

別添 4－3

厚生労働行政推進調査事業費補助金（新興・再興感染症及び予防接種政策推進研究事業）
「重点感染症に対する感染症対応医薬品等（MCM）利用可能性確保の方針検討に資する研究」
分担研究報告書

感染症危機対応としての治療薬の利用可能性確保に関する検討

研究分担者 大曲 貴夫 国立国際医療研究センター 国際感染症センター長

研究協力者 野本 英俊 国立国際医療研究センター 国際感染症センター医員

研究要旨

感染症危機対応に必要な治療薬の国内利用可能性について分析し、現在の治療薬の承認・開発状況や制度上の課題について明らかにし、MCM としての治療薬の利用可能性確保の目標設定を行うためのプロセス、基礎資料を作成する。

A. 研究目的

新型コロナウイルス感染症の流行に代表されるように、新興再興感染症に対する対抗手段となる医薬品である、「感染症危機対応医薬品等（MCM：Medical Countermeasures）」の利用確保可能性が喫緊の課題となっている。

本分担研究では厚生労働省「感染症対応医薬品等の利用可能性確保に関する検討会」において、狭義の MCM として挙げられた 3 分野のうち、治療薬を対象として、日本における MCM の利用可能性確保の目標設定を行うためのプロセスや基礎資料の作成を行う。令和 3 年度研究（令和 4 年度への研究繰越）では重点感染症リストに基づき、個々の MCM の現状評価、及び既承認薬の有無に基づいた治療薬の備蓄・研究開発のためのロジックを検討した。令和 5 年度研究では重点感染症の発生シナリオを想定した上で、MCM の有効性や需要に基づく必要量を推定し、最終的な MCM の利用可能性確保の方法や調達戦略についての検討を行った。

令和 6 年度は昨年度に確立した「発生シナリオ設定—必要量算定—供給評価—調達戦略立案」という四段階モデルを基盤として、治療薬について感染症危機対応医薬品（MCM）の利用可能性確保策や研究開発の課題点をさらに具体化することを目的とした。重点感染症にリストされている各

疾患に対する薬剤備蓄と製造体制は必ずしも十分とは言えない。こうした課題を踏まえ、本年度は、①厚生労働省重点感染症暫定リストに基づいて、世界のパイプラインと既承認薬を網羅的に整理し、日本が直面する医薬品 MCM の研究開発におけるギャップを分析すること、②海外機関（WHO および BARDA）の現状分析をもとに MCM の研究開発及び利用可能性についての知見のアップデートをすることを本研究の目的とした。

B. 研究方法

①海外機関（WHO および BARDA）の現状分析についての調査：

- WHO：WHO R&D Blueprint 2024、及び Defining access to countermeasures についてのデスクトップでの基礎調査を行なった。
- BARDA TPP (Target Product Profile) の基礎調査：BARDA TPP は開発を後押ししたいワクチン・治療薬・診断薬について、「最終的に FDA 承認を取得したい理想像」を示す設計図である。BARDA TPP についてのデスクトップ調査を行い、本件の現状分析をした。

②MCMの利用確保可能性に関する調査：

厚労省の重点感染症暫定リストに関する以下についてデスクトップ調査を行い、以下の整理を行った。

- 既承認品と開発パイプラインを網羅的に把握
- 発生シナリオ別に「どの MCM を、どの量・形態で備えるか」を検討するための基礎情報を作成

手順は国際機関の設定プロセスを参照しつつ、日本の制度・流通事情に合わせて整理した。具体的には、公的データベース（PMDA/FDA/EMA/WHO/CD C/国立感染症研究所/ClinicalTrials.gov/jRCT 等）の情報をうい、2024年8月時点の医薬品やパイプラインをリスト化した。上市済み医薬品又はパイプラインが存在する感染症については、パイプラインは製品名、開発企業、開発国、開発フェーズ、モダリティ製品特徴について、上市済医薬品は用途、適応、投与量、1バイアルあたりの量、使用期限、保管方法について整理した。なお、本調査ではAMR（グループ C）は本調査では対象外とした。

③MCMの研究開発に関するファンディングスキーム調査：

感染症用医療対策（MCM：ワクチン・治療薬・診断、AMR 対策を含む）の研究開発を加速するため、国内外で採られている支援策（インセンティブ設定）を体系的に把握した。

C. 研究結果

①海外機関（WHOおよびBARDA）の現状分析についての調査：

①-1 WHO R&D Blueprint 2024、及び Defining access to countermeasures についての基礎調査：

WHO R&D Blueprint は、パンデミックあるいは

PHEIC（国際的公衆衛生上の緊急事態）を引き起こし得る病原体に対し、医療対策（MCM：ワクチン・治療薬・診断）の研究開発と公平なアクセスを加速させるための世界的枠組みである。

2024 年版では 28 ウイルス科+1 細菌グループ、合計 1,652 病原体を対象に科学的証拠を評価し、優先度を決定した。特徴として単一病原体よりもウイルス／細菌“科(family)”全体を俯瞰し、未知の変異株や将来の脅威（Pathogen X）にも備える構造となっている。

本件等と通じて以下の 3 レイヤが設定された：Priority Pathogens（直ちに R&D が必要な個別病原体）

- Prototype Pathogens（ファミリー全体の MCM 開発モデルとなる代表株）
- Pathogen X 候補（未知または未確認の将来脅威）

調査を通して、感染症対策の開発戦略は、病原体の早期検知から実用化までを一つの連続した流れとして設計されていることが明らかとなった。感染症の発生を検出・監視・対応するための取り組みを先端技術の活用によって可能にする。また平時から Priority Pathogen や Prototype Pathogen の生物学的特性を深く解明する基礎研究を行うことも、アウトブレイク発生時に応用研究・製品開発を迅速に行い、候補医薬品へ展開するうえで重要である。さらに臨床段階では、迅速に適応できる試験デザインを用いて候補薬の評価ができる体制構築が重要である。そのために多国間でのデータ共有と製造・供給ネットワークを平時から整備しておくことで、パンデミック時にも十分な生産能力と公平なグローバルアクセスを確保し、未知の病原体「Pathogen X」に対しても備えることができる。

また加盟国は WHO 事務局に対し、MCM への「タイムリーかつ公平なアクセス」を保証する協力強化ネットワークの構築、ならびに既存のネットワ

ークを束ねる構造を求めている。これを受けて WHO 事務局は、パートナー機関や既存の協力枠組みを結び付け、相乗効果を最大化する形で i-MCM-Net を暫定的に立ち上げた。同ネットワークは、将来の公衆衛生上の緊急事態に対して質が高く安全で有効かつ価格面に配慮した MCM を世界全体へ迅速に行き渡らせることを目指す暫定メカニズムである。Defining access to countermeasures では上記ネットワークについて記載されており、本レポートにおいてもその概要について記載した。

①-2 BARDA TPP (Target Product Profile) の基礎調査：

BARDA TPP は関心を持つ製品の理想的な特性を定義し、開発の最終目標を示すための設計図として機能している。またアンメット・クリニカル・ニーズに対応するために科学的、技術的、臨床的情報を体系化している。これは今後 BARDA の開発目標となる製品の明確なビジョンを提供し、研究開発の意思決定の指針となっている。

今回の調査では抗菌薬に対しての調査が行われた。対象となる製品特性を分析した結果、BARDA は「単なる臨床的有効性」ではなく、国内製造移行性、即応備蓄、投与・運用の簡便性、といった要素も重視して TPP を設計していることが判明した。具体的には「最低限」と「最適」の二段階で要求事項を提示しており、ここには上記に記載した公衆衛生対応に必要と考えられる要素が盛り込まれている。

さらに優先度の高い細菌感染症として多剤耐性菌 (MDRO) が関与する感染症、特に人工呼吸器関連／市中細菌性肺炎 (HABP/VABP/CABP)、血流感染症 (BSI)、複雑性腹腔内感染症 (cIAI)、急性細菌性皮膚感染症 (ABSSSI)、複雑性尿路感染症 (cUTI) といった感染症に対する優先度が高いことが判明した。またボツリヌス神経毒の治療に関して、認可製品に比べてコスト、製造可能性、投与経路、保存、効能などの面で改善した製品の開発を志向

していることも明らかになった。

②MCMの利用可能性確保に関する調査：

厚労省の「重点感染症 暫定リスト」(A=天然痘、B=SARS 等 11 疾患、D=マラリア等 5 疾患) について以下を行なった。

- ・ 既承認品と開発パイプラインを網羅的に把握
- ・ 発生シナリオ別に「どの MCM を、どの量・形態で備えるか」を検討するための基礎情報を作成

パイプラインについて、国内開発は RSV、エボラ出血熱、マラリアでパイプラインが存在する。各疾患に対する開発状況は国際的な傾向とは異なり、感染症の国内外の発生状況を反映していると予想された。また P2 以上が存在しないのは SARS・SFTS・ニパウイルスだった。

治療薬をモダリティ別に整理すると、大部分が低分子化合物であり、その他、モノクローナル抗体の開発もマラリア等を対象に進められていた。

また重点感染症各疾患について、疾患特性と想定発生・対応シナリオを踏まえ、医薬品に求められる要件や現在の承認薬や開発状況を整理した。

③MCM の研究開発に関するファンディングスキーム調査

海外 (米国・英国・EU) と国内のプッシュ型・プル型支援制度を収集し、その実施主体、対象、仕組み、予算等を整理したうえで、日本への適用可能性と導入課題の分析を行った。

インセンティブは研究開発への投資コストに働きかけ参入障壁を下げるプッシュ型と、技術確立後に経済的報酬や規制上の優遇を与えて研究開発を誘導するプル型に大別した。両者は研究段階から市場導入後まで連続的に組み合わせるハイブリッドが効果的とされ、他分野の炭素クレジットや成果連動型民間委託 (PFS) などを参考に、その設計思想が整理された。

海外調査では 28 件のプッシュ型、22 件のプル

型を抽出し、前者を研究費助成・パートナーシップ構築支援・データ／ツール提供・インフラ整備の四類型に、後者を成果達成後の金銭報酬、成果を期待した前払的報酬、レゴ規制（審査迅速化・独占権延長等）、その他非金銭型に類型化した。米国の BARDA を中心に、プロジェクト・バイオシールドによる研究から調達・備蓄まで一体となった支援、抗菌薬 NUZYRA のオンショアリング契約、ワクチン・治療薬製造網を強化する BioMap Consortium、アーリーステージ企業を加速する BARDA Accelerator Network など、官民パートナーシップと複数年資金を組み合わせた事例が分析された。また米国保険・福祉省の NTAP は、市場導入後の高額新技術に対して病院償還を上乗せし、採用を後押しするレゴ規制型インセンティブとして紹介された。

D. 考察

海外では候補シーズから備蓄・市場供給までを単一の政策スキームで途切れなく支援する「一気通貫型」の開発が強調されていた。これにより開発主体は資金源や手続の切り替えに煩わされることなく、臨床試験と製造準備を並行させられるため、タイムロスが削減できると考えられる。

日本でも希少疾病用医薬品・医療機器・再生医療等製品の開発において特定の領域の開発を支援するためにプル型インセンティブが実施されている例があり、重点感染症に対する研究の設定においても、参考になる点があるように思われる。また現状では重点感染症を対象としてこれに特化した研究開発のインセンティブ設定は限定的であり、この領域の研究開発の促進のために今後どのようなインセンティブ設定を行なっていくかについても検討が必要である。

重点感染症各疾患については日本における想定発生・対応シナリオを考慮したうえで、医薬品に求められる要件や現在の医薬品の開発状況や承認状況が整理された。一方で疾患によっては海外で

承認されている医薬品が日本で流通していない等、医薬品へのアクセスに問題があるケースもある。日本での研究開発については、①多くの重点感染症においては研究開発は活発ではなく、一方で②海外で承認されている薬剤も国内に流通していない、③後期臨床に進む国産パイプラインが乏しい、④サプライチェーンが海外に依存しがちである、等の構造的課題があることが明らかになった。

上記を踏まえて、今後の医薬品 MCM の確保、研究開発を推進するうえで以下が考慮される：

1. 現状のプル型インセンティブ制度を重点感染症に対しても適用する

国内の既存の制度と同じ枠組みを適用すれば、制度設計を大きく変更することなく税制優遇や優先審査、助成金など複数の支援措置を行うことができる。

2. 既存研究事業における MCM の重点化

国内には多様な公的研究事業が存在する。これらの事業で有事対策として重点感染症の MCM に関する研究開発を重点化し、①「重点感染症トラック」での採択を優先する、②審査期間を短縮する、③審査手数料を免除する、④提供試料（生体試料、微生物試料など）を無償化するといった措置を講じれば、企業や研究機関が MCM 分野にリソースを振り向けやすくなる。

3. 研究開発を一気通貫で進めるための、戦略立案、産官学パートナーシップの強化、および支援の一元化

米国では 対公衆衛生危機医薬品調達事業（PHEMCE：The Public Health Emergency Medical Countermeasures Enterprise）を保健福祉省が立案し、研究・開発・調達・備蓄・緊急使用が一体的に管理されている。一方で日本はフェーズごとに省庁や予算が分断されている。これに対処するため、MCM に特化した産官学コン

ソーシアムを設立し、国のニーズを明確に提示したうえで、研究初期段階から承認、さらには調達・備蓄契約までを切れ目なく伴走する支援パスを用意する。研究初期段階から承認、さらには調達・備蓄契約までを切れ目なく伴走する支援パスを用意する。

E. 結論

本研究は日本の重点感染症を対象に、発生シナリオ設定→必要量算定→供給評価→調達戦略立案の4段階モデルで治療用 MCM の確保プロセスを具体化し、既承認薬・開発パイプラインと不足ギャップを網羅的に整理した。

WHO R&D Blueprint や米国 BARDA の枠組みを参照し、国内外のインセンティブを類型化した結果、日本では開発初期から備蓄契約まで途切れなく支援する仕組みと重点感染症向けの MCM の研究開発に対する優遇策が不足していることが判明した。今後は優先度疾患に既存プル型制度を適用・

一元的産官学コンソーシアムを構築し、備蓄候補薬の評価と調達契約を進めることで、実効的な MCM 供給体制を整備する必要がある。

F. 研究発表

1. 論文発表

該当なし

2. 学会発表

該当なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

該当なし

2. 実用新案登録

該当なし

3. その他

該当なし