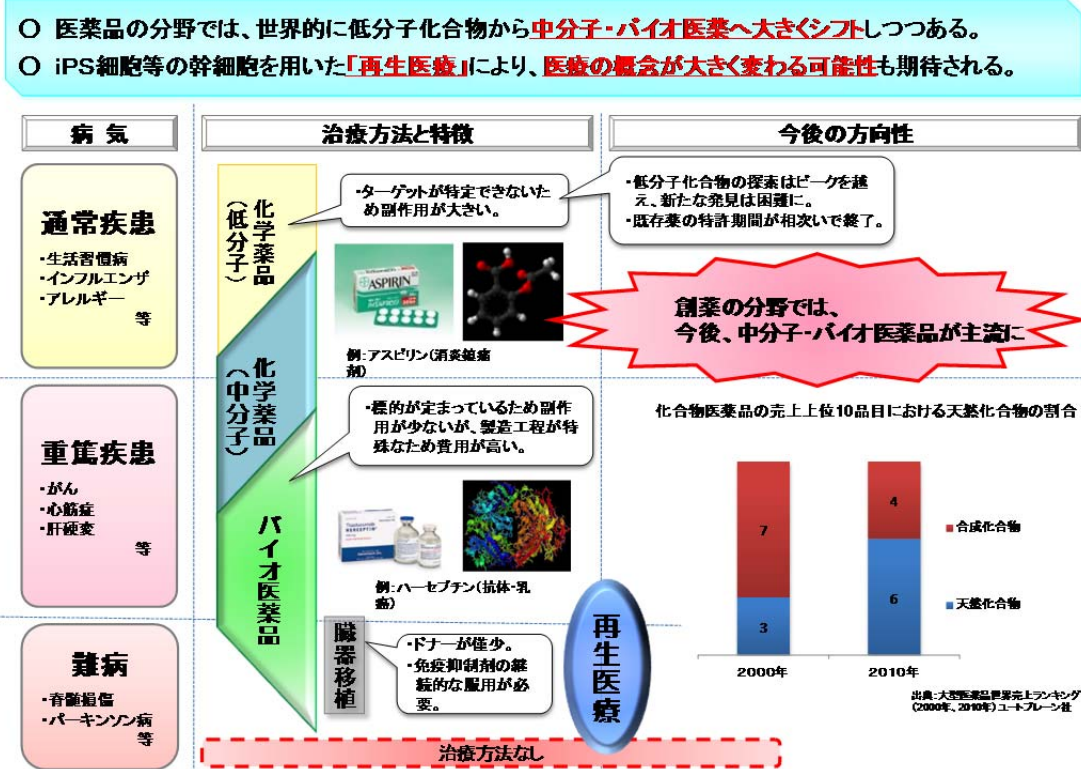


(図4)



(図5)



④これまでと同様の技術開発手法では、あまり成果が期待できないのではないか。それを克服するには、新たな技術シーズ及びマネジメントでの革新が必要なはずで、その点を明解にしていきたい。

(答)

従来の低分子医薬品の開発とは異なる新たな技術シーズ及び技術基盤としては、世界の天然物ライブラリー、次世代抗体医薬のシーズ技術、核酸医薬の高効率合成技術及び新規核酸医薬のシーズ技術等が存在しており、従来のような海外メガファーマ追随ではない独自の技術開発を推進します。

また、マネジメントの革新としては、従来は個別アカデミアに個別企業がアクセスして開発を進める体制が一般的でしたが、この方式では異分野の技術融合に制約がありました。本事業においては、異分野のアカデミアの技術融合と共に、複数の企業がアカデミアの集中研究のインフラに参画するのみでなく、規制・審査部門の関係者の協力等も得ることで、出口までの死の谷を超えることを可能とするために、例えば技術研究組合等の一体的な体制を構築し、知的財産の管理等も含めて戦略的な推進をすることで有効な成果が期待されます。

⑤海外ではメガファーマの水平統合が進み、「海外企業にも開いた形で知の結集を図っている」とある中、日本だけは国内に閉じたプロジェクトを進めるのか？その基本理念を明確にしていきたい。

(答)

本事業においては、我が国の優れた要素技術を融合させ、パッケージ化して規制部門の承認を受けることでデファクトスタンダードを取り、世界市場に打って出るという戦略を目指します。

なお、ライフィノベーションの分野では、iPS細胞を筆頭に、重要な知財を押さえ、アカデミア中心のフォーラムを生かして世界に普及させる中で、デファクトスタンダード化やISO等の国際規格にも積極的に反映させる取組みを進めているところであり、本事業においても国内に閉じたプロジェクトは想定していません。

⑥天然物ライブラリーの維持が民間企業にとって困難であることは理解できるが、だからといって国が維持するべきだという結論にはならない。目的、目標、運用方法（利用料は？国内企業と海外企業、あるいは大学と企業で差をつけるのか？）を明確にし、国がやらなければならない理由を明示していただきたい。

（答）

天然化合物関連の技術については、これまで各社が様々な技術を有して来ましたが、これらを広く産業に役立てるために、一つの企業や研究機関で閉じるのではなく、産学官が連携したオールジャパンの体制を構築し、公平・公正な運用を行うため、これまで国が関与して来ました。

なお、天然物ライブラリーの運用については、次世代天然物化学技術研究組合（天然物組合）が組合員からのライブラリー利用料等を活用して維持することとなっており、現時点では国として特段の予算措置を行う予定はありません。

例えば、ライブラリーの利用を希望する機関がある場合、その機関が天然物組合に参加し（現状では賦課金なし）、HTS（ハイスループットスクリーニング）等に対して所定の利用料を支払えばライブラリーの利用が可能です。内外、大学・企業での差別はありません。

一方で、「天然化合物の次世代化」と呼んでいる微生物の安定な生産技術による再現性の確保や、ゲノム解析データの活用については、高い研究開発要素があることから、本事業の中で推進することにより、技術情報基盤としての高度化を進める予定です。

⑦天然物医薬品の50%以上が我が国発であるにもかかわらず、それにふさわしい利益を日本の製薬企業が得ていない理由は何か説明していただきたい。

（答）

天然物医薬品の売上げは好調なものが多く、ふさわしい利益を得られている分野です。公表されているいくつかの事例を挙げれば以下のとおり。（年間売上高）

○メバロチン（第一三共）	2005年	3991億円（2006年米国特許切れ）
○プログラフ（アステラス製薬）	2007年	2030億円（2008年米国特許切れ）
○ハラヴェン（エーザイ）	2012年	285億円見込み（2011年承認）
	2015年	800億円の見通し
○ベイスン（武田薬品工業）	2009年	419億円（2005年特許切れ）

近年、主要な医薬品の特許切れが続いていることから、本事業を通じ、新たな天然物医薬品のパイプラインを創出することが期待されています。

⑧IT創薬及び天然化合物技術と個別化医療とは、どう関連するのか説明いただきたい。

(答)

個別化医療の技術基盤としては、文部科学省による疾患メカニズムの解明等の結果、がん等の疾患について、コンパニオン診断技術による疾患の層別化（遺伝子のタイプ別の分類）がなされつつあります。

例えば、細胞膜表面のHER2という糖タンパクは個人によって発現の程度に差があり、全乳がんの20～30%の方がHER2陽性であることが判明していますが、このHER2タンパクを標的としたハーセプチンという抗体医薬は、HER2陽性の方には大変有効であり、個別化医療の典型として標準治療薬となっています。

また、多様な遺伝子情報に関連するcDNAのライブラリーや、mRNA、タンパク質等の各種データが統合データベースとして整備されており、各種の解析情報とリンクさせることで、有効なITの活用が可能になります。

このような層別化を行った情報基盤の蓄積に基づいて、ターゲットとなる膜タンパク質等との有効な相互作用を持つ天然化合物をライブラリーの中からスクリーニングし、リード化合物の骨格構造を見出した上で、併せてITを活用して膨大な可能性のある天然化合物の誘導体の中から最適な構造の化合物を絞り込むことは、極めて多様性の高い天然化合物の創薬のプロセスにおいて今後一層重要なプロセスになると考えられます。

以上のように、本事業で「IT創薬技術」と定義している、ITを活用して天然化合物技術による創薬を目指すアプローチは、個別化医療の実現のために最も期待される技術分野の一つと考えられます。

⑨IT創薬がなぜ天然化合物技術とのみ結び付けられているのか説明いただきたい。

(答)

ITの活用は、天然化合物技術では特に重要度が高いものの、個別化医療の実現のためには幅広い創薬のプロセスで必要となります。

天然化合物以外では、例えば抗体医薬の製造における流体力学のシミュレーションにITは不可欠ですが、一方でスパコンを活用して計算科学によって抗体医薬を設計するというアプローチは、世界最先端研究プロジェクトにおいて取り組まれているものの、産業界での活用可能性が未確定な状況であることから、現時点では本事業で実施することを想定していません。

また、体内動態把握技術に関しても、これまでに低分子のマイクロドーズによる体内動

態の測定データ等に基づくシミュレーションソフトを開発中であり、今後はバイオ医薬品に関しても同様なシミュレーションソフトの開発が期待されます。

⑩第1回評価検討会資料5の12ページの「研究基盤」という項目があるが、これらの研究支援は、本事業に含まれるかどうか説明いただきたい。

(答)

「研究基盤」(図1、図2参照)は、これまでに国等の支援によって推進してきた研究開発の成果を示しており、本事業においてはこれらの知見や研究開発成果を活用することは想定しているものの、本事業には含まれないと考えています。

⑪第1回評価検討会資料5の8ページで、開発項目「複雑な医薬品の生産(天然化合物の安定的生産技術の確立)」及び「複雑な医薬品(核酸医薬)の生産」という記載があり、一方、12ページから14ページに記載の「事業内容、実施体制」にはそれに対応する記載がない。開発項目としてあげているが、実際は実施しないということか説明していただきたい。

(答)

天然化合物も核酸医薬も生産技術の革新が不可欠であることから、本事業において実施する予定です。「事業内容、実施体制」の資料では、記載項目の関係で割愛しました。

⑫文部科学省の「分子イメージング研究推進プログラム」でできないことで、本事業でできることは何か説明していただきたい。

(答)

文部科学省の「分子イメージング研究推進プログラム」においては、分子イメージングの重要な基礎的技術である低分子化合物のプローブ開発等を実施していますが、本事業では、次世代医薬品である抗体や核酸等の超微量定量法と、併せて次世代医薬品のための分子イメージング技術を開発し、これらを組み合わせた体内動態シミュレーション技術を開発するものです。