

第2章 評価コメント

新規研究開発事業の創設の妥当性に対するコメント

①政策的位置付けの妥当性について

国内企業の現状としては、この分野の開発にかける余裕が無いことが切実な問題であるので、本提案の趣旨に賛成であり、国が後押しする必要はある。効率化の向上のため、創薬にかかる時間が短縮される。時間と投資の無駄が削減できる。また、薬剤としての天然化合物は別の使い方も期待され、もう一つの新規事業(バイオ医薬品製造技術基盤)との相乗効果も期待される。

なお、日本は良い要素技術のインフラを持っているが、ばらばらでシステムとして統合して出来ていないので、当該プロジェクトにおいてこれを改善するべきである。

②事業の目的及び実施によるアウトプット、アウトカムの妥当性について

天然物ライブラリー等の独自の技術基盤を活用することで、創薬もできるしライブラリーの拡充もでき一石二鳥となり、大きな効果が期待される。また、毒性等が早期に判明することで、時間と投資の無駄が削減出来る。

なお、マーカーを使つての層別化はかなり普及しており、特徴が無いと思われるが如何。

③事業の優先性について

創薬プロセスの効率化は世界中で活発に行われているが、国内企業は開発にかける余裕が無い。創薬支援ネットワークのようなシステムをパブリックなものとして立ち上げて、バイオベンチャー等に利用させるのであれば意義はあるだろう。

なお、層別化のための要素技術について、技術を取り巻く環境が変わっている可能性があるので、3年程度で中間評価によって絞り込んでいくのが適切ではないか。

④国が実施することの必要性について

(a)の天然物ライブラリーは不可欠。(b)の革新的スクリーニング技術開発の研究は、継続して行うことが必要。しかし、サービス性から考えて大学には向かない。よって公的な機関との連携が適切。また、創薬支援ネットワークのようなシステムをパブリックなものとして立ち上げて、バイオベンチャー等に利用させるのであれば意義はあるだろう。

なお、製薬企業にも資金を負担させるべき。ターゲットタンパクには製薬企業は関心が強いので、製薬企業も巻き込んで行うべき。また、国プロでは非競争的分野の技術開発に集中するなど、製薬企業に対する配慮が必要。

⑤省内又は他省庁の事業との重複について

(当項目について、有識者から特段のコメントは頂いていない。)

○肯定的意見

- ・創薬プロセスの効率化は世界中で活発に行われているが、国内企業の現状としては、開発にかかる余裕が無いことが切実な問題であるので、本提案の趣旨に賛成である。
- ・リード化合物の発見を効率的に出来るようになることで創薬のためにかかる時間が短縮される。時間と投資の無駄が削減出来る。
- ・この分野は、国が後押しする必要はある。(a)の天然物ライブラリーは不可欠。(b)の革新的スクリーニング技術開発の研究は、継続して行うことが必要。しかし、サービス性から考えて大学には向かない。よって公的な機関との連携が適切と思われる。
- ・抗体に別の薬剤(トキシン等)を載せる方式にはまだまだ勝機があるので、薬剤としての天然化合物はそのような使い方も期待され、もう一つの新規事業(バイオ医薬品製造技術基盤)との相乗効果も期待される。
- ・天然物ライブラリー等の独自の技術基盤を活用することで、創薬もできるしライブラリーの拡充もでき一石二鳥となり、大きな効果が期待される。
- ・毒性等が早期に判明することで、時間と投資の無駄が削減出来る。ポジコン等をスクリーニングに生かすことでさらに大きな効果が得られる。(開発途中で毒性が判明した化合物をコントロールとして使用することで毒性の早期判別が可能となる。)
- ・アメリカではハミルトンロボティクス社が、ニューヨーク幹細胞財団において全米初のスクリーニングまでの自動化装置を設置開始。1フロア全体を使って、上流のiPS細胞の分化誘導等から薬剤安全性の評価まで自動化した装置を連結し、スクリーニングを行おうとしている。我が国でもオリジナリティをもって進めるべき。
- ・国プロとして行う必要性はある。一方、企業が取り組む時の開発対象・分野の違いがあり、製薬会社は自前でやりたがる傾向があるので、国プロでは非競争的分野の技術開発に集中するなど、配慮が必要。
- ・創薬支援ネットワークのようなシステムをパブリックなものとして立ち上げて、バイオベンチャー等に利用させるのであれば意義はあるだろう。

○問題点・改善すべき点

- ・天然物からリード化合物を出すのは技術的に難しくなっているため、製薬企業一社が従来のやり方で進めてゆくのは容易ではない
→(生物化学産業課コメント)最先端の技術を融合させて、国として基盤を構築することが必要。
- ・日本は良い要素技術のインフラを持っているが、ばらばらでシステムとして統合して出来ていないので、当該プロジェクトにおいてこれを改善するべきである。
- ・革新的スクリーニングで電顕がどのように役に立つのか。
→(生物化学産業課コメント)膜タンパクやタンパク・タンパク相互作用は、非常にフワフワした状態であるが、通常の電顕ではなく極低温電顕を使うことで、準結晶のような構造解析が、オンゲストロームレベルで見えるようになるので、創薬のターゲットを見つける際の役に立つ。産業界からも、自分たちでは出来ないため、どこかで技術を確立して欲しいという要望あり。
- ・天然化合物を積極的に排除する理由はないが、小さなフラグメント化合物から計算機の能力を生かして候補化合物を探索・設計する方法も並行して検討するのが良いのではないか。
- ・マーカーを使つての層別化はかなり普及しており、特徴が無いと思われるが如何か。
→(生物化学産業課コメント)一例として、一細胞レベルでの超微量解析技術や、血中のエクソソームにマイクロRNAを解析することで、要素技術としての的確な層別化に資することが可能になる。
- ・層別化のための要素技術は、5年間の継続研究は長すぎる。技術を取り巻く環境が変わっている可能性があるため、3年程度で中間評価によって絞り込んでいくのが適切ではないか。
→(生物化学産業課コメント)体制作りの際に検討させていただく。
- ・製薬企業にも資金を負担させるべき。ターゲットタンパクには製薬企業は関心が強いので、製薬企業も巻き込んで行うべき。
→(生物化学産業課コメント)負担しても一切名前が出ないような仕組み作りが必須。

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

本研究開発事業に対する評価小委員会のコメント及びコメントに対する推進課の対処方針は、以下のとおり。

「革新的医薬創出技術開発～プロミッシング創薬～」

コメント

① 出口戦略について

日本の医薬産業はビジネスの出口戦略に問題があるとの認識はされているが、ファイナンスの問題も含めてベンチャーを使った出口の戦略性に欠けている。厚生労働省への働きかけとともに、経済産業省の役割としてベンチャービジネスの育成をこの事業の中で強化して進めるべきである。

② 事業対象の絞り込み

有効性のわかる戦略、方向性、アウトカムの効果を具体的に説明できるプロジェクトとするべきである。

③ 研究開発資金、スキーム等について

考える内容は重要であり、研究資金が限られているとは言え不用意にターゲットを絞ることはリスクなことと思える。プロジェクト単価が大きくなっても広く実施できるような府省の連携体制を整えることが重要である。

国のプロジェクトとして製造技術、評価技術といった分野で国際標準をとっていくということも含め、小粒のものに終わらないで、世界のプラットフォームリーダーを目指せるものとなることを期待する。

対処方針

① 本事業により開発する各技術は創薬ベンチャー等が実装するものであり、事業終了時には各技術が創薬ベンチャー等に導入され、創薬ベンチャーの競争力強化に貢献する。また、創薬基盤技術開発の推進により周辺機器等の関連産業も活性化し、創薬分野だけでなく周辺産業のベンチャー育成にもつながる。

② 我が国は創薬に関して高いポテンシャルを有しているものの、制度、技術の両面で個別化医療への対応が遅れている。当該課題の解決に向け、具体的には、我が国が強みを持つ世界最大の天然化合物ライブラリーをターゲットとし、IT技術を活用することにより創薬候補を実際の実験前に効率的に絞り込める技術等を開発する。これにより、新薬の研究開発にかかる費用を大幅に削減するとともに、創薬分野及び周辺産業のベンチャー育成や次世代医薬品創出に向けた競争力強化を図る。

③文部科学及び厚生労働省・PMDA(医薬品医療機器総合機構)とも随時連携しながら本事業を実施する予定である。本事業の実施により、個別化医療に対応した次世代の新薬を世界に先駆けて創出することが可能となり、開発された製造技術や評価技術、作成されたマニュアル等のプラットフォーム化を目指してゆく。