

「個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発」  
評価結果(案)  
(評価専門調査会検討結果)

平成 24 年 11 月 15 日  
評価専門調査会

## 1. 総合評価

「個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発」は、次世代医薬品として期待される天然化合物、次世代抗体医薬及び核酸医薬の創出に有効な「IT 創薬技術」、「次世代抗体医薬等の安定生産技術」及び「体内動態把握技術」を産業活用するための技術的な課題を克服することにより、従来の低分子医薬品中心のブロックバスターモデルから、個別化医療に対応したバイオ医薬品中心の新たなビジネスモデルへの移行を促進するものである。

本事業は、経済産業省が平成 25 年度より実施する新規事業であり、事業期間は平成 25 年度から平成 29 年度までである。

個別化医療は、コンパニオン診断による疾患の階層化(遺伝子のタイプ別分類)に基づき、治療薬の有効性と副作用を予測して、患者に最適な治療薬を選別して投薬を行うものである。このため、患者へのメリットのみならず、治療薬の総処方数が減少されるため医療経済の観点からも重要な先端医療である。また、抗体医薬などのバイオ医薬品は、従来の低分子医薬品に比して標的分子に対する選択性が高いため個別化医療に適しており、世界的に成長著しい領域だが、我が国では輸入超過産業となっている。

したがって、次世代医薬品を我が国でも創出しやすくするように、隘路となっている技術的課題を解決することは重要な課題となっている。個別化医療に向けた次世代医薬品創出については、「第 4 期科学技術基本計画」(平成 23 年 8 月 19 日 閣議決定)において、安全で有効性の高い治療の実現のため、疾患の階層化等に基づく創薬の推進は重点的な取組として位置付けられている。

これまで我が国では、膜タンパク質の静的解析が可能な IT を活用した創薬シミュレーション技術、世界トップクラスの発酵技術、世界最大の約

35 万サンプルを貯蔵する天然化合物ライブラリー、次世代バイオ医薬品の製造に必要な要素技術、低分子医薬品用のマイクロドーズ技術等を確立したところである。これらの成果は、「IT 創薬技術」、「次世代抗体医薬等の安定生産技術」及び「体内動態把握技術」の産業活用に向けた技術的課題の克服を目的とする本事業の実現に資するものと考えられる。しかしながら、本事業で取り組む研究開発内容は、いずれも民間企業が取り組む基盤的技術としてはハイリスクであるため、国の支援の下で取り組む意義がある。

以上のとおり、本事業は、その実施意義や必要性は高いと認められ、また、国際的に激しい技術開発競争下にあることから、国として早急に取り組むべきものと判断される。ただし、効率的、効果的な事業推進のため、本事業を構成する各技術開発(IT 創薬技術、次世代抗体医薬等の安定生産技術、体内動態把握技術)の成果を最も有効に活用できる次世代医薬品を中核に実施することが望まれる。さらに、本事業の実施及び今後の研究開発評価に当たっては、以下の指摘事項を踏まえた対応を求めるものである。

## 2. 指摘事項

### (1) 目標設定及び事業計画について

本事業の目標については、本基盤技術の実用化による 2030 年での市場の創出や 1 薬剤あたりの開発費の削減等の社会・経済などの国益上の効果を示しているが、基盤技術開発の成果を個別化医療に向けた医薬品創出及び製造装置開発に結び付ける道筋は曖昧であり、技術開発だけで終了し製品化に結び付かないおそれがあることから、その道筋を予め明確にしておく必要がある。例えば、創出を目指す医薬品については、その対象とする疾病及び薬効を明示した具体的な目標の設定とその設定根拠を示すことが望まれる。

また、本事業が個別化医療の実現に資するためには、天然化合物、次世代抗体医薬、核酸医薬のそれぞれが個別化医療に結び付く道筋を予め明確にしておく必要がある。例えば、疾患の進展等に関与する遺伝子やタンパク質などの具体的な標的分子を明確にするとともに、各技術開発がそれら医薬品の創出にどのように関わるのか明確にすることが望まれ

る。

次世代抗体医薬等の安定生産技術については、次世代医薬品の生産技術市場はグローバルであることから海外市場もにらみ、デファクトスタンダードを目指すことも検討するとしている。しかし、海外市場を開拓するための更なる方策、例えば、早期の段階における海外パートナーとの協力についても検討する必要がある。

## (2) 事業構成について

本事業を構成する各技術開発(IT 創薬技術、次世代抗体医薬品等の安定生産技術、体内動態把握技術)については、それぞれを独立した形で進めた後、短期間での治験の実現という点で連携を図るとしているが、それ以前の段階からの相互連携を図る必要がある。特に IT 創薬技術は他の技術と連携を図る上で重要な基盤技術であり、研究開発段階から各技術開発間の有機的連携を図ることが望まれる。例えば、IT 創薬技術と体内動態把握技術を連動させることで標的疾患臓器への薬物到達性の向上が可能と考えられる。

また、本事業で対象としている次世代医薬品(天然化合物、次世代抗体医薬、核酸医薬)についても具体的な相互連携方策を構築し、効率的、効果的に進める必要がある。例えば、①医療現場では複数の医薬品による併用療法が主流であることから、天然化合物と抗体医薬の相乗効果についての検討をした上で技術開発を行うこと、②一部の核酸医薬には、標的と結合して機能を抑えるといった抗体医薬と同様の作用があるので、それらのメリット・デメリットを比較検討した上で技術開発を行うこと、が望まれる。

## (3) 推進・実施体制の構築について

本事業では、事業を統括するプロジェクトリーダー及び各技術開発(IT 創薬技術、次世代抗体医薬品等の安定生産技術、体内動態把握技術)にそれぞれサブリーダーを設置し、各技術開発を連携してバリューチェーンを構築するための全体統括のマネージメントボードを設置するとしている。そのマネージメントボードは、プロジェクトの再編・中止も含めた強力な権限を有するとしているが、その機能を持つのが第三者の外部評価機関

なのか、事業の実施に責任を持つ機関なのか曖昧である。本事業の推進機能と事業に対する評価機能を持つ組織を各々明確化し、PDCA サイクルが適切に行われる体制を構築する必要がある。

次世代抗体医薬等の安定生産技術については、実用化を促進するため、開発段階から薬事審査当局の助言等が得られるように協力体制を構築するとあるが、次世代医薬品の開発に当たっては、それに加えて、厚生労働省との密接な連携を図って推進することが必要である。例えば、医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談を基盤研究成果利用主体が受け取ることを、経済産業省が推奨するなどの工夫をする必要がある。

本事業の規模に鑑みれば、より革新的な成果を創出するためには、これまでの創薬開発関連事業の継続ではなく、新たな独創的な技術シーズを積極的に発掘するなどの取組も推進する必要がある。その際には、創薬開発は長期にわたることから、この分野の若手の人材が育っていくことが望まれる。

#### (4) 経済産業省における評価のあり方について

本事業に係る経済産業省の事前評価では、主に科学技術的観点から当該分野の外部専門家・有識者への個別ヒアリングを実施した後、その結果を踏まえつつ、産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会において、主に事業の意義、必要性、運営方式や体制等についての評価を実施している。昨今の技術的進歩は速く、専門分野が多岐にわたるので、目標とする技術の実現可能性や研究開発目標の妥当性等の評価をより充実させるため、今後は、大規模な研究開発の事前評価を行う場合に、経済産業省は当該分野の外部専門家・有識者による会議体で評価を行うことを検討する必要がある。