

2016年9月13日

各位

お問い合わせ先
〒105-0003
東京都港区西新橋1-5-11 第11 東洋海事ビル 2F
一般財団法人 医療経済研究・社会保険福祉協会
医療経済研究機構 企画渉外部 竹部亨
TEL : 03-3506-8529 FAX : 03-3506-8528
E-mail : toru.takebe@ihep.jp

「日米におけるトランスレーショナルリサーチを取り巻く環境に関する調査研究 ～大学を起源とする創薬シーズ実用化のための仕組み～」に関する調査報告について

医療経済研究機構（東京都港区、所長：西村周三）は、平成27、28年度自主研究事業として実施しました「日米におけるトランスレーショナルリサーチを取り巻く環境に関する調査研究～大学を起源とする創薬シーズ実用化のための仕組み～」に関する調査報告を取りまとめましたので、その概要についてお知らせします。

近年、FDA（米国食品医薬品局）により承認される新規医薬品成分の40%以上が大学やバイオベンチャーを起源とするにも関わらず、日本を起源とする医薬品に限ると、その割合は未だ20%以下の低い水準にあります⁽¹⁾。本調査研究では、我が国の創薬におけるイノベーション創出に向け、大学の基礎研究を臨床における実用化に繋ぐ「トランスレーショナルリサーチ」の日米比較を行い、日本における具体的なボトルネックの探索とその解決すべき課題への対応策について提言を行いました。

主な調査結果としては、次のような点が挙げられます。

- ①創薬研究・開発に対する大学の考え方には、日米で大きな違いはなく、大学は学問的な興味や基礎研究の強みを活かすことで、非臨床における革新的なシーズ（コンセプト、アイデア等）を創生することが創薬における役割と考えている。また大学は、資金面において、大学単独で臨床試験を実施することは難しいため、企業とのコラボレーションが必要であると考えている。
- ②大学の基礎研究を実用化に結びつけるためには、技術移転や知的財産の管理、シーズ評価やライセンス契約等の面から、創薬研究をサポートする機能である技術移転機関（TLO）が大学内に必要であるが、TLOについては日米において組織規模や人材面におけるキャリア経験、有資格者の割合等が異なり、雇用や報酬の待遇面でも大きな差がある。
- ③実用化に向けた企業との共同研究やライセンス契約の際に、企業から大学に対して、薬物動態や安全性のデータ、ファーストインヒューマンやPOC（Proof of Concept）の取得等、大学が単独で容易に取得できないデータの提供が求められており、これは日米同様の傾向が見られた。一方、欧米企業は、大学が行う研究初期の段階（コンセプトやアイデア自体等）より投資を行い、共にリスクテイクする姿勢があるが、日本企業は臨床試験や上市に直ぐに繋がりそうなシーズを求める傾向が強く、産業側の受入れ態勢について違いがある。

以上の結果から、解決すべき課題と対応策について、以下の3つの提言を行っています。（図表1）。

①非臨床試験データ取得を目的とした研究所の設立

大学で行われた基礎研究を実用化に結びつけるためには、企業とのコラボレーションが必要であるが、大学は資金、設備、人材などの不足により、シーズを評価する上で企業から求められる薬物動態試験や安全性試験のデータ取得が難しいという課題がある。故に、データが不十分なために企業とのコラボレーションや実用化を断念していることも少なくない。そこで、非臨床試験データの取得を目的とした専門の研究所を設立し、特許取得に至った大学由来のシーズの薬物動態、安全性等の試験を実施し、そのデータを大学に提供する、といった現物支給の研究助成を行う仕組みを作ることが有効であると考えられる。

研究所では、データ取得のスキルを有する技術者によって、シーズの試験を効率的に実施することができ、初期の段階で企業側が必要とするデータの取得が可能となれば、これまで断念していたシーズが臨床開発段階に引き上げられる可能性が期待できる。

②産学連携部門・TLO人材の更なる充実

大学から製薬産業への橋渡しにおいて重要な役割を担う TLO の業務は、高度な知識とスキルを要するため、人材の確保や育成が大きな課題である。日本では博士号等の学位取得者は多くはなく、人材の流動性も低いため、TLO に関わる人材の充実策として米国同様に学位取得者や有資格者を数多く獲得することは得策とは考えにくい。このため、丁寧に相手のニーズに耳を傾け、相手の希望に沿う形でシーズの説明をできる人材等、協働に向けた折衝能力を持つ人材を獲得することが日本の文化にあった人材獲得策であると考えられる。また、実用化に向けた協働においては、企業側のニーズやトレンド、スピード感等、実用化に向けた優先事項を大学側でも理解しておくことが必要であり、そのような内容の教育プログラムも求められる。

③シーズ受け入れ体制の構築

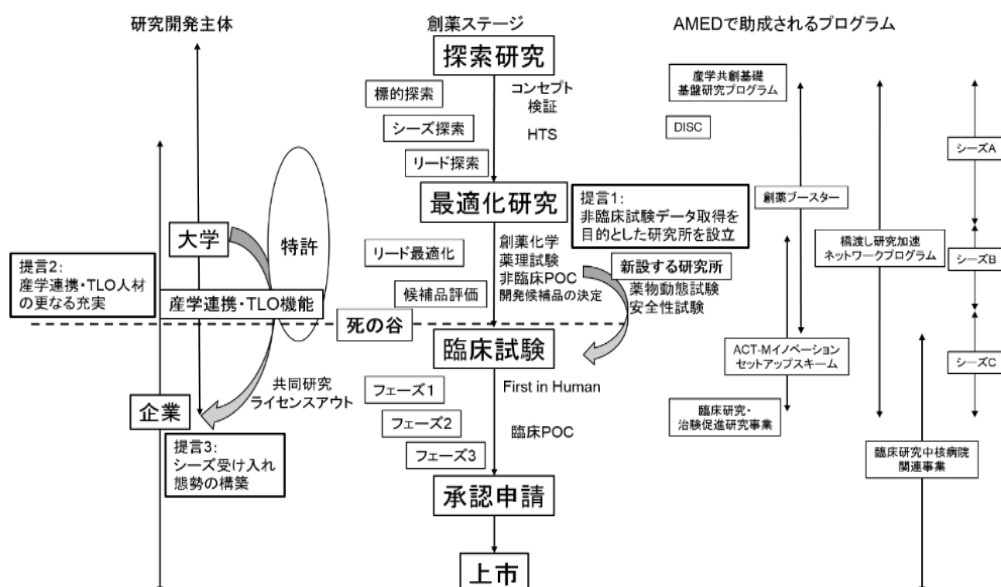
大学の基礎研究を実用化につなげるためには、大学側だけではなく、企業側の態勢の転換も必要であることが示唆された。日本の製薬企業には、コンセプトやアイデアに投資をするためのマインドセットの変更が求められている。自社研究への投資と大学のアイデアやコンセプトへの投資の費用対効果を検討し、日本企業も大学と共にリスクテイクをした協働を進めることが期待される。また、日本企業は海外メガファーマと比較し、研究開発資金規模が小さいため⁽²⁾、契約条件の工夫や見直しにより、両者にとって有利な契約を模索することが必要であると考えられる。

(1) 1998-2007 年に FDA で承認された 252 の医薬品の内、約 42%が大学やバイオベンチャーを起源とする一方で、日本を起源とする医薬品に限ると、大学やバイオベンチャーを起源とする割合は約 19%に留まっている。

Robert Kneller The importance of new companies for drug discovery: origins of a decade of new drugs *Nature Rev. Drug Discov.* **9**, 867-882 (2010)

(2) 医薬品産業ビジョン 2013 資料編 厚生労働省

図表 1：日本におけるトランスレーショナルリサーチ推進のために



医療経済研究機構について

我が国における医療経済及び医療・介護政策に関する研究を促進することを目的とした研究機関です。医療・介護政策の発展・向上に資するため、経済学等の手法により、さまざまな事象を実証的に研究するとともに、医療経済等に関する情報の収集・蓄積並びに普及啓発、この分野の専門的研究者の育成等を実施しております。詳細はウェブサイト (<https://www.ihep.jp>) をご参照ください。

調査の概要について

【調査メンバー】

- (代表研究者) 竹部 亨 (医療経済研究機構 研究員)
(研究者) 今井 亮翔 (医療経済研究機構 研究員)
近藤 光量 (医療経済研究機構 研究員)
赤羽 隆文 (前医療経済研究機構 研究員)

【調査方法】

NIH (National Institutes of Health) や AMED (国立研究開発法人日本医療研究開発機構) 等の創薬研究助成機関や助成の仕組み、大学内の創薬研究サポート体制 (TLO: 技術移転機関の設置、知的財産担当者の設置等)、国や地域における創薬エコシステム等の政策的に検討可能な項目を調査対象とし、ウェブページや文献による調査を行った。続いて、これらの調査に基づき、各機関 (米国 8 機関、日本 7 機関) への質問項目を選定し、質問項目に対する回答をインタビュー形式で聴取し、日米におけるトランスレーショナルリサーチを取り巻く環境の比較を行った。

【ヒアリング実施機関】

米国 (訪問順、2015 年 12 月 7 日～11 日に実施) :

- ・バーテックス・ファーマシューティカルズ (Vertex Pharmaceuticals Incorporated)
- ・ハーバード大学 技術開発推進室 (Harvard University, Office of Technology Development)
- ・MassBIO (Massachusetts Biotechnology Council)
- ・武田薬品オンコロジー事業部 (Takeda Oncology, Oncology business unit of Takeda Pharmaceutical Company Limited)
- ・エール大学 共同研究推進室 (Yale University, Office of Cooperative Research)
- ・ペンシルベニア大学 イノベーション推進室 (University of Pennsylvania, Penn Center for Innovation)
- ・ジョンズホプキンス大学 臨床及び橋渡し研究推進機構 (Johns Hopkins University, Institute for Clinical and Translational Research)
- ・アメリカ国立衛生研究所 / 国立先進トランスレーショナル科学センター (National Institute of Health / National Center for Advancing Translational Sciences)

日本 (訪問順、2016 年 5 月 10 日～6 月 2 日に実施) :

- ・東京大学 TR 機構 (トランスレーショナル・リサーチ・イニシアティブ)
- ・株式会社東京大学 TLO
- ・京都大学医学部附属病院 臨床研究総合センター
- ・慶應義塾大学病院臨床研究推進センター
- ・慶應義塾大学 研究連携推進本部
- ・東北大学病院臨床研究推進センター
- ・株式会社東北テクノアーチ

【報告書目次】

第1章 はじめに

1. 調査目的
2. 調査方法
3. 面会機関
4. 調査背景

第2章 トランスレーショナルリサーチの定義

1. トランスレーショナルリサーチの定義
2. 日本におけるトランスレーショナルリサーチの位置付け

第3章 米国におけるトランスレーショナルリサーチ

1. NIHにおけるアカデミア創薬の推進
2. 大学におけるトランスレーショナルリサーチへの取り組み
3. 大学の創薬を取り巻くその他の取り組み

第4章 日本におけるトランスレーショナルリサーチ推進体制

1. 日本政府におけるアカデミア創薬の推進
2. 大学におけるトランスレーショナルリサーチへの取り組み

第5章 まとめと提言

1. トランスレーショナルリサーチを取り巻く環境の日米比較
2. 提言：日本におけるトランスレーショナルリサーチ推進のために

【公開に関する情報】

本調査報告は当機構の賛助会員向けに報告書として発行しております。また、当機構の賛助会員専用ウェブページにて電子版を公開しております。なお、報告書の概要については、当機構の一般向けウェブページ (<https://www.ihep.jp>)にてご覧いただけます。

以 上