

「革新的医薬創出技術開発」 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)「革新的医薬創出技術開発」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、「革新的医薬創出技術開発」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 バイオサイエンス研究科研究科長・学部学部長 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 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 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

革新的医薬創出技術開発の評価に当たり
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 英比古	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

革新的医薬創出技術開発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

革新的医薬創出技術開発事前評価
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

革新的医薬創出技術開発事前評価に当たり意見をいただいた外部有識者

革新的医薬創出技術開発の評価に係る省内関係者

革新的医薬創出技術開発事前評価 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

急速な高齢化に伴い医療費などの社会的負担の増加は、特に先進国において顕著であり、世界的にも加齢による疾患(癌、アルツハイマー等)の新薬開発は喫緊の課題となっている。新薬開発を支援する技術が普及しつつあるものの、臨床試験段階で判明する副作用等が克服できず開発を断念するケースが多いため、上市まで莫大な費用と時間を浪費している。

このような状況の中、最先端の創薬技術を組み合わせ、研究開発の効率を上げると共に、開発リスクを低減させることが、我が国製薬産業の競争力確保の観点から重要である。

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

従来では臨床段階でしか判明しなかった副作用等が発生しにくく、かつ確度の高いリード化合物を早期に発見できるようになり、有効かつ安価なバイオ医薬品を、迅速かつより確実に、社会に提供できるようになる。

さらに近年、輸入品が急速に増加し、大幅な輸入超過であるが、当該技術による確度の高い新薬を開発することにより、輸入量を削減することが期待できる。

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

2030年ごろに、1薬剤あたり500億円から1000億円の創薬研究開発のうち、100億から200億の削減を目指す。本事業により、構造情報を基にした新しい観点からの画期的な新薬の創出、天然物化学情報基盤の強化等により、ゲノム情報を活用した創薬技術の高度化による我が国バイオ産業の競争力強化を通じて、国際的優位性を確保することが期待できる他、個別化医療への応用とともに、健康維持・増進などを含めた幅広い分野への展開が期待できる。

二)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

本事業における(a)天然化合物技術では、生産技術の確立と天然化合物ライブラリーの拡充を目指す。また、天然化合物ライブラリーから有用化合物を選別する技術を確立する。これらの成果は、確立した時点で利用可能であり、多くのノウハウと共に企業での応用が期待される。

(b)革新的スクリーニング技術では、疾患原因となる膜タンパク質等の動的な映像をとらえ、動的変化を取り込んだ探索技術を確立する。これらの開発は、製薬企業と共同で行われることから事業実施期間中から逐次企業に移転されると共に、事業終了後では民間企業において、実際の新薬開発に向けたスクリーニングが行われることになる。

(c)バイオマーカーを用いた疾患の層別化技術では、層別、特に超早期段階におけるアルツハイマー病の診断を目指しており、被験者の血液、脳脊髄液バイオマーカー取得に資する技術開発を目指す。

(a)から(c)を融合することにより、新薬開発の成功確率を向上させ、開発した新薬の中から確実に効能をあげる医薬品が選択できる治療環境を目指す。

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)

本事業では、新薬開発の成功確立向上のため、革新的スクリーニング技術とバイオマーカー総合解析技術等を融合し、斬新で確度の高い「プロミッシングな」新薬候補・診断薬候補を開発の早期段階で確保するための技術開発を実施する。事業終了後、民間企業が本技術を活用し、開発した新薬の中から、確実に効能を上げる医薬品が選択できる治療環境を実現する。また、当該事業により開発された技術により、国内の製薬企業等が探索に利用できるよう、体制を構築していく。

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)

製薬企業、シーズをもったバイオベンチャー(国内では約70社)などによるコンソーシアム、また、シーズを発見した大学などの研究機関等が想定される。

③次年度に予算要求する緊急性について

国家戦略会議にて、創薬支援ネットワークの設置に関し検討指示があり、医療イノベーション推進室および関係各省が連携して検討を進めているところ。次年度よりネットワークの立ち上げが想定され、経済産業省としては、スクリーニング等の技術の確立等を担うため、当該事業で実施する従来のインフラに加えて高速かつ高精度に、確度の高いプロミッシングな新薬候補を確保する技術の開発は早急に必要な必要がある。

また、アルツハイマー病は、がんと並び医療ニーズが満たされていない疾患領域であり、世界の製薬企業がファーストインクラスを目指して開発にしのぎを削っている。世界の医療ニーズにこたえるべく、これまでの研究成果、研究体制を生かした継続的な展開が必要である。

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)

(a)天然化合物技術および(b)革新的スクリーニング技術に関する、天然物化学に対する知識基盤、膜タンパク質構造解析技術、タンパク質の相互作用解析技術、および高度な計算科学技術等については、欧米諸国と比べ我国が強みを有している。

(c)バイオマーカーを用いた疾患の層別化技術(アツルハイマー病)に関しては、世界各国のアツルハイマー病研究団体と連携しており、本邦独自の計測技術からオリジナルなバイオマーカーを見出すことが期待される。

ロ) 未来開拓研究、民間とのデマケの整理等

現在の国内製薬企業は短期間での成果排出を求められており新規基盤技術の開発を行う人的・資金的な余裕はない状況にあり、本事業と同様な研究開発は民間企業では行われていない。

また、天然化合物技術においては、技術の複雑性のため民間企業一者では維持は困難であることから、国でまとめて天然物ライブラリーを作らないと国全体の創薬効率が向上しない。

バイオマーカーに関しては、臨床サンプルが必要になるが、倫理上の問題から、企業で自由に行うことはできず、行政及び医療機関の協力が欠かせない。そのため、産官学で実施する体制が必要である。

⑤省内又は他省庁の事業との重複について

文科省が進める「創薬支援技術基盤プラットフォーム事業」が挙げられるが、この事業は同省が過去に実施した「ターゲットタンパク質プロジェクト」で開発した技術の普及を支援するものであり、当該事業が行う研究開発とは異なるものである。