

# 「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」 研究開発プロジェクト事前評価報告書

平成24年5月

産業構造審議会産業技術分科会

評 価 小 委 員 会

(注)「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」は、事業名「個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発」の一部として概算要求がなされている。

## はじめに

研究開発の評価は、研究開発活動の効率化・活性化、優れた成果の獲得や社会・経済への還元等を図るとともに、国民に対して説明責任を果たすために、極めて重要な活動であり、このため、経済産業省では、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」(平成20年10月31日、内閣総理大臣決定)等に沿った適切な評価を実施すべく「経済産業省技術評価指針」(平成21年3月31日改正)を定め、これに基づいて研究開発の評価を実施している。

今回の評価は、「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクトの事前評価であり、評価に際しては、当該研究開発事業の新たな創設に当たっての妥当性について、省外の有識者から意見を収集した。

今般、当該研究開発事業に係る検討結果が事前評価報告書の原案として産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会(小委員長:平澤 冷 東京大学名誉教授)に付議され、内容を審議し、了承された。

本書は、これらの評価結果を取りまとめたものである。

平成24年5月

産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会

産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会  
委員名簿

|     |         |   |
|-----|---------|---|
| 委員長 | 平澤 冷    | 東京大学 名誉教授   |
|     | 池村 淑道   | 長浜バイオ大学<br>バイオサイエンス研究科研究科長・学部学部長<br>コンピュータバイオサイエンス学科 教授 |
|     | 大島 まり   | 東京大学大学院情報学環 教授<br>東京大学生産技術研究所 教授                        |
|     | 太田 健一郎  | 横浜国立大学 特任教授   |
|     | 菊池 純一   | 青山学院大学法学部長・大学院法学研究科長                                    |
|     | 小林 直人   | 早稲田大学研究戦略センター 教授  |
|     | 鈴木 潤    | 政策研究大学院大学 教授  |
|     | 中小路 久美代 | 株式会社SRA先端技術研究所 所長                                       |
|     | 森 俊介    | 東京理科大学理工学部経営工学科 教授                                      |
|     | 吉本 陽子   | 三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社<br>経済・社会政策部 主席研究員                |

(委員敬称略、五十音順)

事務局:経済産業省産業技術環境局技術評価室

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクトの  
評価に当たり意見をいただいた外部有識者

阿久津 英憲            国立成育医療研究センター研究所 室長  
油谷 浩幸            東京大学 先端科学技術研究センター 教授  
古川 秀比古           第一三共株式会社 抗体医薬研究所 所長

(敬称略、五十音順)

事務局:製造産業局生物化学産業課

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクトの評価に係る省内関係者

【事前評価時】

製造産業局生物化学産業課長 江崎 禎英(事業担当課長)

産業技術環境局 産業技術政策課 技術評価室長 岡本 繁樹

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクト事前評価  
審 議 経 過

○新規研究開発事業の創設の妥当性に対する意見の収集(平成24年5月)

○産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会(平成24年5月23日)  
・事前評価報告書(案)について

## 目 次

はじめに

産業構造審議会産業技術分科会評価小委員会 委員名簿

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクト事前評価に当たり意見をいただいた外部有識者

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクトの評価に係る省内関係者

「バイオ医薬品の次世代製造技術基盤事業」研究開発プロジェクト事前評価 審議経過

### ページ

|                                       |   |
|---------------------------------------|---|
| 第1章 技術に関する施策及び新規研究開発事業の概要             |   |
| 1. 技術に関する施策の概要 .....                  | 1 |
| 2. 新規研究開発事業の創設における妥当性等について .....      | 2 |
| 3. 新規研究開発事業を位置付けた技術施策体系図等 .....       | 5 |
| 第2章 評価コメント .....                      | 6 |
| 第3章 評価小委員会のコメント及びコメントに対する対処方針 .....   | 9 |
| 参考資料 個別化医療に向けた次世代医薬品創出基盤技術開発の概要(PR資料) |   |

# 第1章 技術に関する施策及び新規研究開発事業の概要

## 1. 技術に関する施策の概要

### < 業界を取り巻く現状と課題 >

#### (1) 世界市場の動向

- ・ 2003年から7年間で世界の医薬品市場は約1.7倍に成長しており、今後もアジアを中心に拡大が見込まれる(成長分野)。
- ・ 新興国の参入等により、国際競争が激化。また、世界的な医薬品開発のコスト増大や、安全性基準の厳格化等により研究開発効率は低下。
- ・ 医薬品の主流はバイオ医薬品等へシフト。

#### (2) 国内製薬産業の現状

- ・ 2009年の従業員一人あたり付加価値額、産業別納税額は全産業中1位。知識集約型の高付加価値産業で、高齢化率世界トップの日本が重点的に取り組むべき分野。
- ・ 我が国は新薬を創出できる日米欧の10カ国のうち第3位であったが、国内での新薬開発数は減少し、特許切れの2010年問題が深刻化。
- ・ 医薬品は2010年で約2.2兆円の輸入超過であり、年々輸入高が増加する一方、輸出は伸び悩み。
- ・ 2007年から製薬企業は多額の資金で外国企業を買収(ベンチャー、ジェネリックの買収)。反面、国内では外資系研究所の撤退や、ベンチャーが育たないことなどにより、国内の創薬力の相対的低下が進んでいる。これが、若手の活躍の場の減少にもつながっている。

#### (3) 創薬プロセスの変化

- ・ ヒトゲノム解読以降、バイオ医薬品など広範かつ高度な技術の融合の必要性が増大(創薬イノベーション)。
- ・ 世界的に研究開発、製造、治験の外部機関の活用が進展(国際的なオープンイノベーション)。

#### (4) 社会的なニーズの変化

- ・ がん、認知症、骨粗しょう症など、世界規模での高齢化に伴う疾患構造の変化により、治療満足度の低い疾患領域に対する医薬品の開発ニーズが上昇。
- ・ 技術の進歩により、疾病が遺伝子レベルで理解や分類されるようになり、個人間の遺伝子等の違いを捉えた、より効果の高い治療の開発へシフト。
- ・ 新薬が出にくくなっていることから、企業がますます手を出し難くなるオーファンドラッグ(患者数は少ないが、医療上の必要性の高い医薬品)は、社会的要請から国が関与する重要性が増加。加えて、他の創薬研究に波及効果がある。

### < 技術に関する施策の方向性とビジョン >

上記のような現状と課題に関する検討を踏まえて、今後の技術開発に関する方向性とビジョンを以下のように取りまとめた。

#### (1) 分子標的薬など新しい創薬を支える基盤技術の開発

- ・ ヒトゲノム解読以降、バイオ医薬品等の分子標的薬が増え、遺伝子工学、細胞工学を始めとする広範かつ高度な技術の融合が求められるようになってきた。



→ 分子標的薬(疾患細胞が持つ特定の分子にのみ作用し、副作用が少なく効果の高い医薬品)は、今後の成長が見込まれるため、分子標的薬を創るために必要な基盤技術の開発を重点的に進める。

(2)日本の強みである高い安全性を生かした医薬品開発の基盤強化

・世界的な安全性基準の厳格化の中で、新薬の臨床試験を実施するためには、高い安全性と、適応症例の的確な選択が必要。

→ 安全性や治療効果の予測技術等、安全に医薬品を開発するための技術開発と評価技術等の標準化に重点化を図る。

(3)ベンチャー等の育成を通じたオープンイノベーションの推進

・創薬プロセスの高度化で、オープンイノベーションは世界的な流れ。しかし、日本にはオープンイノベーションの担い手であるベンチャーや周辺産業が十分育っていない。

→ ベンチャーや周辺産業、若手研究者を育成し、オールジャパンでの創薬力の強化を図る。

本事業は、上記のうち(1)分子標的薬など新しい創薬を支える基盤技術の開発の一つとして位置づけられる。

## 2. 新規研究開発事業の創設における妥当性等について

①事業の必要性及びアウトカムについて(研究開発の定量的目標、社会的課題への解決や国際競争力強化への対応等)

### イ)事業の必要性

世界のバイオ医薬品市場は、2010年基準で1442億ドルの規模であり、2020年までに2600億ドル規模に急成長すると見込まれる。しかし、生産コストが割高なため医療費高騰の一因ともなり、より一層のコスト削減が課題となっている。また、バイオ医薬品の凝集等により副作用が生じる事案が発生しており、安全性に対しても配慮が求められる。

また、国内企業は生産工程の個々の技術開発を行っているが、欧米企業は買収を通じて、生産工程の上流から下流に至る技術を確認していることから、我が国においては、バイオ医薬品は海外からの輸入に依存している。そのため、増加する医療費の多くが海外からの輸入へと回される状況にあり、国内の製造技術が確立されなければ今後も割高のコストで海外技術を買いつけることとなる。医療費の削減、サプライチェーンの確保、及び国内への資金の還流の観点から、日本の要素技術による新たな製造技術基盤の確立が期待される。

我が国の優位性を担保するためには、安全性が高く、製造コストも抑えた日の丸印の製造技術の開発が必須であり、本事業において提案する“次世代バイオ医薬品製造技術”に国として速やかに投資を行うことは極めて重要である。

### ロ)アウトカム(目指している社会の姿)の具体的内容とその時期

本提案事業では、前項目に挙げた社会的課題の解決に向けて、低コストで安全性も向上した次世代バイオ医薬品製造基盤の技術開発に5年間の期間で取り組む。我が国が強みを持つ部材技術や解析技術も取り入れた技術開発により、バイオ医薬品を安価(既存技術よりも6割程度削減)で安全に生産・提供することが可能となる。コスト削減が実現した本技術の製品化・パッケージ化等により、2020年ごろから次世代バイオ医薬品製造技術が国内の製薬企業へ普及し、製造技術の海外依存から脱却する。

## ハ)アウトカムが実現した場合の経済や競争力、問題解決に与える効果の程度

事業終了の 2017 年までに次世代バイオ医薬品製造技術基盤を確立する。製造コストを既存技術よりも飛躍的に削減でき(既存技術よりも 6 割程度削減)、医療費削減や安全なバイオ医薬品の供給に資する。また、製造コスト削減により、国内製薬企業による本技術の活用が促進され、2020 年ごろから製造技術の海外依存からの脱却を目指す。

なお、本事業の次世代バイオ医薬品製造技術は、今後、進展が期待される個別化医療に適した多品種・少量生産にも対応できる。また、特性・品質解析技術については、今後発展が見込まれる核酸医薬品の安全性評価における要素技術としての波及効果も期待される。

## ニ)アウトカムに至るまでに達成すべきいくつかの中間段階の目標(技術的成果等)の具体的内容とその時期

事業終了時の 2017 年に細胞の生産能力を 10 倍に向上させるとともに、オンライン計測センサーを搭載したシングルユースシステムや医薬品の評価に求められる処理能力・精度を両立できる解析技術を確立する。また、製造コストを既存技術よりも 6 割程度削減することを成果目標として掲げる。事業終了後、本技術を用いた生産実証を実施し、PMDA から生産品の承認を取得する。

## ② アウトカムに至るまでの戦略について

### イ)アウトカムに至るまでの戦略(研究開発のみならず、知財管理の取扱、実証や国際標準化、性能や安全性基準の策定、規制緩和等を含む実用化に向けた取組)

本提案事業では、次世代バイオ医薬品製造技術の国内製薬企業への普及、製造技術の海外依存からの脱却を想定し、目標値を設定した。ただし、これらの目標値は非常に挑戦的な値である。各要素技術の目標を達成し、製造コストを既存技術よりも 6 割程度削減するためには、細胞内の遺伝子機能の解析に加え周辺デバイス(精製担体、各種センサー、解析技術等)の開発も併せて実施することは必要不可欠である。また、実用化のためには、性能向上、コスト削減の達成に加えて、PMDA からの認可取得も求められる。

そのため、本提案事業では、経済産業省の新機能抗体創製技術開発や糖鎖機能活用技術開発(ともに NEDO 事業)において開発された精製技術や特性・品質解析技術、中小企業庁・戦略的基盤技術高度化支援事業において開発が進められている精製担体などを要素技術とし、産学官のプレイヤーを参画させオールジャパン体制で取り組む。また、厚生労働省や PMDA と連携し、研究開発から実用化、さらには認可取得までを支援できる体制を構築する。

コンソーシアム(コンソーシアムについては後述する)では、初期は生産・精製技術やシングルユースシステム等の要素技術の開発に取り組み、中期以降実用化を見据え各要素技術の融合による製造技術プロトタイプ構築やそれを活用した既上市品の生産実証に取り組む方針である。また、技術開発の進展に併せて、国際特許出願や主要国の規制機関の承認によって製造技術のデファクトスタンダードを目指す。

また、実用化に向けた研究を加速する目的で、経済産業省の支援により創設された横浜バイオ医薬品研究開発センター(YBIRD)に集中研を設ける。また、実用化を見据え、技術研究組合およびユーザーフォーラムを設立し、製薬企業をフォーラムメンバーにむかえ、コンソーシアムにより研究に取り組む体制を想定している。

### ロ)成果のユーザーの段階的イメージ・仮説(技術開発成果の直接的受け手や社会的インパ

クトの実現までのカギとなるプレイヤーは誰か)

具体的には、有効かつ効率的な実施体制とするために、当該技術分野の国際的権威である徳島大学大政教授をプロジェクトリーダーとし、我が国が強みを持つナノテク・部材メーカーにより基盤要素が確立される。その後、独立行政法人産業技術総合研究所により特性・品質が評価されるとともに、プラントメーカーにより各要素を統合したプラントが確立され、最終的にバイオ医薬品を製造する製薬企業・ベンチャーへ導入されることが想定される。

### ③次年度に予算要求する緊急性について

既存のバイオ医薬品製造技術では欧米が先行し他国への技術導入を拡大しており、韓国ではサムスン等が大型の製造プラントを建設し製薬大手からの生産を受注しているところ。また、中国、インド等の新興国では価格競争力が高いため既存技術の導入をベースとして猛追している。そのため、速やかに研究開発を開始する必要がある、将来的には低コストかつ高性能な日の丸印の製造技術により市場を獲得できる。

### ④国が実施する必要性について

イ) 科学技術的価値の観点からみた卓越性、先導性(我が国が強みを持ち、世界に勝てる技術分野か、また、他の研究分野等への高い波及効果を含む)

本提案事業は、バイオ医薬品製造技術に関する研究開発事業であり、我が国の新成長戦略におけるライフイノベーション関連施策にあたりると共に、2011年に策定された第4期科学技術基本計画においても「Ⅱ. 将来にわたる持続的な成長と社会の発展の実現／ライフイノベーションの推進」の関連施策にあたる。

部材技術に強みを持ち、NEDO事業や戦略的基盤技術高度化支援事業により精製技術や特性・品質解析技術の基盤要素を開発してきた我が国においては、次世代のバイオ医薬品製造基盤の技術優位性は高い水準にある。また、生産・精製技術やシングルユースシステムの開発により、製造コストの飛躍的な削減(既存技術よりも6割程度削減)が期待される。さらに、解析技術をもとにした安全性を評価・担保する仕組みを組み合わせることで、バイオ医薬品を安全に生産・提供することが可能となる。

ロ) 未来開拓研究、民間とのデマケの整理等

バイオ医薬品の製造技術は多段階の工程で構成されており、複数の高度な技術を結集して実施する必要があるため、民間企業で行うには研究開発リスクが高く、産学官が連携して研究開発を行うことが必要である。ただし、開発する各要素技術は従来技術の延長線上にある連続型の発展が必要なものであり、プロジェクト終了後 5 年での実用化を見据えたものであることから、未来開拓研究に比べ実用化まで開発に伴うリスクが高い技術ではない。

### ⑤省内又は他省庁の事業との重複について

重複する事業はない。