

(2) マネジメントの妥当性

⑬3つの技術開発の連携については、現在、分断化されている技術を集結させて成果を出していくとしているが、具体的な連携内容及び成果の創出に向けた道筋を示していただきたい。

(答)

例えば、次世代抗体医薬品製造技術については、従来は、要素技術を保有する企業とアカデミアとの個別連携のような形が一般的でしたが、本事業においては、優れた要素技術の研究を有機的に連携させることが可能なように、特定の研究実施場所に製造技術の上流から下流までの各要素技術を保有する企業を結集させると共に、複数のアカデミアの研究者の協力や、製薬企業等のユーザーフォーラムの設置、また規制・審査部門の関係者の協力も得て、最短期間でアウトプットが生まれるような体制を構築することを目指します。

これによって、各要素技術についてトータルシステムとしての評価を行うことが可能となり、製薬業界による製造プロセスへの利用を円滑にすると共に、規制・審査の際に必要なデータの確保が容易となり、医薬品としての承認実績が増加することで、製造技術としてのデファクト化が進み、世界市場への普及を加速化することが期待されます。

3つの技術開発項目間の連携については、図5に示したように、文部科学省による病気のメカニズムの解明の研究成果を、厚生労働省による治験へと切れ目無くつなぐことによるバリューチェーンの構築を目指して、医薬品としての出口を目指した具体的な連携のあり方について今後検討していきたいと考えています。

⑭マネージメントボードの体制、役割、権限、責任を示していただきたい。また、経済産業省とどのような関係にあるのか示していただきたい。

(答)

マネージメントボードの参画者(委員等)は、本事業との関係で第三者となる外部の有識者等で構成する予定です。

また、その役割等としては、本事業の適正な推進を目的として、事業の再編・中止等の抜本的な見直しも含めて運営方針を提言する役割を持ち、経済産業省はその提言を踏まえて予算要求等の作業に反映することを想定していますが、詳細については他のプロジェクトの事例等を参照しつつ検討を進めます。

⑮推進体制の中で、PLの役割、責任、専従化の可否など具体的に示していただきたい。

(答)

各研究開発項目を統括するプロジェクトリーダー（PL）については、公募を通じて公正かつ厳正に選定する予定であるため、現時点では未定です。

PLは、事業を通じて最大の研究開発成果を出すために、研究開発推進の具体的な戦略の立案、経済産業省への提案と適正な執行等の責任を持つ重要な立場ですが、そのような方は既に他の責務を担っている可能性が大きいことから、専従は必須条件とはしないことを想定しています。

⑯本事業の技術開発の実施者（研究グループ）がどのような方法で選定されるのか説明していただきたい。

(答)

経済産業省が定める手続きに則って公募を行い、外部の有識者で構成される採択審査委員会での審査により、最善の提案を採択することとしています。

⑰他省庁のプロジェクトとの連携、特にIT創薬と創薬等支援技術基盤プラットフォームにおける構造生物学支援との関係について、具体的な内容を示していただきたい。

(答)

文部科学省の創薬等支援技術基盤プラットフォームにおいては、低分子化合物を中心とした21万の化合物ライブラリーと、世界最高水準の放射光施設や計算機を活用した次世代のSBDD（ストラクチャーベースドラッグデザイン）技術等により、有機化学合成による合成を前提としたリード化合物の導出を目指しており、基礎生命科学研究やライフサイエンス全般を支援することとしています。

本事業においては、35万の天然化合物ライブラリー、高解像度NMR及びIT等を活用して、微生物等による物質変換を想定した、汎用性があり早期に産業応用可能な革新的創薬のための技術基盤を開発するものです。

⑱本事業が創薬支援ネットワークの構築にどう関わるのか明確にしていきたい。

(答)

創薬支援ネットワークにおいては、天然化合物ライブラリーの活用を想定しており、本事業による天然化合物の利用技術の開発成果が反映されることを目指しています。

⑲経済産業省（産業構造審議会評価小委員会）における事前評価において、本事業の技術的な実現可能性・有効性について、どのように評価されているか、その評価結果と併せて示していきたい。

(答)

本事業の実現可能性や有効性については、次のように評価されています。

- ・ 効率化の向上のため、創薬にかかる時間が短縮され、時間と投資の無駄が削減できる。
- ・ 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て一石二鳥となり、大きな効果が期待される。
- ・ 製造技術基盤としての信用が高まれば普及が加速される良い取り組みである。この分野は将来の波及効果が大きいと、是非推進して欲しい。
- ・ 製造・解析技術は一体的開発が理想だが、各要素技術の性能が良ければ個別に活用できる。たとえば、新規な培養細胞で良いものを作ることができたら最良のアウトプットとなる。
- ・ 前身となる低分子化合物のためのマイクロドーズ技術は日本発の技術であり、治験の効率化に貢献している。そのため、その発展系である本事業も政策的位置づけは十分にある。
- ・ 対象物はバイオ医薬品に限らず、修飾された薬剤の生体内局在を対象とした技術開発も含めると面白い。アウトプットは、産業応用に直ちにつながる。

なお、実施に当たっての指摘事項として、次のコメントをいただいています。

- ・ 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ていないので、当該プロジェクトにおいてこれを改善すべき。
- ・ 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もので、3年程度で中間評価によって絞り込んでいくのが適切。
→（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

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。

- ・パッケージとして優れたものを構築するのか、個々の技術で勝負してゆくのか、事前に戦略を練ってから事業に着手すべき。

→（生物化学産業課コメント）GE はシングルユースの企業を買って、プラットフォーム化を目指しており、本事業も各要素技術が一体となったシステムとしての開発を目指す予定。

- ・コアになる施設に関係企業や技術が結集するのであれば有意義なものとなる。出口のPMDAの審査まで配慮した仕組みならば非常に良い。

- ・技術開発をただけでは不十分なので、出口までを前提にした体制を創る必要がある。

→（生物化学産業課コメント）PMDA の担当を運営委員会のオブザーバー等として迎え、適宜助言をもらう体制にする等の出口を想定した仕組みにすることを想定。

- ・技術開発の対象はバイオ医薬品のうち核酸、ペプチドなど、マイクロドーズ技術が真に必要となる医薬品を選択すべき。

→（生物化学産業課コメント）対象とする医薬品は、各種バイオ医薬品の特性を踏まえ検討してゆく。

また、産業構造審議会評価小委員会の評価として、上記の外部有識者による評価に加えて、次のように評価しています。

- ・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。

→（生物化学産業課コメント）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。

- ・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。

→（生物化学産業課コメント）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

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。

・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。

→（生物化学産業課コメント）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。

⑳経済産業省（産業構造審議会評価小委員会）における事前評価では、すべてのテーマを同一の評価委員で実施しており、技術的・専門的な評価を十分に行うことが困難と思われるが、経済産業省の見解について説明いただきたい。

（答）

評価小委員会による評価の前に、当該事業に係る外部有識者による評価を行っています。

前段の評価は主として科学技術的な側面に関する評価で、当該分野に関する科学技術的な深い知見や見識のある外部専門家により評価が行われます。また、後段の評価は政策的な見地や分野間のバランス等の大局的な観点から評価を実施しています。その評価者は科学技術的にも広い学際的な知識を有し、また社会的・国際的・政策的・経営的当の領域に関するエキスパートを配しています。

従って、評価小委員会が当省の全てのテーマを評価することは妥当であり、また必要でもあります。

(参考)

①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

②研究開発プロジェクトの評価にあ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

(3) 国費投入の意義

⑳第1回評価検討会資料5の説明資料8ページを見ると、このプロジェクトに関わるのは、治験の前までと理解できる。6ページの図でいうと、コスト数億円のところのみ投資することになる。そこに全体で405億円を投資する妥当性を説明していただきたい。

(答)

第1回評価検討会資料5の説明資料6ページの数値は、1物質あたりの金額を示したものであり、開発にあたって対象となる物質の数は治験までの段階が桁違いに多い（医薬品のもととなるリード化合物が、薬事承認を取得する確率は約3万分の1と言われる）ことや、ベンチャー企業が担当しているレイヤーであることから、投資規模として妥当と考えられますが、執行に際しては一層の合理化に努める必要があると考えられます。

2. 追加の資料提出を求める事項

㉑各技術開発（「IT創薬技術」、「安定生産技術」、「体内動態把握技術」）のポテンシャルの高さを示す資料。

(答)

別添資料1～3をご参照ください。

㉒NEDO等における各技術開発（「IT創薬技術」、「安定生産技術」、「体内動態把握技術」）に関連する業績報告書。

(答)

別添資料4～10をご参照ください。