

# FIRST片岡プロジェクト 「ナノバイオテクノロジーが先導する診断・治療イノベーション」

助成額: 36.1億円  
研究支援担当機関: 科学技術振興機構

## <中心研究者>

**片岡一則**: 東京大学大学院工学系/医学系研究科/教授



1979年 東京大学大学院博士課程修了  
 1979年 東京女子医科大学助手、講師、助教授  
 1989年 東京理科大学助教授、教授  
 1996年 ナノキャリア(株)創業(ナノテク創業ベンチャー東証マザーズ上場)  
 1998年 東京大学大学院工学系研究科教授  
 2004年 東京大学大学院医学系研究科教授(併任)  
 <客員教授>パリ大学(1992年、1996年);  
 ミュンヘン大学(2008年); 浙江大学(2010年)  
 <主な受賞歴>  
 文部科学大臣表彰科学技術賞(2010年)、  
 フンボルト賞(2012年)、江崎玲於奈賞(2012年)

## <研究概要>

### ナノテクノロジーで難治がんを克服する!

1. 生体内バリアを克服する標的指向性ナノテク抗がん剤によって、副作用の低い画期的な難治がん治療法を確立
2. ナノテク抗がん剤と先端医療技術の融合によって、患者さんに負担の少ない超低侵襲外科治療・組織再建法を確立
3. 新規核酸バイオマーカーを検出するナノデバイスによって、がんの高精度・迅速診断法を確立

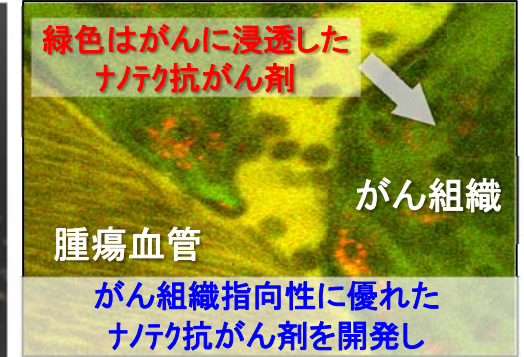
- ・地域や設備にとらわれず費用対効果に優れた最先端ナノ技術で数十万人規模のがん患者を抜本治療
- ・輸出を通じてナノ医療分野における我が国の国際競争力強化

## <研究成果>

(1) 既存の方法では治療困難な難治がんを克服!

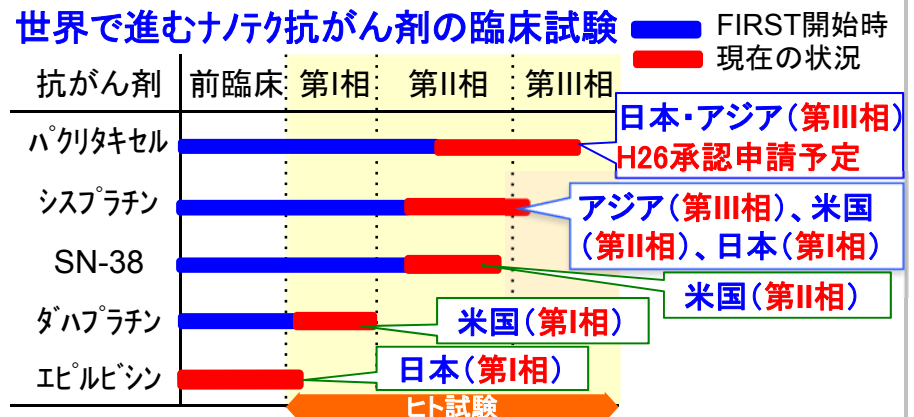


がんの薬剤耐性を克服  
(2011年1月、Science Trans. Med. の表紙に採用)



腫瘍血管  
がん組織  
がん組織指向性に優れたナノテク抗がん剤を開発し難治臓器がん治療を実現  
(2011年12月、Nature Nanotech. に論文掲載)

(2) 産学連携で世界標準を獲得するナノテク抗がん剤の実用化促進(2012年12月、Nature誌で特集)



厚生労働省の革新的医薬品等ガイドライン策定事業に採択。さらに、欧州医薬品庁の委託を受けてリフレクションペーパーを作成。日本が国際標準化、規制面で世界をリードする数少ないフィールドを形成。

# FIRST 片岡 プロジェクト

## 「ナノバイオテクノロジーが先導する診断・治療イノベーション」

助成額: 36.1 億円  
 研究支援担当機関: 科学技術振興機構

### <FIRST終了後の実用化への道筋>

#### 新たなイノベーションの創出

- ・アルツハイマー病の抜本治療を実現: 脳関門突破型革新的ナノ技術で医療費激増を抑制
- ・難治性がんを手術不要で克服: 標的指向化ナノ抗がん剤を世界の標準治療へ
- ・感染症パンデミックを未然に防止: 常温長期備蓄型ナノワクチンの普及による世界貢献
- ・在宅予防医療の標準化: 採血不要のポータブル型精密診断機器で国際標準獲得

日本が最先端ナノテクノロジーを中核とした「ものづくり力」を総動員。  
 R&D・製造の世界拠点として、対日直接投資・貿易黒字化・雇用機会拡大に貢献。

高度な診断・治療機能を  
 僅か数十ナノメートルのウイルスサイズに集約化



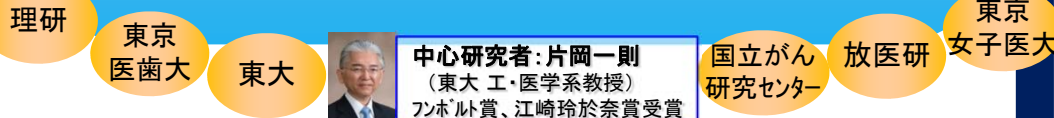
5年以内に2品目、10年以内で計5品目を上市

ナノ抗がん剤で1兆円市場を創生すると共に、国際標準を先導

2品目のナノ抗がん剤の上市 (現在5品目が臨床試験中)

#### FIRSTの成果:

あらゆる微小空間で生体機能をコントロールするナノ医療技術の創出  
 世界の先頭を走る研究で難治性がん(微小・転移・薬剤耐性)をピンポイントで撃破するナノ抗がん剤、イメージングや早期診断法を開発



日本が世界に誇るナノテクノロジーの学術基盤と「ものづくり力」

10年後

終了5年以内

プロジェクト中

### <実用化に向けた制度上・規制上の課題>

1. 審査基準の国際標準獲得: 「ナノ医療技術」製品の審査・承認基準は主要国で未整備だが、日本が一歩リード。このアドバンテージを強化。当FIRSTは
  - ・ 片岡が日本人としては極めて異例の国際標準の制定委員会の委員長。
  - ・ 厚労省「革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業」(採択済)で国立衛研、PMDA審査当局と共同でガイドラインを作成中。
2. ナノ医療の付加価値を薬価に反映: 国際開発競争をリードするには、R&D投資を呼び込む魅力あるリターンが必要。

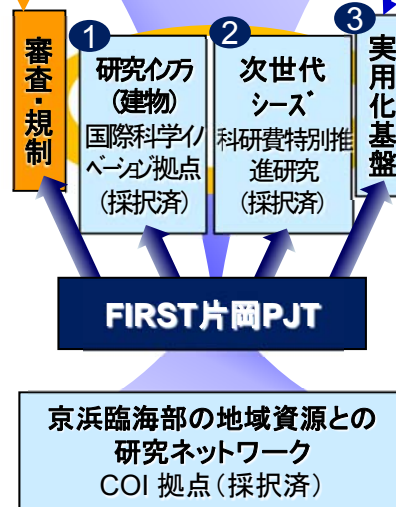
### <資金手当の方向性>

- ① 川崎市殿町(羽田対岸・特区)にナノ医療のオープンイノベーション研究拠点を建設(建物・設備の助成で総額40億円、2014年完成)



- ② アルツハイマー病治療につながるコア技術を創出、科研費で最も大型の特別推進研究(1億円/年)に採択
- ③ 創出された特許を基に、企業との共同研究が進行中。複数企業と共同で新規ベンチャーキャピタルファンドを本年度内に設立予定。スピンオフによる事業化促進。

更なる実用化プロジェクト  
 「ナノテックが先導する医療の国際標準獲得」





# FIRST白土プロジェクト

## 「持続的発展を見据えた分子追跡放射線治療装置の開発」

助成額: 48.0 億円  
研究支援担当機関: 北海道大学

### <中心研究者>

**白土博樹**: 北海道大学大学院医学研究科／教授



1981年 北海道大学医学部医学科卒業  
1994年 同大医学部放射線科講師  
1998年 同大医学部放射線医学講座助教授  
2006年 同大大学院医学研究科放射線医学分野教授

#### <主な受賞歴>

1995年 第1回梅垣賞(日本放射線腫瘍学会)  
1997年 第1回原子力技術医学利用振興賞  
2005年 第2回阿部賞(日本放射線腫瘍学会)  
2007年 トムソンサイエンティフィック社リサーチフロント賞(臨床医学分野)

共同提案者 平岡真寛 : 京都大学大学院医学研究科／教授

### <研究概要>

#### ●がんの克服による健康長寿の実現

個々人のがんの形状に合わせた、動く臓器のがんの治療(小型のがんはX線治療、大型のがんは陽子線治療による)を可能とすることで、2人に1人が罹患し、3人に1人が死に至る国民病であるがんの克服に貢献する。

#### ●日本の治療機器産業の復興

市場規模2兆円、輸入超過からの脱却、特区を活用した世界戦略製品の迅速な開発と国際標準化により、日本の治療機器産業の復興を図る。

### <研究成果>

#### 分子追跡陽子線治療装置【北海道大学】

- ・加速器と装置設置面積を従来の70%に低減成功。
- ・世界初の小型加速器を用い、従来陽子線治療装置よりシャープなビームの取り出しに成功。
- ・X線治療不可能な大型肺がん・肝がんで、動体追跡陽子線治療の従来陽子線治療に対する線量分布優位性を証明。
- ・FIRSTで開発したスポットスキャン専用陽子線治療装置を輸出開始。
- ・米国の3大有名病院の陽子線治療装置を日立が受注(メイヨークリニック2病院、セントジュード子ども研究病院)。
- ・北海道大学陽子線治療センターを拠点とした医学物理学の国際共同研究開始(スタンフォード大、メイヨークリニック等)。

#### 分子追尾X線治療装置【京都大学】

- ・動体追尾技術を搭載した世界初のX線治療装置の開発に成功。
- ・肺がんの追尾照射、膵がんの強度変調放射線治療の臨床試験を開始。
- ・がん患者で無駄な放射線量を20-37%低減に成功。
- ・開発した装置を輸出開始。欧米アジア12施設に輸出、国内9施設を含め計21施設に導入決定。

#### 国際標準化に関するオールジャパン共同活動

4次元放射線治療(動体追跡/追尾技術)の  
国際標準化活動 IEC TC62/SC62C へ規格とWG提案

特許取得で日本の国際競争力増強 24件

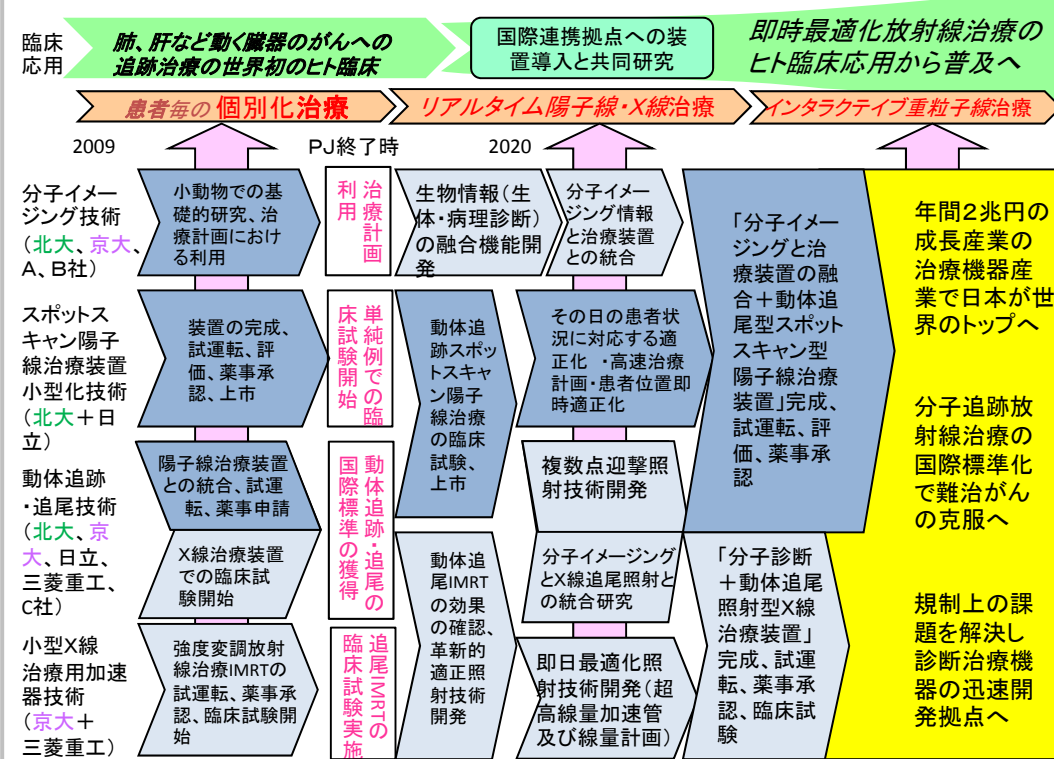
助成額: 48.0 億円  
 研究支援担当機関: 北海道大学

# FIRST白土プロジェクト

## 「持続的発展を見据えた分子追跡放射線治療装置の開発」

### ＜FIRST終了後の実用化への道筋:ロードマップ＞

#### 分子追跡放射線治療産業化へのロードマップ



- ・平成25年度前半に北海道大+日立が「スポットスキャン陽子線治療装置小型化技術」にて専用装置を完成させ、平成26年度上市予定。平成25年度末には北大と当社が開発した「動物追跡技術」と同陽子線治療装置を統合し、平成27年度上市予定。
- ・平成25年度に京大+三菱重工が「動物追跡IMRT技術」を完成、平成26年度上市予定。
- ・北大と京大、日立と三菱重工の連携により、平成28年度末に分子イメージングと治療装置の統合の技術開発を完了させ、平成29年度より分子追跡放射線治療装置を市場投入予定。
- ・北大と日立、京大と三菱重工との共同研究中の即時最適化放射線治療計画と照射技術を、それぞれ陽子線治療装置とX線治療装置で実現し、平成29年度を目標にプロトタイプを製作。平成33年度の上を目指す。その後、病院設置型の小型重粒子線治療を開発へ。
- ・北海道大学で、平成24年度より、新たな金属微粒子とその応用技術を基に、隣がんなどの動物追跡・追跡照射用金マーカー刺入用内視鏡の産業化・標準化・製品化に向け、C社との共同研究を実施中。大学発のベンチャー化も視野に入れ、今後3年後を目標に薬事承認し、4年以内の上市予定。

### ＜実用化に向けた制度上・規制上の課題＞

- (1) 国際標準化活動推進(H23年から開始、継続・強化が必要)  
 動物追跡/追跡放射線治療の国際標準化 IEC TC62/SC62C へ規格提案(H25.7月)  
 ⇒ 日本が議長を務める新たなWG立ち上げ  
 ⇒ 海外拠点・賛成国との連携推進
- (2) 薬事法承認過程の迅速化(初期からの課題)  
 ⇒ PMDA相談から承認までの迅速化  
 ⇒ 医療機器開発特区(スーパー特区)の存続  
 ⇒ 橋渡し研究支援機関の国家支援継続  
 ⇒ 臨床効果の早期検証(臨床中核病院制度活用)
- (3) 最先端治療での混合医療(中期からの課題)  
 ⇒ 高齢者医療での混合医療・自己負担  
 ⇒ 海外患者への医療提供の制度化
- (4) 小児腫瘍・希少疾患等への早期保険収載(今年度の課題)  
 ⇒ 世界で標準治療となった腫瘍への即時保険適応
- (5) 医療上の個人情報の活用(中期からの課題)  
 ⇒ 多施設共同試験での医療情報活用特区



### ＜資金手当の方向性＞

- (1) 産学連携資金の活用(医療機器開発拠点化)  
 ⇒ 大学拠点への企業資金・人材の投入
- (2) 産学連携コンソーシアムの活用  
 ⇒ 国内の国際的診断機器企業等と連携
- (3) 企業とのライセンス契約など  
 ⇒ 大学特許に基づくマイルストーン契約  
 ⇒ ベンチャー化を視野にリスクマネー活用検討
- (4) 実用化のための大型公的資金への応募  
 ⇒ 死の谷、ダーウインの海を超える支援活用

## FIRST永井プロジェクト 「未解決のがんと心臓病を撲滅する最適医療開発」

助成額：36.6億円  
研究支援担当機関：東京大学

### <中心研究者>

**永井良三**：自治医科大学学長／東京大学客員教授



1974年 東京大学医学部医学科卒業  
1983年 米国バーモント大学留学  
1993年 東京大学医学部第三内科助教授  
1995年 群馬大学医学部第二内科教授  
1999年 東京大学循環器内科教授  
2003年 東京大学医学部附属病院長  
2009年 東京大学TR機構長  
2012年 自治医科大学学長

<主な受賞歴> 日本心臓財団 佐藤賞(1982)、ベルツ賞(1998)、持田記念医学薬学振興財団 学術賞(2000)、日本動脈硬化学会賞(2002)、日本医師会医学賞(2006)、紫綬褒章(2009)、日本心血管内分泌代謝学会「高峰譲吉賞」(2010)、欧州心臓病学会 gold medal(2012)

### <研究概要>

**治療法未解決のがんと心臓病に対して最適な診断・治療技術を開発し提供する。**

- ・がんや心臓病など生活習慣病の発症基盤となる慢性炎症プロセスを分子・細胞レベルで解明し、その知見をもとに新たな診断法・治療デバイスを開発する。
- ・患者自身の心臓シミュレータを用いて個別最適化された治療方針を提示する技術を開発する。
- ・遺伝子組み換え単純ヘルペスウイルス1型を用いた再発がんの治療法および次世代の機能付加型ウイルス製剤を開発する。
- ・多施設臨床データベースを効率よく構築可能とする標準医療IT技術基盤システムを開発する。

### <研究成果>

#### (1) 心臓病における臓器間制御システムの解明

・高血圧など負荷の加わった心臓の機能を保護する心臓と腎臓の間の臓器間制御システムのメカニズムを世界で初めて解明した。複数の新たな創薬標的に対して、その機能制御物質に係る情報を収集し、創薬の可能性について検討している。

#### (2) 脂質メディエーター産生酵素とその阻害剤複合体の構造に基づくリード化合物の最適化

・当該酵素と阻害剤複合体の構造情報に基づき、リード最適化研究をA社と共同実施した。酵素・阻害剤複合体のX線構造情報をもとに多数の治療薬候補化合物を創製し、特許出願した。

#### (3) 心臓シミュレータを用いた心臓再同期療法患者の治療最適化技術を開発

・心臓シミュレータの技術開発はほぼ終了し、「心臓再同期療法(CRT)」と「先天性心疾患の外科手術」については実用化を目指した後ろ向き臨床研究が進行している。先進医療の申請に必要な要件について検討を開始した。

#### (4) がんの革新的ウイルス療法

・がん治療用ヘルペスウイルスG47 $\Delta$ の再発脳腫瘍に対する臨床研究が良好な結果であることから、医師主導治験の申請を予定。また、再発前立腺癌、嗅神経芽腫に対する臨床研究が進行中。IL-12発現型がん治療用ウイルスの臨床製剤製造を進めており、悪性黒色腫を対象とする臨床研究を予定。

#### (5) 標準医療IT基盤システム開発

・標準化医療情報基盤をクラウド上で動作可能なシステムの開発を完了し、大規模臨床情報を用いた臨床疫学研究・政策評価を可能とする環境の社会実装を進めている。



# FIRST 永井プロジェクト

## 「未解決のがんと心臓病を撲滅する最適医療開発」

助成額: 36.6 億円  
研究支援担当機関: 東京大学

### ＜FIRST終了後の実用化への道筋＞

疾患等	開発品	現状	実用化への道筋
脳腫瘍	抗がんウイルス製剤(G47Δ)	臨床研究PIIベンチャー設立(2013.09)	医師主導治験開始(H26)
前立腺癌		臨床研究	臨床研究→先進医療申請
嗅神経芽腫		臨床研究	臨床研究→先進医療申請
悪性黒色腫	IL-12発現型ウイルス製剤	臨床製剤製造	臨床研究開始(H26)
線維症、動脈硬化	酵素阻害薬	A社と共同でリード最適化	前臨床試験→臨床試験A社
慢性心不全	代謝制御薬等	VIVO評価(標的検証)	リード最適化／(共同開発企業探索)
狭心症、心筋梗塞	炎症を起こしにくいステント	B社・C社が試作品を評価中	結果次第でライセンス又は共同開発(H26)
冠動脈再狭窄	血液を用いた再狭窄除外診断	PMDAに先進医療申請相談	先進医療開始(H26)共同開発((株)島津)
心臓再同期療法(CRT)	心臓シミュレータ(診断・治療の予後予測)	後ろ向き臨床研究ベンチャー設立(2013.10)	先進医療開始(H28)共同開発(富士通)
心疾患の外科手術			先進医療開始(H28)共同開発(富士通)
医療の質評価 医療経済学的評価	臨床研究IT基盤	標準化医療情報データベース構築が可能	公的資金による医療の質の評価・医療費支出の医療経済学的評価
心臓病	心臓カテーテル検査レポートシステム	標準化したデータベース	T社の画像閲覧システムに実装

### ＜実用化に向けた制度上・規制上の課題＞

- ・日本のみ医薬品開発にカルタヘナ法が適用されており、他の先進国に比べ開発が遅れる。(抗がんウイルス製剤)
- ・世界に前例のない医療技術(心臓シミュレータによる最適医療)・治療法(抗がんウイルス製剤)に対する規制を見直し迅速な審査が行われるような制度改革。
- ・開発リスクの高い創薬・医療機器開発においては、開発初期・中期(リード最適化～臨床試験phase II)まで進められる国の支援の仕組み。(創薬・診断・治療デバイス)
- ・革新的な創薬・診断技術については、前例がないことから民間投資を受けにくい。国による先行事業投資が必要。
- ・匿名化後医療データの第三者による二次利用について個人情報保護法上グレーゾーンであること。(臨床研究IT基盤)

### ＜資金手当の方向性＞

- ・創薬・心臓シミュレータによる最適医療においては、JSTが募集している「産学共同実用化開発事業」への応募を検討したが、開発リスクの高い創薬・医療分野の提案は採択が難しいとのことで断念。
- ・製薬企業との共同開発を模索しているが、製品化までに長期間かかる早期ステージのものに対してはなかなか興味を示さない。
- ・ウイルス療法開発には多大な資金とマンパワー・組織力が必要であり、国際競争も激化していることから可及的早期の民間企業参画が必要であるが、革新的であるがゆえに企業の参画やベンチャーキャピタルの投資が得にくい。
- ・企業との共同開発に進んでいるものであっても、資金手当の目処はついていない。