政府や疾患財団の取組みは非常に示唆に富むものであり、今後とも英国の動きに注目していきたい。

(鈴木 規由)

受領資料: なし

2-18. Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA)

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)

所在地: 151 Buckingham Palace Road, Victoria, London, SW1W 9SZ, UK

電話: +44 20 3080 6000

FAX: +44 20 3118 9803

Homepage:

[www.gov.uk/government/organisations/medicines-and-healthcare-products-regulatory-agency](http://www.gov.uk/government/organisations/medicines-and-healthcare-products-regulatory-agency)

面談日時: 2014年10月31日(金) 14:00~15:00

面談場所: 上記所在地に同じ

面談者: Krishna Prasad, MB, BS, MD, FRCP

Clinical Assesor/Cardiologist

Julian Bonnerjea, PhD

Manager, Biological and Biotechnology Unit, Licensing Division

Dr Elaine Godfrey

Deputy-Manager - CTU, Licensing

Keith McDonald, MSc MRPharmS

Group Manager, Licensing Division

Contact Person: Ida De Souza

Executive Assistant - Product Lifestyle Assessment Team 1

Licensing Division

面談目的:

以下の項目に関する調査・情報収集を行うこと。

1. Regulation of Cancer Therapy, especially immune-therapies and oncolytic virus therapy in UK
2. Regulation of Breakthrough Therapy and Regenerics in UK
3. Regulation of rare-disease therapeutics
4. Regulation of therapeutic drugs for Duchenne Muscular Dystrophy
5. 抗菌薬開発の推進策に関する取り組み

説明内容:

- ・ がん免疫療法、Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) 治療薬の英国での規制及び耐性菌に対する抗生物質開発促進策について話を伺った。
- ・ oncolytic virus を含めたがん免疫治療薬などに対して英国に特有な規制はなく、それらの審査は EU での中央審査方式に従い、Committee for Advanced Therapies (CAT) により行

われるが、高額で時間もかかる。迅速な審査を望む場合は、EU のメンバー国で同意されないとと思われる点について MHRA では Scientific advice を受けるようアドバイスしている。

- EU では oncolytic virus がいくつか Phase3 に入っているが、oncolytic virus も含めてがん免疫治療薬の承認品目はまだない。
- Rare disease、遺伝子治療や再生医療の治験においてプラセボとの比較は困難であり、少数の治験数で議論する上では疾患ごとの natural history の利用が重要と考えている。
- 英国では、がん、筋ジストロフィーや痴呆症など国民の生命を脅かす疾病や rare disease への画期的新薬の開発に力を入れており、これら疾病に対する最先端医薬品を患者に早く届けるための医薬品早期アクセス制度 (Early Access to Medicines Scheme: EAMS) を独自にスタートさせ、2014 年 4 月 7 日にその申請受付を開始した。
- EAMS の仕組みは、MHRA が Phase2 臨床データなどの初期の科学的評価に従ってベネフィットがリスクを上回ると判断した場合、承認前でも医師が速やかに患者と連携しながら Promising and Innovative Medicines (PIM) 指定薬として使用できるようになっている。この仕組みは FDA の Breakthrough therapy 指定の基準とは異なっている。
- 2014 年 10 月時点で PIM 指定を受けているのはがん細胞治療薬など 2 品目である。
- DMD 治療薬に対する審査は、他の遺伝子治療薬と同じ扱いをしている。DMD はオープン対象であり、10 年間の優先販売権などの特典が与えられる。
- 耐性菌に対する抗生物質の開発促進のための米国の GAIN 法のようなものはないが、英国でも耐性菌の問題は重要視しており、インセンティブを含めたガイダンスを来年出す予定である。
- 欧米の規制当局間では Transatlantic Task Force と呼ぶ Initiative があり、製品特有な課題やその科学的助言、ガイドラインについて定期的な会合を持っている。

#### 補足説明 (MHRA 概要: HP より)

- MHRA はイギリス保健省配下のエージェンシーで、医薬品及び医療機器の認可及び安全性に責務を負っている。
- MHRA は 2003 年に医薬品規制庁 (Medicines Control Agency: MCA) 及び医療機器庁 (Medical Devices Agency: MDA) を併合して発足し、2013 年には国立生物製品基準規制機構 (National Institute for Biological Standards and Control: NIBSC) を併合し現在の組織となった。MHRA は 900 人以上のスタッフを抱えている。
- MHRA は多くの専門家助言委員会を持っており、医薬品委員会 (Commission on Human Medicine) や英国薬局方委員会 (British Pharmacopoeia Commission) などがある。
- 医薬品委員会は、MHRA に設置された委員会である。2005 年に医薬品委員会 (Medicines Commission) 及び医薬品安全委員会 (Committee on Safety of Medicines) を併合して誕生した。委員会の責務には、英国政府の大臣に対しヒト向け医療製品に関する規制の諮問、安全・品質・効果性についての助言、医薬品副作用情報の調査及び収集が含まれる。
- EU における医薬品の承認審査は Centralised Procedure (中央審査手続) と Mutual Recognition Procedure (EU 各国間の相互承認手続) や Decentralised (National) Procedure (各国個別の審査手続) で行われる。

所 感:

英国は、今回の調査テーマであるがん免疫療法などの先端医療については EU における中央審査方式で審査する一方、EAMS のような英国独自の医薬品早期アクセス制度をスタートさせて独自性を打ち出そうとする意思が強く感じられた。我が国が 2014 年に薬事法の一部を改正してスタートさせた再生医療等製品の実用化に対応した条件・期限付き承認制度は、英国の Early Access 制度や EAMS と類似の制度であり、先行するこれら制度の今後の運用の動向に注視し、我が国の先端医薬品の審査の参考にしていくことを期待したい。

MHRA は、他の先進国の規制当局同様、新規医療技術や新規カテゴリーの治療薬に対し、手探りで慎重に対応を検討・実践している。

(井口 富夫)

受 領 資 料: なし