

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品創出

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

評価(自己評価)

A

既存の取組に加え、DISC、創薬支援インフォマティクスシステム構築、GAPFREE、希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業、構造展開ユニットの創設、次世代PPI 阻害ライブラリの構築等の新たに画期的な取組を開始した。こうした取組の結果、乳がん、大腸がんなど5つのがんの早期診断に有用なmiRNA セットの選定成功とこれに基づく15件の特許申請、産学連携のもと次世代抗体医薬の技術開発・製造機能を併せ持つ国内初のマザー工場となるGMP施設の稼働などの画期的な成果を創出するとともに、「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの中で、3件の企業導出(創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)からは0件)(2020年頃までの達成目標:5件)につなげるなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

2015年度の全目標に対して、着実に件数を重ねすべてにおいて目標達成。

- ・相談・シーズ(目標 2015年度:400件) 421件
- ・有望シーズへの創薬支援(目標 2015年度:40件) 44件
- ・企業への導出(ライセンスアウト)(目標 2015年度:1件)
3件(創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)からは0件)
- ・創薬ターゲットの同定(目標 2020年頃まで:10件) 8件

② 創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)

- 創薬支援ネットワークの本部機能を独立行政法人医薬基盤研究所(当時)から国立研究開発法人日本医療研究開発機構に移管するとともに、創薬支援戦略部が選定した創薬シーズについて創薬支援ネットワーク構成機関等と連携の上、技術支援体制及び、運営並びに意思決定する体制も構築して当初目標を上回る44件の創薬支援を行うなど、順調に運営していることは評価できる。

② 創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)[続き]

- 支援を行うアカデミア発創薬シーズの選定にあたって評価手順及び基準を定めるなど、適正な評価体制を確立したことは評価できる。
- 「導出に関する基本的考え方」を策定し、企業導出に向けた取組を開始したことは評価できる。

③ 創薬支援推進事業(創薬支援効率化事業)

- 製薬企業等が保有する低分子化合物群を用いて、アカデミア発創薬シーズ(創薬標的)に対するハイスループット・スクリーニング(HTS)を実施し、その結果を会員企業にフィードバックする取組としてDISCを構築するにあたり、大手製薬企業を含む22社より約20万化合物の提供を得るとともに、DISC臨時総会を開催することにより規約の改定を行う等、DISCの適切な運営体制を整備し、HTSを開始したことは評価できる。

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品創出



④創薬支援推進事業

(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)

厚生労働大臣による希少疾病用医薬品指定前における医薬品開発を推進する仕組みが存在せず製薬企業等における研究開発が進みにくい傾向にある希少疾患領域の医薬品開発を推進するために、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企業等に対する実用化支援を行う「創薬支援推進事業(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)」を構築し、開始したことは評価できる。

⑤創薬基盤推進研究推進事業

- 革新的新薬の開発に向けて、アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制及び先進的なオミックス解析技術と製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームを作成し、産学官共同研究プロジェクトとして前向き臨床研究の準備やオミックス解析に向けた体制を整備
- 次世代PPI阻害ライブラリーの構築を目指し、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用して、化合物の設計、合成法の検討、化合物合成に着手

⑥創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

- アカデミアでは困難とされていた化合物最適化研究を可能とするため、①eye ball(合成可否・有用性の見極め)、②structure design(構造展開)、③synthesis(合成)からなる構造展開を一体的に行える「構造展開ユニット」を設置

⑦次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(マイクロRNA測定技術基盤開発)

- 13のがん疾患を対象に含め約22,000例を解析
- 乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについて早期診断に有用なmiRNAセットを選定
- これらの成果をもとに15件の特許申請を実施

⑧次世代抗体医薬等の製造技術

- 我が国初の抗体生産技術のマザー工場となるGMP施設を完成、検証実験を開始
- アカデミアによるシーズ探索を抗体医薬品の生産につなぐ中で、抗体製造の技術開発を国内で実施する体制を整備

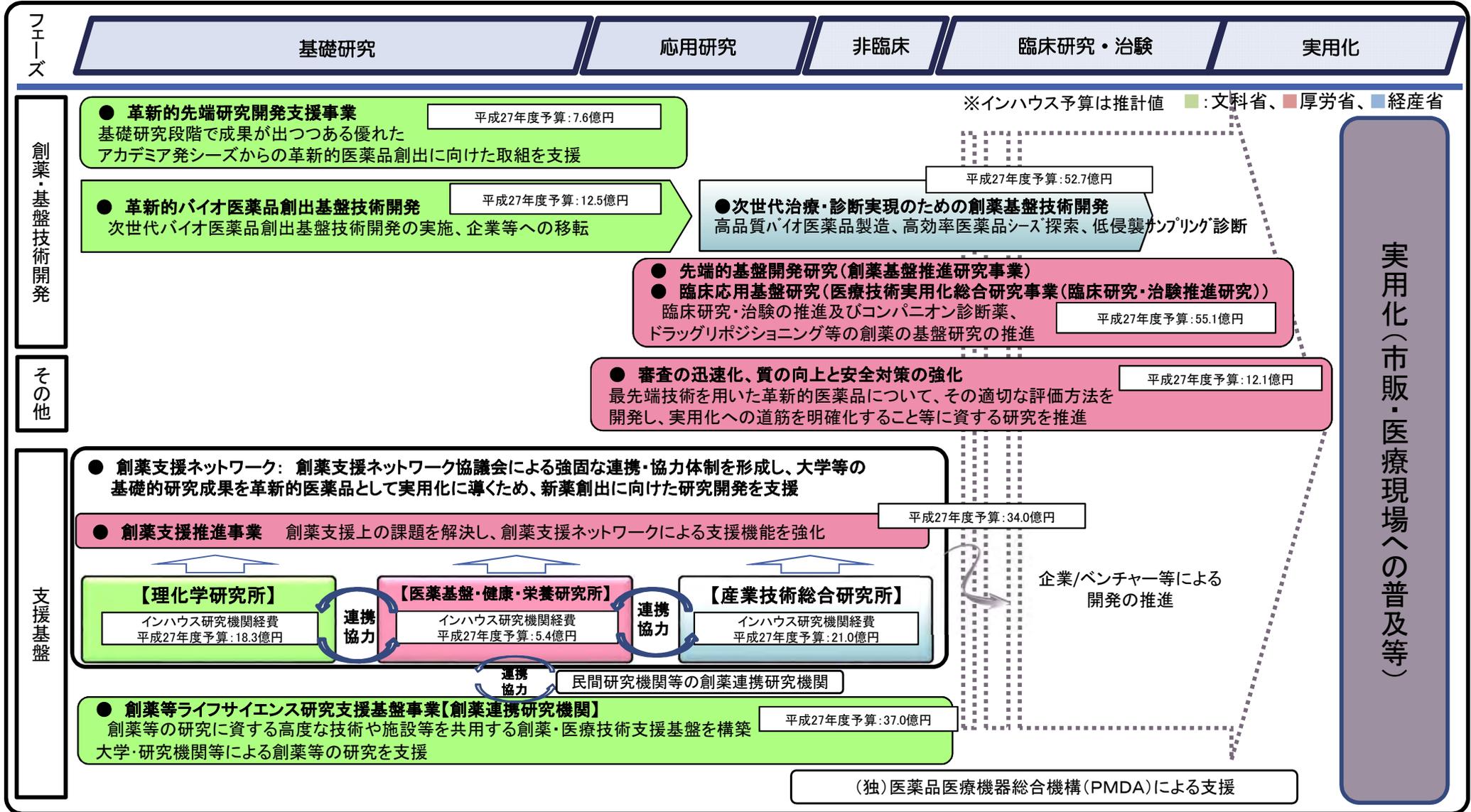
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

概要

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。



I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

評価軸

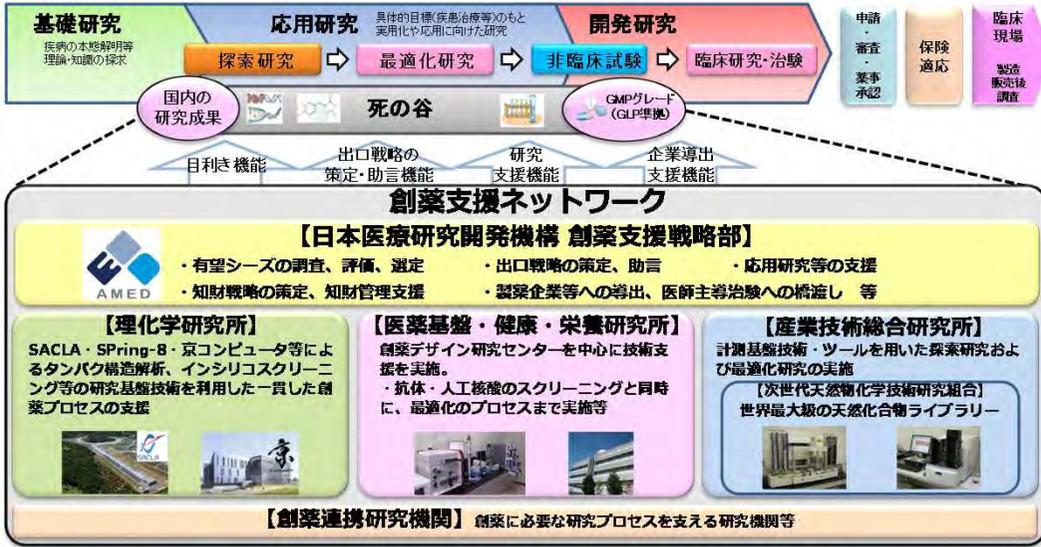
創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図ったか。

創薬支援ネットワーク

概要

●創薬支援戦略部が本部機能を担い、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等の創薬関連研究機関との連携により、革新的医薬品の創出に向けた支援体制を整備。

●大学・公的研究機関等で生み出された優れた基礎研究(創薬シーズ)のうち、医薬品としての実用化の可能性の高い創薬シーズについて、創薬関連研究機関が保有する創薬技術、設備等を活用して、探索研究から前臨床開発、権利化、企業導出等を切れ目無く総合的に支援。



産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)

研究概要

- 創薬支援戦略部が目利きしたアカデミア発の創薬標的
 - 製薬企業等の会員企業22社がHTS*用の低分子化合物を提供（約20万化合物）
 - HTS実施経費は創薬支援戦略部が負担し、外部機関に委託
 - HTSの結果を会員企業にフィードバック
- *HTS (High-throughput screening)

創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



■「創薬支援インフォマティクスシステム」構築

創薬支援ネットワークに資する創薬基盤を構築するため、薬物動態と毒性を中心としたインシリコの統合解析プラットフォーム(データベース、モデリング機能、予測機能から成るシステム)を構築するための支援を開始。

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

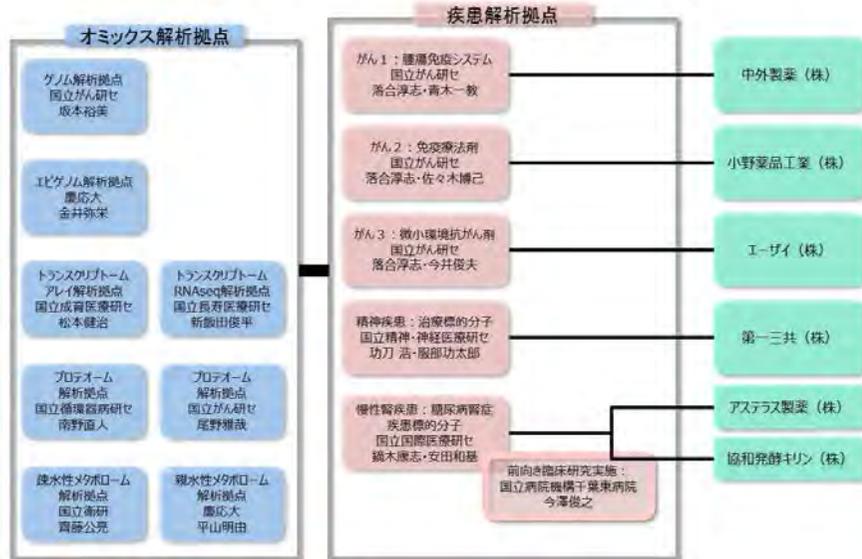
評価軸

創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援したか。

産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE）

研究概要

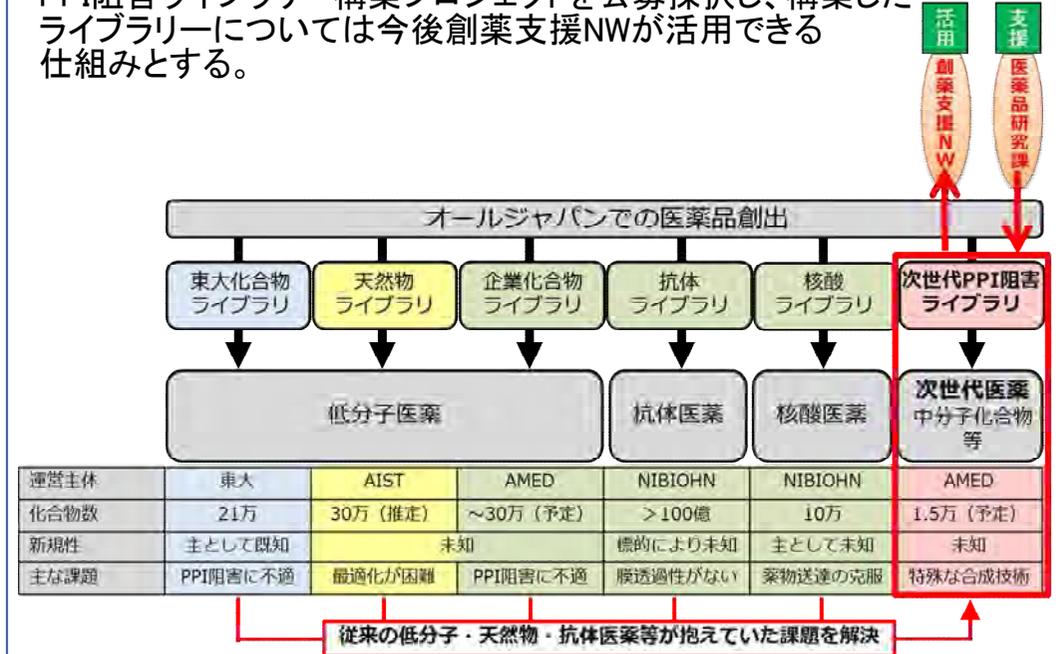
- 革新的新薬の開発に向けては、①アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制及び先進的なオミックス解析技術と②製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームが重要。
- 本プロジェクトは、参画企業も研究費を拠出の上、その研究成果を製薬企業による創薬等につなげることを前提としたAMED発の本格的な産学官共同研究プロジェクト。
- また、本プロジェクトでは、参画企業が必要とする臨床検体や付随する臨床情報等のニーズを踏まえて、オーダーメイドの前向き臨床研究を立ち上げることが基本。



次世代PPI阻害ライブラリ

研究概要

- 従来の低分子・天然物・抗体医薬の抱える課題を解決できる次世代PPI阻害ライブラリーの構築を目指す。
- また、次世代PPI阻害ライブラリーの構築に当たっては、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用する。
- なお、ファンディング機能を有する医薬品研究課が次世代PPI阻害ライブラリー構築プロジェクトを公募採択し、構築したライブラリーについては今後創薬支援NWが活用できる仕組みとする。



■創薬支援推進事業(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)

希少疾患領域の医薬品開発を推進するために、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企业等に対する実用化支援を行う創薬支援推進事業を開始した。本年度は、ヒト初回投与試験前段階3件、ヒト初回投与試験後段階5件に対する支援を開始した。

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

評価軸

創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援したか。

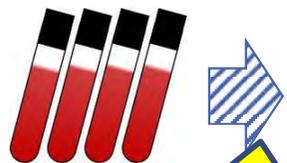
マイクロRNAによる5つのがんの早期診断を実証

研究概要

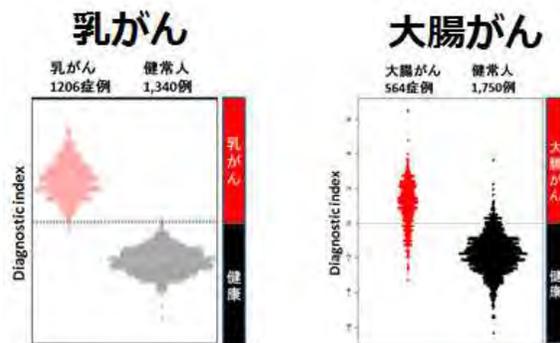
蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の発現データを取得し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

研究成果

患者血清約22,000例の網羅的miRNA発現データを取得した。結果を解析し、乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについては早期診断に有用なmiRNAセットを選定することに成功した。これらの成果をもとに15件の特許申請



2500種類のマイクロRNAの有無及び含有量を確認



今後マイクロRNAを利用して早期がんを見分ける診断技術を確立する

抗体医薬品製造のマザー工場が本格稼働

研究概要

国内のバイオ医薬品製造技術を開発している25企業、2大学、3機関が参加の「次世代バイオ医薬品製造技術組合 (MAB)」と他大学法人が連携し、抗体製造に係わる以下のような各種製造基盤技術を開発中：
①バイオ医薬品製造にふさわしいCHO細胞を用いたオリジナルな生産細胞系、②ハイスループットな細胞構築システム（装置）、③培養槽シミュレーション技術を利用した培養槽、④高性能な分離材、⑤糖鎖解析および凝集体解析技術、⑥開発した技術評価体系の整備、⑦ウイルス管理技術、⑧開発した技術評価体系の整備

研究成果

バイオ医薬品製造に関わる技術開発と製造の機能を併せ持つ国内初のGMP施設を、神戸大学統合研究拠点に設置し、抗体製造に関わる開発技術検証に向け、平成27年度末より本格稼働を開始した。

現在、製造技術検証用の抗体生産細胞を用いてテストランを実施し、ベンチマークとなる「設備の実証データ」を取得中である。



神戸GMP施設

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品創出



評価軸

医薬品の実用化支援について、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行ったか。

■創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)

(1) 有望な創薬シーズ及び創薬技術の情報収集・調査

- ・大学等で生み出された優れた研究成果(アカデミア発創薬シーズ)の実用化を支援するための相談事業(以下「創薬ナビ」という。)を実施するとともに、日本医療研究開発機構研究費に申請された研究課題に申請された研究課題、創薬コーディネーターの大学等への訪問等を戦略的に展開し、効果的なシーズ情報収集を実施した。(シーズ目利き評価: 134件、創薬ナビ件数: 28件)
- ・早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院、国立高度専門医療研究センター等18機関と連携構築に係る覚書を締結し、効果的かつ効率的なシーズ情報収集の体制を構築した。

(2) 有望な創薬シーズの評価・選定

- ・創薬支援ネットワークの支援対象として、平成27年度に実用化の可能性の高い有望な創薬シーズ19件を選定した。

(3) 出口戦略の策定・助言

- ・選定シーズ(支援課題)44件の進捗状況等について適切にフォローアップを行うとともに、企業導出による確実な実用化を図るための知財戦略、出口戦略を含めた研究開発計画の立案等の支援を行った。

I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

評価軸

医薬品の実用化支援について、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行ったか。

(4) 応用研究等の支援

- ・選定シーズ(支援課題)44件のうち、5件について国立研究開発法人理化学研究所、3件について国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、1件について国立研究開発法人産業技術総合研究所において、探索研究から非臨床試験を中心とした技術支援を行った。
- ・創薬ナビ等の相談者に対して、情報収集したCRO(医薬品開発業務受託機関)やCMO(医薬品製造業務受託機関)等の紹介等を行った。

(5) 知財管理支援

- ・選定シーズ(支援課題)に対して、特許や創薬過程における周辺特許等、研究者(シーズ保有者)に対して医薬品の実用化に必要な戦略的な知財取得や知財管理の指導・助言を行った。また、製薬企業等への導出を見据えた特許戦略などを検討し、それらを踏まえた研究開発計画を立案するなど、研究を推進する上で必要な知財支援を行った。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	227件
採択件数	54件
事業に参画している研究者延べ人数	862人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	14件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	39件
シーズ情報の入手先機関数	109件
技術支援を実施した機関数	74件

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器開発