

総合科学技術会議が実施する
国家的に重要な研究開発の評価

「個別化医療に向けた
次世代医薬品創出基盤技術開発」
の評価結果

平成 25 年 3 月 28 日

総合科学技術会議

目 次

1.	はじめに.....	1
2.	評価の実施方法	2
2.1.	評価対象の概要	2
2.2.	評価目的.....	2
2.3.	評価方法.....	3
3.	評価結果	6
3.1.	総合評価.....	6
3.2.	指摘事項.....	7

参考1 評価専門調査会 名簿

参考2 評価検討会 名簿

参考3 審議経過

参考4 第1回検討会 経済産業省提出資料【省略】

参考5 第2回検討会 経済産業省提出資料【省略】

1. はじめに

総合科学技術会議は、大規模な研究開発その他の国家的に重要な研究開発について、国の科学技術政策を総合的かつ計画的に推進する観点から、自ら評価を行うこととされている(内閣府設置法第26条)。

このため、総合科学技術会議では、新たに実施が予定される国費総額が約300億円以上の研究開発について評価を行い、その結果を公開するとともに、評価結果を推進体制の改善や予算配分に反映させることとしている。評価にあたっては、あらかじめ評価専門調査会が、必要に応じて専門家・有識者の参加を得て、府省における評価の結果も参考に調査・検討を行い、総合科学技術会議はその報告を受けて結果のとりまとめを行うこととしている。

「個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発」は、平成25年度予算概算要求において、経済産業省が新たに実施することとした事業であり、平成25年から平成29年までの5年間の国費総額405億円(概算要求段階)を見込んだ大規模研究開発である。総合科学技術会議では、評価専門調査会に当該研究開発に係る分野の専門家・有識者を交えて調査・検討を行った。その結果を踏まえて評価を行い、その結果をここにとりまとめた。(注)

総合科学技術会議は、本評価結果を関係大臣に通知し、実施計画や推進体制の改善、予算配分への反映を求めるとともに、評価専門調査会において、その実施状況をフォローアップすることとする。

(注)本評価結果は、平成25年度予算概算要求段階における経済産業省の見積りによる総事業費及び実施期間を前提として、とりまとめたものである。総事業費及び実施期間等については、概算要求段階におけるものを記述している。

2. 評価の実施方法

2.1. 評価対象の概要

○名称:『個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発』

○実施府省:経済産業省

○実施期間及び予算額:

平成 25 年度から平成 29 年度まで(注 1)。

国費総額 405 億円(注 2)。

(注 1、2)平成 25 年度予算概算要求段階(平成 25 年度要求 81 億円)における経済産業省の見積りによる総事業費及び実施期間。

平成 25 年度政府予算案 37 億円。

○事業内容:

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。

2.2. 評価目的

総合科学技術会議は、国の科学技術政策を総合的かつ計画的に推進する観点から実施し、評価結果を関係大臣に通知して、当該研究開発の効果的・効率的な遂行を促進することを目的に評価を実施する。

2.3. 評価方法

(1) 評価検討会の設置

評価に必要な調査・検討を行うため、評価専門調査会[参考 1]の有識者議員1名、専門委員3名に、外部より当該分野の専門家・有識者3名の参加を得て、評価検討会を設置した[参考 2]。

当該分野の専門家・有識者の選任においては、評価専門調査会会長がその任に当たった。

(2) 評価時期

評価結果を推進体制の改善や予算配分に反映させる必要があるため、予算概算要求提出後、9月より調査・検討を開始し、年内に評価結論を得ることとした[参考 3]。

(3) 調査・検討方法

ア. 過程

- ・ 第1回評価検討会において、経済産業省から研究開発等の内容について説明を受け[参考 4]、質疑を行い、イ. の調査・検討項目を念頭に問題点や論点候補について議論した。その後、この議論と評価検討会委員から提出された追加質問に基づく追加説明依頼項目について、経済産業省へ対応を依頼した。また、評価検討会委員からの評価コメントを踏まえ、論点を整理した。
- ・ 第2回評価検討会において、追加説明依頼項目について経済産業省から説明を受け[参考 5]、質疑を行い、問題点や論点を議論した。
- ・ 第1回、第2回評価検討会での調査・検討内容及び、評価検討会委員からの評価コメントを踏まえ、評価結果原案(評価に

係る調査・検討結果)を作成した。

イ. 調査・検討項目

評価検討会においては、(1)の依頼項目について経済産業省から説明を受け、(2)の調査検討項目に係る基本的な項目に加え、評価対象事案に応じた評価の視点を明示し、調査・検討を実施した。

(1)依頼項目

- ①名称:事業名、担当課室名等
- ②期間:事業の開始及び終了の年度
- ③予算:平成25年度予算概算要求の内容、事業実施期間における国費投入総額等
- ④目的:背景と目指す方向(科学技術上、社会・経済上での目的・意義について)
- ⑤戦略等における位置付け:アクションプラン等、当該分野に係る長期戦略等における位置付け
- ⑥事前評価の実施状況とその内容
- ⑦事業内容:事業の実施方法(具体的なスキーム)、事業計画(線表)等
- ⑧目標:
 - ・研究開発期間終了時における具体的な達成目標や期待される成果
 - ・科学技術上、社会・経済上及び国益上の効果 等
- ⑨実施体制:実施機関・組織、推進委員会等(それぞれの役割、権限、責任)
- ⑩評価体制:委員会名簿、実施時期、実施状況、評価結果等
- ⑪その他:既存の事業との関係、連携に関する具体的な取組等

(2)調査・検討に係る基本的な項目

A. 科学技術上の意義

科学技術上の目的・意義・効果等。

B. 社会・経済上の意義

社会・経済上の目的・意義・効果等。

C. 国際関係上の意義

国際貢献・役割分担、国益上の意義・効果等。

D. 計画の妥当性

目標・期間・予算・体制・人材や安全・環境面等からの妥当性。

E. 運営等

事前評価の実施状況、評価結果の反映の仕組み等。

ウ. その他

評価検討会は非公開としたが、資料は公表に適さないとされた部分を除き検討会終了後に公表。また、議事概要については発言者による内容確認後に非公表情報、発言者の氏名を除き公表。

3. 評価結果

3.1. 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 年度を見込んでいる。

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

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。

3.2. 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ジメントボードを設置するとしている。そのマネジメントボードは、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。

《参考資料》

- (参考 1) 評価専門調査会 名簿
- (参考 2) 評価検討会 名簿
- (参考 3) 審議経過
- (参考 4) 第 1 回評価検討会 経済産業省提出資料【省略】
- (参考 5) 第 2 回評価検討会 経済産業省提出資料【省略】

参考 1 評価専門調査会 名簿

会長	奥村 直樹	総合科学技術会議	議員 (平成 25 年 1 月 5 日まで)
	相澤 益男	同	(平成 25 年 1 月 5 日まで)
	平野 俊夫	同	
	白石 隆	同	(平成 25 年 1 月 5 日まで)
	今榮 東洋子	同	(平成 25 年 1 月 5 日まで)
	青木 玲子	同	(平成 25 年 3 月 19 日まで)
	中鉢 良治	同	
	大西 隆	同	(平成 25 年 3 月 19 日まで)
会長	久間 和生	同	(平成 25 年 3 月 19 日から)
	原山 優子	同	(平成 25 年 3 月 19 日から)
	橋本 和仁	同	(平成 25 年 3 月 19 日から)
(専門委員)			
	浅見 泰司	東京大学空間情報科学研究センター長教授	
	阿部 啓子	東京大学大学院農学生命科学研究科 特任教授	
	天野 玲子	鹿島建設株式会社知的財産部長	
	伊藤 恵子	専修大学経済学部教授	
	射場 英紀	トヨタ自動車株式会社電池研究部部長	
	上杉 邦憲	独立行政法人宇宙航空研究開発機構 名誉教授	
	上野 裕子	三菱UFJリサーチ&コンサルティング 株式会社 主任研究員	
	長我部 信行	株式会社日立製作所中央研究所所長	
	河合 誠之	東京工業大学大学院理工学研究科教授	
	来住 伸子	津田塾大学学芸学部教授	
	白井 俊明	横河電機株式会社常務執行役員 イノベーション本部長	
	高橋 真理子	朝日新聞編集委員	
	玉起 美恵子	アステラス製薬株式会社研究本部 研究推進部課長	
	中馬 宏之	一橋大学イノベーション研究センター教授	
	中村 崇	東北大学多元物質科学研究所教授	
	福井 次矢	聖路加国際病院院長、京都大学名誉教授	
	松橋 隆治	東京大学大学院工学系研究科教授	
	村越 千春	株式会社住環境計画研究所取締役副所長	

《参考資料》

参考 2 評価検討会 名簿 (平成 25 年 1 月 5 日時点)

奥村 直樹 総合科学技術会議 議員

座長 阿部 啓子 評価専門調査会 専門委員

高橋 真理子 同

福井 次矢 同

清水 典明 広島大学大学院 生物圏科学研究科 教授

橋田 充 京都大学大学院 薬学研究科 教授

水口 賢司 独立行政法人医薬基盤研究所
バイオインフォマティクス
プロジェクトリーダー

参考3 審議経過

平成24年

9月19日

評価専門調査会

評価検討会の設置、スケジュールの確認等

10月12日

第1回評価検討会

ヒアリング、追加質問と評価の視点の検討

⇒追加質問事項をとりまとめ、経済産業省

へ対応を依頼

⇒評価コメントに基づき評価の論点を整理

10月26日

第2回評価検討会

追加ヒアリング、評価の論点の検討

⇒調査・検討結果のとりまとめ

11月15日

評価専門調査会

評価報告書案の検討

⇒評価報告書案のとりまとめ

