

## 第3章 調査結果の総括と提言

### 3-1. 調査結果の総括

各々の機関・企業より入手した個別情報の詳細は、第2章に示したとおりであるが、本年度の調査テーマ・具体的目的等を踏まえ、調査結果を以下の3点から総括した。

#### 1) がん免疫療法・ウイルス療法の進展

がん免疫療法は、幾つかに分類されているが、何れの療法においても、これまでに十分な臨床的成果は得られていなかった。しかし、今回の調査により、分子レベルでの作用機作解明や新たな併用療法の検討等が進み、多くの治療薬・治療法が開発されつつある状況であることが分かった。治療開始前に遺伝子レベルでの的確な診断が必要となるため、限られた施設でしか治療を実施できないケースが少なくないこと、非常にコスト高であること、有効性に関する個人差が大きいこと等、課題・問題が残ってはいるが、多くの研究機関、企業が精力的に取り組んでおり、次々に新規の有用な知見も得られていることから、将来的には、がんの治療法の新たな柱となる可能性も高まっている。

今回の調査では、がんウイルス療法においても、大きな進展が確認できた。当初、本療法に関しては、患者体内の正常細胞へのウイルス感染や異常増殖等の安全性面での問題が憂慮されていたが、今回紹介を受けた臨床開発中の各種ウイルスは、何れも安全性での問題は認められていない。近く、AmgenのT-Vecが、本療法として欧米で始めて承認される可能性もあり、今後、作用機作の更なる解明や、各々の開発中のウイルスの優劣判断・使い分け等の課題を克服して、様々なウイルスの開発が急速に進展することも考えられるため、その展開を注視して行く必要がある。

#### 2) 国家レベルでの治療薬開発推進体制の見直し

欧米においては、10年程前より、生活習慣病を対象とした大型新薬の上市実現を目指した従来型の創薬モデルでは、ビジネスとしての将来性に限界があるとの認識に立ち、オープンイノベーションを始めとする積極的な社外研究機関・企業との連携・提携により、従来とは異なる新たなタイプの治療薬開発に取り組んでいる。このような取り組みの典型的な事例の1つが、希少疾患治療薬への取り組みである。しかし、希少疾患を対象とした新薬開発では、各国における各種支援・優遇制度の理解・活用、政府・規制当局との密な関係の構築と連携、患者会との連携・交流等、一般的疾患とは異なる検討・対応が必要となるケースも少なくない。また、遺伝子診断等で層別化されたがん患者に対する最適な治療薬の開発やその適正使用等においても、企業は多くの研究・医療機関等との提携・協力が必要である。今回の調査で、希少疾患治療薬開発に関し、業界団体であるBIO (Biotechnology Industry Organization) が積極的にFDAに働きかけていたり、患者団体との連携・交流を図っていること、PPMD (Parent Project Muscle Dystrophy) のように、自ら特定の希少疾患治療薬のガイダンス作成を試みる等の幅広い活動を展開している患者団体があること、DFCI (Dana-Farber Cancer Institute) やCRUK (Cancer Research UK) のように、莫大な慈善基金をもとに、一般市民・患者の視点に立った独自のがん研究・治療薬開発・適正使用を推進している機関があること等が明らかとなった。

### 3)得意分野・技術への選択と集中

多くの先進国における薬剤費削減の動きや新薬承認基準の厳格化、企業の研究開発パイプラインの枯渇化等により、創薬型企業の経営・研究開発環境は世界的規模で厳しさを増している。このような状況下で、より経済的・効率的に、より成功確率の高い創薬を目指さざるを得ない創薬型企業にとって、自社の強み・特徴を活かした創薬を実現するため、「選択と集中」の徹底は非常に重要と考えられる。今回の調査において、大企業においても、Novartisががん領域での治療薬創出に注力していること、Amgenが新種のBiologics新薬開発やBiologics製造技術・ノウハウをもとにしたバイオシミラービジネスを積極的に拡充しようとしていることが分かった。また、「選択と集中」が当然と思われるバイオベンチャーにおいても、低分子医薬品の研究開発に全社員の30%を配分しているActelion等の事例に触れることができ、自社の得意分野・技術に絞り込んだ創薬や新たなビジネス展開を精力的に進めていることが伺われた。

### 3-2. 提言

上述のとおり、我々は、今回の調査によって、欧米各国の行政・規制機関、公的研究機関、患者団体、業界団体、製薬企業、バイオテック企業等より様々な最新・有用情報を入手することができた。また、訪問した各組織における先進的な取組み、明確な将来展望や方針等に触れ、大いに触発させられた。

上記状況のもと、本報告書の最後に我が国の行政・規制機関、製薬・バイオテック企業、大学・研究機関が今後も持続的に発展し、世界の中でのプレゼンスを維持・向上することを願い、国外調査班として以下のとおり提言する。

#### 提言1

##### がんウイルス療法でのリーディングカントリーを目指して

がんウイルス療法は、当初、生きた遺伝子組み換えウイルスを用いるということから、患者体内の正常細胞へのウイルス感染・異常増殖、遺伝子組み換えウイルスの野生化・悪性化等の安全性面での問題が不安視されていた。しかし、今回の調査によって、本療法の開発に取り組んでいる欧米企業では、何れも、これまでの臨床試験で安全性での問題は確認されていないことから、もはや大きな問題とは捉えておらず、今後の開発にも自信を持っていることが分かった。また、どの国においても、がんウイルス療法に関する規制が十分に整備されているわけではないことも明らかとなった。

我が国では、マスコミ等が本療法は安全性に関する不安がある旨の記事を掲載したり、行政府からカルタヘナ法に基づく使用指定を得ることに多大な時間を要していること等、以前は、国全体にやや慎重な風潮が伺われた。しかし、現在、複数の大学・企業が本療法の開発に取り組んでおり、中には非常に順調に開発が進んでいるケースもあるため、製薬企業、アカデミア、政府関係者が一体となって本療法開発の推進に取り組めば、日本が世界の規制をリードするチャンスも十分にあると思われる。特に重要なのは、ウイルスをどこでどのように生産するかという製造面での課題であるため、関係機関が連携して、速やかにGMP生産体制の構築に向けた検討を開始することを期待したい。

## 提言 2

### がん免疫療法への取組みの強化

大きな期待が寄せられていたにも拘らず、がん免疫療法は、これまで期待通りの臨床的有用性を示せなかった。しかし、今回の調査で、分子レベルでの詳細な作用機作解明や化学療法剤との併用療法の検討等が急速に進展し、一気に多くの問題が解決されて、今後、大きく発展して行くことが予想される状況であることが分かった。

我が国は、がん免疫療法の分野では、これまでの取組みは十分な成果を示すには至らず、欧米諸国に遅れをとっている状況と言わざるを得ない。しかし、2014年11月に施行された改正薬事法（再生医療等製品新法）を基盤に、日本における同分野の治験実施・促進体制を整備し、日本国内での連携のみならず、海外の製薬企業、バイオテック企業と日本企業との連携を魅力あるものとし、iPS細胞由来T細胞等の日本の得意技術を活かしたアプローチに焦点を当てる等により、十分に挽回可能であると考えられる。なお、医療現場への円滑な橋渡しや現実的な規制制度の構築を実現するには、治験やメディカルニーズ\*を熟知している専門臨床医の意見を積極的に取り入れることが肝要である。

## 提言 3

### 製薬企業が生き残るための「選択と集中」の徹底

前述のとおり、今回訪問した欧米企業においては、想像以上に明確な方針のもと、自社の強み・特徴を活かした創薬を実現するため、「選択と集中」を徹底していた。一方、我が国の製薬企業は、総じて、いまだに幅広い分野・領域での事業展開を続けているところが少なくなく、強み・特徴が見え難い。また、重点化している疾患領域を短期的に変更する等の傾向も見取れる。欧米先進国での薬剤費削減の動きや新薬承認基準の厳格化、患者の層別化・個別化の進展等により、創薬型製薬企業の経営・研究開発環境は世界的規模で厳しさを増しており、より経済的・効率的で、成功確率の高い創薬を目指さざるを得ない状況となっていることは間違いない。規模が比較的小さく、資金面でも余裕があるわけではない我が国の製薬企業が、ボーダーレス化した国際医薬品市場で生き残るためには、欧米大手製薬企業と真っ向から勝負するのではなく、世界でも通用する自らの得意分野・技術は何かを真剣に考え、ブレずに、一貫性を持って、真の「選択と集中」を徹底することが必要である。また、我が国の規制当局・行政府は、我が国の強み・特徴を活かした新たな治療法・治療薬の開発を支援・推進するための施策を講じるべきであり、前述の薬事法改正で、新規分野での治療法・治療薬開発に対する特別措置を法制化した際と同様の対応をより積極的に実施するとともに、前競争的連携やコンソーシアム活動等を通じ、我が国のアカデミアシーズの事業化や企業への橋渡し等を一層強化・整備するべきである。

## 提言 4

### 我が国固有の国家レベルでの新たな治療法・治療薬開発推進体制の再構築

欧米製薬企業・バイオテック企業の多くは、創薬標的に対するHTSから始まるクラシックな創薬で、これまでのような新薬創出は難しいと考えている。また、このような認識のもと、よりイノベティブな創薬アプローチに迅速に着手できるよう、研究部門のマーケティング・開発部門からの分離、下部組織への大幅な権限委譲、等を進めるとともに、細胞療法による疾患治療や組織・細胞の機能再生、エピゲノム機能解析に基づく細胞機能制御、コンピューターサイエンスを駆使した医薬品候補物質の選択・評価、パーソナルゲノミクスの進展を見越した予防医療への取組み等、従来の創薬の概念には収まらない新たな治療法・治療薬の開発に着手している。このような動きを支えているのが、国家レベルでの新たな治療法・治療薬開発推進の仕組みであり、オープンイノベーション、コンソーシアムでの前競争的連携等に代表されるこの仕組みは、確実にプレゼンスを増している。また、これらの活動には、国からのグラントや各種慈善財団・患者団体からの支援金等が提供されており、国家的な理解・支援が既に形成されている。

我が国においても、オープンイノベーションを始めとする産学連携が急速に進展しており、近年、包括提携等の大型案件も報道されているが、産学連携から期待通りの成果が得られているとは言い難く、見直し・改善の必要がある。創薬分野で産学連携を成功させるためには、企業と提携アカデミア間の円滑な意思疎通、情報・意見交換のためのインターフェースが整備され、常に両サイドにとって機能的である必要がある。しかしながら、欧米と異なって人的資源の流動性が低い我が国では、産業界とアカデミアの間の相互理解が不十分で、大型の産学連携を開始したにも関わらず、製薬企業のニーズをアカデミアが理解できていないケース、アカデミアの知識・経験を製薬企業が活用できていないケースが散見されており、製薬企業のオープンイノベーション公募サイトにおいても、募集する会社側と応募するアカデミア側の間で認識の違いが少なくない。

このような問題を解決するため、企業は、特定のアカデミアとの包括的提携を行って、相互理解の醸成を図ったり、アカデミアでは、著名大学を中心とした地域クラスターでの企業との連携強化を図ったり、自前での創薬実施基盤の構築等が行われている。さらに、政府においても、日本医療研究開発機構(AMED)の設立、アカデミアシーズの事業化推進制度の充実、医薬基盤研を中心とした包括的支援組織の設立等が進められている。しかし、これらの方策では、前述の抜本的な問題解決には至らず、即効性も期待できない。

我が国において、産学連携を成功させるキーは「より深い双方向での相互理解に基づく、needs oriented collaborationの実現」であり、これを実現するには、これまでのアカデミアから企業への一歩通行のオープンイノベーションではなく、企業とアカデミアが双方向で経験・情報・技術・ノウハウを提供し合い、一体となって、イノベーションに取り組む体制の構築・運営が必要であると考えられる。具体的には、以下のような方策の検討・実践を強く要望する。

- ① 日本版NIHと期待されるAMEDの設立が決定したが、当該新組織では、政府系グラントのマネージメントのみならず、医薬医療創薬分野の基礎から応用・事業化までの全体を俯瞰し、長期的かつ多角的戦略を立てる機能が必要である。このような機能を十分に果たし、総合的な組織構築・運営を実現するには、製薬企業での研究開発の経験が豊富で、ビジネスマインドを持ち、各種関連機関との折衝力も有する優れた人材を実務トップに据える等の思い切った施策の検討を望む。

- ② 同じ製薬企業であっても、個々の方針・戦略等によって、アカデミアにどのステージまでの開発を求めるかは異なるが、製薬企業のニーズとアカデミアのシーズの間に大きなギャップが存在しているケースは少なくない。我が国において、このギャップを埋めることができるのは公的機関であり、AMEDによるアカデミアの啓発・先導機能の発揮に期待したい。また、創薬支援ネットワークは、現在、創薬インフラ整備や知財活用を偏重しており、取組み全体にメディカルニーズ\*の視点が欠如しているとの見方もあるので、この点における機能改善・強化に期待したい。
- ③ がん治療においては、もはや層別化・個別化の進展は避けられず、患者のゲノム情報やがん細胞中での遺伝的な変異を診断した後、個々の患者に適した治療法を選択するという選別が今後進むことは間違いない。また、患者個々の病状に応じ、より多くの選択肢からより適切な治療法を選択するという流れも確実になりつつある。我が国においても、FIMM (Institute for Molecular Medicine Finland) やCRUKで行われていたような、個別のCDx開発ではなく、国全体の個別化医療推進のためのより総合的ゲノム・遺伝子情報活用の取組みを進めるべきであり、AMED中心に、速やかな実行計画の検討・策定とその実現を期待したい。
- ④ 我が国では、各セクター内での連携(製薬企業:HS財団、製薬協等、バイオ企業:JBA、大学発バイオベンチャー協会等)、大学病院:医学系大学産学連携ネットワーク協議会等、アカデミア:創薬支援ネットワーク等)は進んでおり、企業と大学の包括的単独連携も盛んである。しかし、欧州で5年以上の実績があり、研究成果も高く評価されているIMI (Innovative Medicines Initiative) での取組みのような、ライフサイエンスに関連した多くの組織が多面的に連携し、業界共通の課題に取り組む試みは我が国では見られていないため、ライフサイエンスにおけるイノベーション創出を加速することを意図し、同様の取組みの具体化を進める必要がある。

\*メディカルニーズ： 臨床現場の医師や患者の視点から見て充足されるべき、新規の治療法、医療技術や治療薬

※ 受領資料一覧の内容 (CD-ROM) については、財団HPをご覧ください。  
<http://www.jhsf.or.jp/paper/report.html>

平成 26 年度(2014 年度)

## 国外調査報告書

がん等の難治性疾患の革新的治療法開発の新たな潮流を探る

発行 日：平成 27 年 3 月 10 日

発行 行：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

〒101-0032

東京都千代田区岩本町 2-11-1

ハーブ神田ビル

電話 03(5823)0361/FAX 03(5823)0363

(財団事務局担当 加藤 正夫)

印刷：株式会社 ユーティック

〒110-0016

東京都台東区台東 2 丁目 30 番 2 号

