

平成27-28年度 医療経済研究機構自主研究事業

大学を起源とする

創薬シーズ実用化のための仕組み

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 調査研究報告書

研究代表者

竹部 亨／今井 亮翔／近藤 光量／赤羽 隆文

平成28年9月



IHEP



発刊にあたって

医療経済研究機構は、わが国における社会保障制度及び、医療経済・医療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・健康増進・疾病予防を含むヘルスケア全般を研究領域とした様々な調査研究事業を行っており、これら領域の一つとして、ヘルスケア産業に関する調査研究も行っています。

平成 25 年 6 月に閣議決定された日本再興戦略では、産業基盤を強化する「日本産業再興プラン」、新たな市場を創造する「戦略市場創造プラン」、拡大する国際市場を獲得する「国際展開戦略」の 3 つのアクションプランが示され、中でも「戦略市場創造プラン」の具体策として、医療関連産業の活性化が打ち出されました。医療関連産業の活性化の取組みには、医療分野の研究開発の司令塔として、国立研究開発法人日本医療研究開発機構の設立、医薬品・医療機器開発及び再生医療研究の加速化が盛り込まれ、現在までに順次進められています。

一方で近年では、世界的に創薬難易度が上昇している傾向にあります。革新的な医薬品を世界中の人々に届けるためには製薬企業の自社研究開発のみに頼る創薬だけでは限界が見え始め、大学やベンチャー企業を起源とした創薬の重要性が増してきており、オープンイノベーション、トランスレーショナルリサーチといったアカデミアによる基礎研究を産業化につなげる動きが活発化しています。

このような背景のもと、弊機構においては、わが国における革新的な医薬品の創出に寄与するために、大学における創薬シーズを産業化するための調査研究に着手することにしました。本調査研究では、文献調査に加え、米国及び日本におけるヒアリング調査も実施することで、日米のトランスレーショナルリサーチ推進施策、産業化のための取組みや課題などを整理し、調査研究報告書の発刊に至りました。

本報告書の発刊に当たりましては、日米を問わず多くの方に面談の機会、ヒアリングへの回答をいただき、多大なるご支援を賜りました。この場をお借りして、厚く御礼申し上げます。

平成 28 年 9 月

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
所長 西村 周三

調査研究体制

(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)

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～

研究要旨

近年、FDA (Food and Drug Administration) により承認される新規医薬品成分数が減少する中で、大学を起源とした創薬に注目が集まっているが、大学の基礎研究と臨床における実用化の間には死の谷が存在し、これを橋渡しするためのトランスレーショナルリサーチ (TR) が世界中で進められている。著者らはわが国のトランスレーショナルリサーチの更なる発展を目的に、日米の TR 推進機関、大学、製薬企業、バイオベンチャーなどにヒアリング調査を実施し、米国と日本の TR 推進体制やこれを取り巻く環境について調査した。

NIH (National Institutes of Health) と AMED (国立研究開発法人日本医療研究開発機構) を比較すると、組織全体、外部への研究助成、TR 推進の為の拠点形成型プログラムのいずれにおいても予算や規模に大きな開きがあった。米国では 1980 年、日本では 1999 年に制定されたバイ・ドール制度は、大学における創薬を活性化するために一定の寄与をしたと考えられ、日米両国において特許取得件数、技術移転機関 (TLO : Technology Licensing Office) 設置数等を伸ばした。

トランスレーショナルリサーチに対する大学の考え方は、日米で大きな違いはなく、一部の場合 (希少疾患薬、医師主導治験によるドラッグリポジショニング等) を除くと、非臨床における革新的なシーズ (コンセプト、アイデア等) を創生することが大学の役割であり、基本的には大学単独での臨床試験は実施できないと考えている。理由は資金にあり、訪問した米国の大学でさえ、単独で臨床試験を実施するだけの資金力はないと認識していた。NIH や AMED から助成される研究資金は大学のシーズを産業化するには足りておらず、このため研究成果の実用化には企業へのライセンスアウトが必要であった。また、研究助成額が十分でない中で、大学が更なる研究を進めるためにはライセンス収入は大きな資金源であり、大学が基礎研究を実用化につなげるモチベーションとなっていた。

大学は創薬シーズとなる革新的なコンセプトやアイデア、臨床試験を実施するための大学病院を有するが、多くの場合で資金的な面から単独で臨床試験を実施することは難しい。大学は臨床試験を実施するために、企業との協業やライセンスアウトを望むが、目的・資金・設備・ノウハウなどの違いから両者には大きな隔たりが生じている。このように大学の創薬においては、基礎研究と臨床現場、大学と産業の間のいずれの意味でも、非臨床試験から臨床試験に移行するタイミングで死の谷に直面すると結論付けられ、我々は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以下の 3 つの提言を行った (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

臨床試験実施には薬理試験だけではなく、非臨床で取得すべき薬物動態試験や安全性試験の実施が必要である。そこで、AMED の下部に非臨床（薬物動態、安全性等）データ取得のための研究所を設置し、必要な試験のみを現物支給することを提言する。従来のプログラムの様に、先にプロジェクトを指定し、進捗があった場合に試験するのではなく、順次特許を取得したような創薬シーズに対して目利きを行い、試験を提供する。これにより、大学は企業とのライセンスや協業の交渉、IND 申請に必要なデータの取得が可能となる。

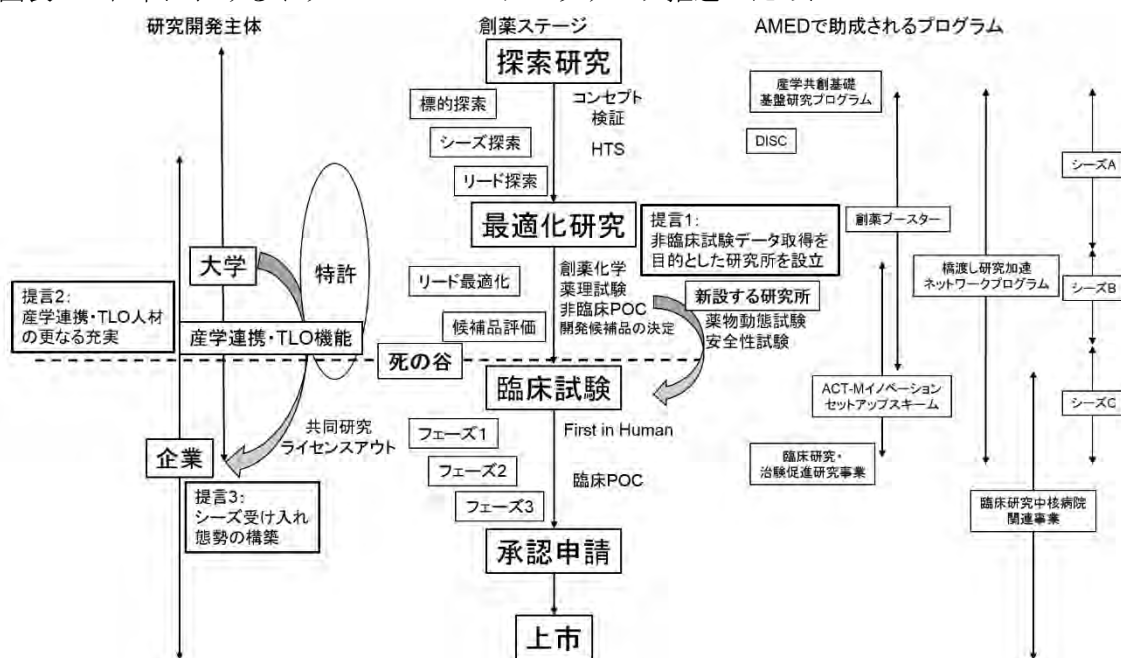
2) 産学連携・TLO 人材の更なる充実

企業との協業やライセンスアウトにおいて重要な役割を担う産学連携部門や TLO は、知的財産、ビジネス、科学などの多様な知識とスキルを求められる。日本では博士号や経営学修士取得者は多くないので、有資格者で人材を充実させるよりも、コミュニケーション力を活かした商社や製薬企業の営業担当者の様な人材を獲得するべきと提言する。また、産学連携部門や TLO の人材育成には、大学自身によるものだけでなく、製薬業界によるトレンドやスピード感に関する教育、意見交換も積極的に進めることを提言する。

3) シーズ受け入れ体制の構築

外資系企業は内資系企業に比べて大学のシーズ（コンセプト、アイデア）への投資が上手く、積極的な投資を行っている。一方で内資系企業は臨床試験や上市に繋がる化合物ばかりを求める傾向にあるため、大学の強みを活かした協働を行うためには企業側のマインドセットの変更が必要であることを提言する。ただし、これには内資系企業とグローバルメガファーマの資金力の差もあると考えられるため、Win-Win となる（企業 vs 企業の契約とは異なる）契約形態を企業側、大学側の双方が協力して模索することも必要である。

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



「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～」報告書

《目次》

発刊にあたって.....	i
調査研究体制.....	ii
研究要旨.....	iii
目次.....	v
第1章 はじめに.....	1
1. 調査目的.....	1
2. 調査方法.....	1
3. 面会機関.....	2
4. 調査背景.....	3
第2章 トランスレーショナルリサーチの定義.....	11
1. トランスレーショナルリサーチの定義.....	11
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.....	13
第3章 米国におけるトランスレーショナルリサーチ.....	17
1. NIHにおけるアカデミア創薬の推進.....	17
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.....	39
3. 大学の創薬を取り巻くその他の取り組み.....	51
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.....	55
1. 日本政府におけるアカデミア創薬の推進.....	55
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.....	73
第5章 まとめと提言.....	99
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.....	99
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.....	103
謝辞.....	111
引用文献.....	112

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
～
報告書

平成 28 年 9 月

発行：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

〒105-0003 東京都港区西新橋 1-5-11

11 東洋海事ビル 2 階

TEL : 03 (3506) 8529

FAX : 03 (3506) 8528

本報告書の全部又は一部を問わず、無断引用、転載を禁じます。

PJ No.15501