

参考資料2  
(第16回創薬支援ネットワーク協議会 資料6(抄))

# 創薬支援ネットワーク協議会 これまでの取組

令和元年 10 月 9 日

創薬支援ネットワーク協議会



## (目次)

はじめに .....	4
これまでの取組 .....	6
1 . 創薬支援ネットワークにおける創薬支援活動の概略 .....	6
2 . テーマ支援 .....	7
2-1 . 採択基準及び導出選定基準明確化 .....	7
2-2 . 導出に関する考え方の整理 .....	7
2-3 . 目利き機能強化 .....	9
2-3-1 . コーディネーターの現役出向 .....	9
2-3-2 . シーズ掘り起し(大学キャラバン等) .....	9
2-3-3 . 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)の活用 .....	10
2-4 . 撤退基準 .....	11
2-5 . 撤退基準該当シーズの公開 .....	12
3 . 3国立研究開発法人及びCROの技術・設備等の活用 .....	13
3-1 . 3国立研究開発法人の設備や技術のデータベース化 .....	13
3-2 . 3国立研究開発法人の技術支援に対するインセンティブの考え方 .....	13
4 . その他 .....	15
4-1 . 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)創設 .....	15
4-2 . 創薬支援ネットワークアドバイザリーボード創設 .....	15
4-3 . 外部支援としてのCRO選定の方策 .....	16
4-4 . 創薬支援推進ユニットの構築 .....	17
4-5 . DISC中分子ライブラリーの構築 .....	18
創薬支援ネットワークの活動実績、今後の課題 .....	19
おわりに .....	22
参考資料 .....	23

## はじめに

### 創薬支援ネットワークとは

旧独立行政法人医薬基盤研究所に設立された創薬支援戦略室が本部機能を担い設置された創薬支援ネットワーク(平成 25 年 6 月 14 日に閣議決定された日本再興戦略に基づく)は、平成 27 年 4 月 1 日より日本医療研究開発機構(以下「AMED」という。)に設置された創薬支援戦略部(平成 29 年 7 月 1 日から創薬戦略部)に本部機能が移管され、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、創薬支援に関わる高い技術を有する研究機関が強固な連携体制のもと、大学や公的研究機関の優れた研究成果から革新的新薬の創出を目指した実用化研究をオールジャパンで支援する、日本初の創薬支援制度である。

### 創薬支援ネットワークの目的

創薬支援ネットワークは、アカデミア等の優れた基礎研究の成果を確実に医薬品の実用化につなげるため、「死の谷」と呼ばれる応用研究の段階を中心に、切れ目のない実用化支援を実施することを目的としている。

### 創薬支援ネットワークの活動

AMED創薬戦略部では、アカデミア等からの創薬に関する相談に対応する「創薬ナビ」を実施するとともに、アカデミアや公的研究機関等で生み出された優れた研究成果に関する情報を収集・分析し、実用化可能性の高い創薬シーズについて幅広く調査している。創薬ナビと創薬シーズ調査の結果、有望と思われるシーズに対しては、有望シーズに対する創薬総合支援事業である「創薬ブースター」において、研究計画の立案や個別の応用研究の実施など、戦略・技術・資金も含めた総合的な支援を行っている(参考資料 1)。

具体的には、製薬企業等で豊富な研究開発経験を積み、最新のビジネスおよび科学技術に関する深い理解と高度な情報収集能力を備えた創薬コーディネーター(創薬戦略部に在籍、以下「コーディネーター」という。)が、専門家チームを形成し、創薬研究開発における標的検証から前臨床開発において的確かつ効果的な支援を提供している。また、創薬シーズの評価、知財戦略の策定やプロジェクトマネジメント、研究成果の企業導出等についても、専門家チームとして創薬研究を強力に支援している。

### 創薬支援ネットワーク協議会の役割

健康・医療戦略(平成 26 年 7 月 22 日閣議決定、平成 29 年 2 月 17 日一部変更)において、国が行う医療分野の研究開発の推進などの取組方針が示された。また、これに先立つ平成 25 年 4 月、国内の基礎研究から有望なものを選んで応用研究を実施し、企業による実用化につなげる「創薬支援ネットワーク」を関係府省・関係機関が連携して構築するため、創薬支援ネットワーク協

議会(以下「協議会」という。)が設置された(参考資料2)。

本協議会では、創薬支援ネットワークで提供される多岐にわたる様々な支援を一元的に活用し、限られたリソースの中で、アカデミアシーズの実用化に向けた効率的で効果的な支援を実施するための取組に関する議論がされた。その議論の過程において、新たに見いだされた留意すべき課題について、関係省庁及び関係機関が強固な連携のもと、速やかに検討を行い「創薬支援ネットワーク」の仕組みに反映させるPDCAサイクルの実践に不可欠な議論の場として機能し、令和元年9月までに計16回開催された(参考資料3)。

#### 創薬支援ネットワークの成果

創薬支援ネットワークは令和元年8月末現在、創薬戦略部による「相談・シーズの評価」を1,445件(2020年までの達成目標は1,500件)、「有望シーズへの創薬支援」を134件(同200件)、「企業への導出」を8件(同5件)実施し、アカデミアシーズの実用化を主眼に置いている創薬支援ネットワークにおいて、主要な成果目標である企業導出については、既に2020年目標を上回る実績をあげている。

本報告書では、協議会で議論された取組についてとりまとめた。

## これまでの取組

### 1. 創薬支援ネットワークにおける創薬支援活動の概略

本論に入る前に、協議会での取組について理解の促進を図るため、創薬支援ネットワークにおける創薬支援活動についての概略を記す。

「はじめに」で述べたように、AMED創薬戦略部が、アカデミア等からの創薬に関する相談に対応する「創薬ナビ」を実施するとともに、製薬企業等で豊富な研究開発経験を積み、最新の製薬業界の動向および科学技術に関する深い理解と高度な情報収集能力を備えた創薬支援推進者であるコーディネーターが、アカデミアや公的研究機関等で生み出された優れた研究成果に関する情報を収集・分析し、実用化可能性の高い創薬シーズを調査している。

創薬ナビと創薬シーズ調査の結果、有望と思われるシーズに対しては、シーズを保有する主任研究者（以下「PI」という。）との交渉を経た後、創薬ネットワークと連携したAMEDの会議体にて諮られ、支援テーマとしての採択可否が決定される。採択が決定された支援テーマに対しては、創薬総合支援事業の一つである「創薬ブースター」において、創薬シーズの種類や研究ステージに応じて、コーディネーターが3国立研究開発法人（以下「3法人」という。）<sup>1</sup>等からの研究支援を含む様々な支援メニューから研究開発計画をテーラーメイドで作成する。これら計画を基に、3法人等の研究機関等を組み込んだプロジェクトチームにより効率的な創薬研究を進め、その成果を製薬企業等への導出等の実用化へと橋渡ししている。創薬ブースターでは、創薬シーズをその進展度合いに応じて、「標的実用化検証」「スクリーニング」「リード最適化」「前臨床開発」の4つのステージに分類し、臨床研究に至る前までを支援のスコープとしている。また、支援の実施に必要な経費は、CRO<sup>2</sup>等への委託試験経費も含め、原則として、創薬戦略部もしくは技術支援を実施する3法人が負担することとしている。なお、支援を行うシーズとしては、以下を満たすものとしている。

シーズ支援を受けるPI	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 国内の大学や公的研究機関等で雇用され、創薬研究に取り組んでいる研究者（支援テーマの選定に当たっては、若手研究者からの先進的な提案を考慮）</li></ul>
創薬シーズ	<ul style="list-style-type: none"><li>○ 疾患の原因と想定される新規標的機能分子、パスウェイ、変異遺伝子等</li><li>○ 医薬品としての実用化が見込まれる新規物質（低分子化合物、ペプチド等の中分子化合物、天然物化合物、抗体、核酸、遺伝子等）</li><li>○ 医療機器は除く</li></ul>
疾患領域	<ul style="list-style-type: none"><li>○ がん、難病・希少疾患、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管系疾患、精神神経疾患、小児疾患等</li></ul>

協議会では、上に述べた、シーズ採択から実用化に向けた導出に至るまでの創薬支援活動の流れの中で、支援の仕組みや体制を継続的に見直し、創薬支援ネットワークの更なる成果拡大

<sup>1</sup> 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の3国立研究開発法人。平成27年（2015年）4月に独立行政法人から改名。

<sup>2</sup> Contract Research Organization の略語であり、医薬品として開発するために必要となる各種試験を受託する会社、すなわち医薬品開発業務受託機関のこと。

に向けての議論と改善を積み重ねてきた。以下に、その具体的な取組について記す。

## 2. テーマ支援

### 2-1. 採択基準及び導出選定基準明確化

アカデミアにおける質の良い創薬シーズを見いだし、AMEDや各種研究機関の支援を受け、最終的に企業へ導出することが「創薬支援ネットワーク」の趣旨であり、支援テーマの選出および導出テーマの選定は、「創薬支援ネットワーク」の成果創出を左右する重要なプロセスである。従って、AMEDにおける支援テーマ決定の評価項目及び導出テーマの選定基準について、以下の通り第6回協議会で確認した。

#### ① 企業導出を見据えた支援テーマ決定の評価項目

製薬企業等が導入する際に必要とする項目の充足性を踏まえた支援テーマの決定<総合判断>

大項目	小項目
標的疾患の妥当性とアンメットニーズ	患者数
	標準治療の満足度とアンメットニーズ
	ターゲットプロダクトプロファイル
研究仮説の確からしさ、妥当性、独創性	研究仮説・創薬コンセプト
	研究仮説のエビデンス
	研究仮説の独創性
競合環境	世界の研究開発状況
	知財確保および先行特許の状況
実用化研究におけるリスク	生物学的リスク
	化学的リスク
	医科学的リスク
	技術的リスク、その他リスク

#### ② 導出テーマの選定の基準<sup>3</sup>

以下の点を踏まえた上で、創薬支援ネットワークによる支援テーマのうち、企業等への導出が期待できるものを導出テーマとして選定する。

- 得られている試験結果等に特段の支障がないかどうか
- 知的財産権等の権利関係がPIの所属機関その他支援テーマに関する知的財産権等を保有する機関等(以下「導出関係機関等」という。)の中で明確にされているかどうか
- 製薬企業等から支援テーマに対する興味表明を受けているかどうか

また、支援テーマ・導出テーマの決定プロセスについては、2-3-3章に記載の図に記した。

### 2-2. 導出に関する考え方の整理

創薬支援ネットワークの初期導出活動において、例えば、AMEDが行う導出の募集期間が短

<sup>3</sup> 「創薬総合支援事業(創薬ブースター)における導出に関する基本的考え方」の2.導出テーマの選定

い、導出制度の周知不足など、導出プロセスは必ずしも導入を検討する製薬企業の意向を反映したのではなく、理解を十分に得られるものではなかった。そこで、初期導出候補テーマの詳細情報を希望した製薬企業から導出プロセスに関する課題点を聴取し、導出プロセスについて、以下の仕組みを取り入れることとした(第6回協議会)。

- 支援開始や導出テーマの決定に産業界の意見を取り入れるために、製薬企業、ベンチャー企業等との意見交換を定期的に行う委員会等を設置する。
  - ・ 産学協働スクリーニングコンソーシアム(以下、「DISC」という。)<sup>4</sup>の会員企業を活用した意見交換の場: テーマ評価、HTS (high throughput screening) テーマ案の推薦(2-3-3章)
  - ・ 創薬支援ネットワークアドバイザリーボード: 第三者の目から創薬支援ネットワークの水準等を評価(4-2章)
- 支援開始後も産業界の意見や最新の論文情報等を収集し、研究開発計画書の見直しや支援テーマの見極めに活かす。
- 支援テーマの簡単な概要を記した Non-confidential 情報を導出公募前(支援テーマ決定後)から公開する。
- 秘密保持義務の発生しない、疾患領域や実験データ等を含む可能な限り具体的な Non-confidential 情報を「詳細情報提供希望企業」に提供する。
- 募集開始から「導入希望企業」決定までの期間を最大6か月とする。
- 以下について、「創薬総合支援事業(創薬ブースター)における導出に関する基本的考え方」、及び今後の個別の導出テーマの「公募要領」に記載することにより周知を図る。
  - ・ 導出後も企業からの申し出により契約の終了・変更が可能であること
  - ・ 導出に共同研究/ライセンスアウトの2パターンがあること
  - ・ Material Transfer Agreement (試料提供契約書)等を締結することにより自社での再現性の確認等が可能であること

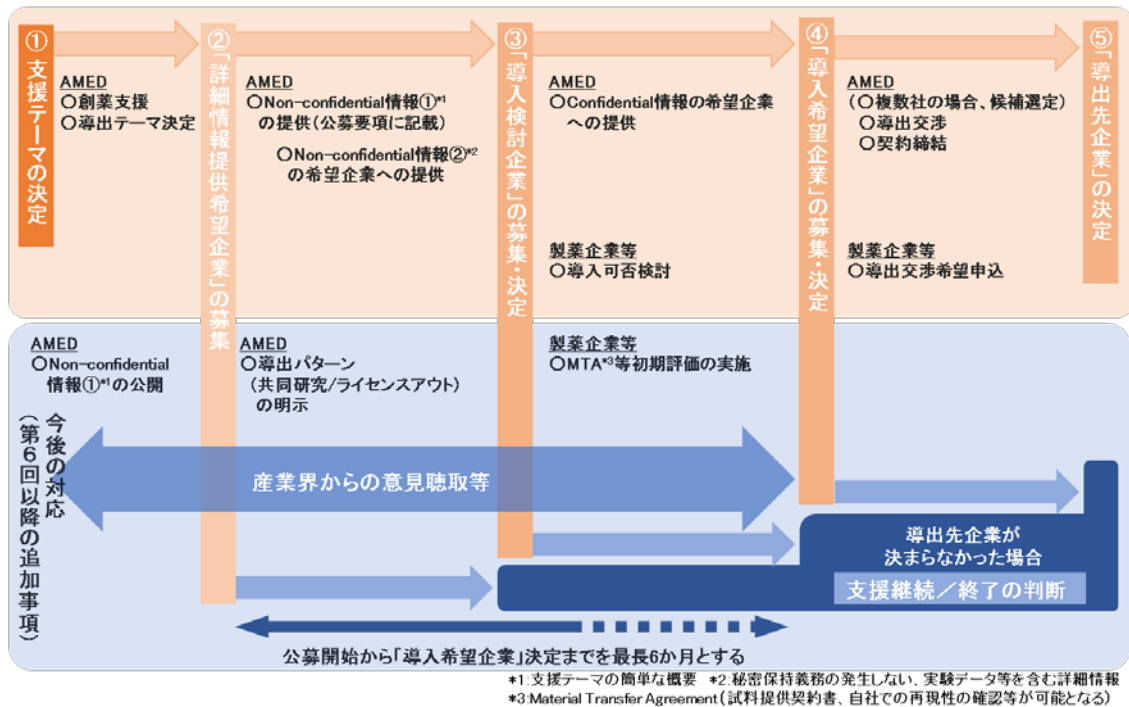
以上の仕組みを取り入れた創薬支援ネットワークにおける導出の流れの概要を以下に記す。また、これまでの協議会での議論を基に導出候補課題の導出に向けたフローを参考資料4にまとめた。

---

<sup>4</sup> 国内製薬企業から構成されるHTS実施に係るコンソーシアム(4-1章)



## 創薬支援ネットワークにおける導出の流れの概要



(第6回資料2-1を基に作成)

### 2-3. 目利き機能強化

#### 2-3-1. コーディネーターの現役出向

AMED創薬戦略部では、コーディネーターとして、十分な医薬品研究開発の経験を有している製薬企業等を退職した人材を採用していた。しかし、産業界のトレンドや最新の知見をテーマの目利き機能にとりこむため、「役職員に係る利益相反マネジメントの取り扱いに関する規則(平成28年9月30日付 平成28年規則第70号)」を整備し、製薬企業等で現在研究開発に従事している人材の現役出向受け入れを可能とした(第8回協議会)。

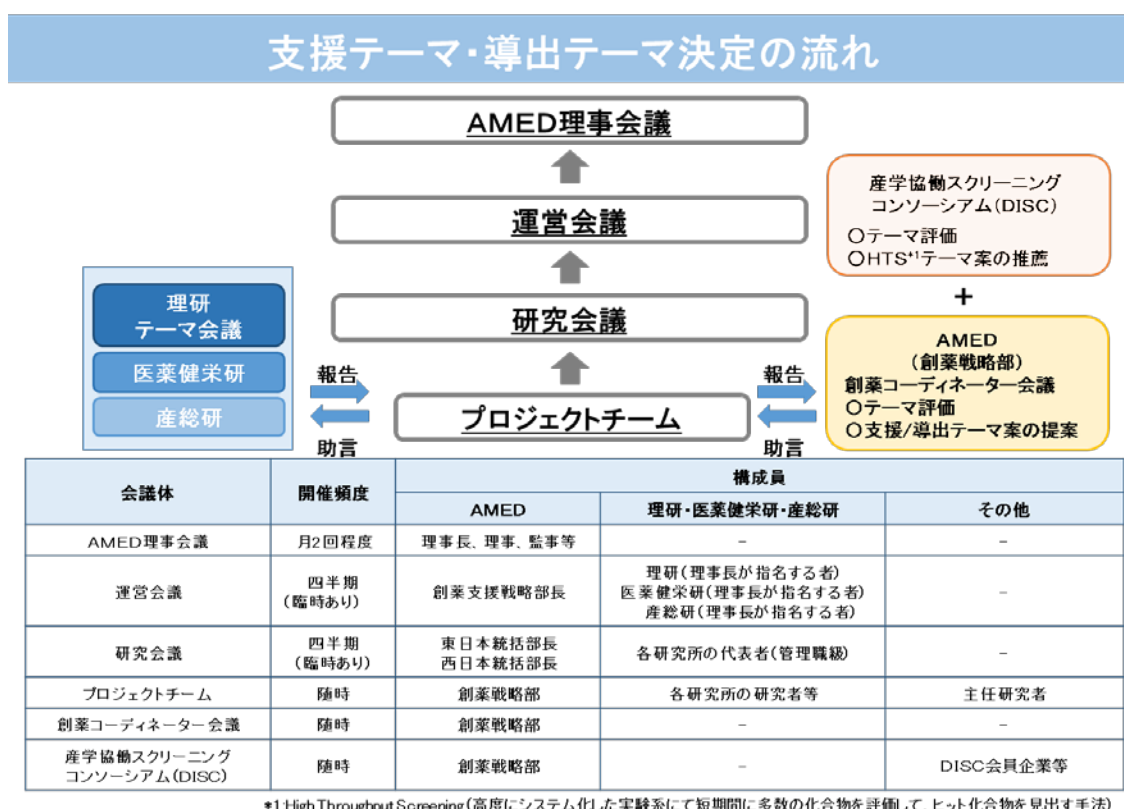
#### 2-3-2. シーズ掘り起し(大学キャラバン等)

世界的に創薬シーズの枯渇が課題となっており、優れたシーズを見いだすことは年々困難になりつつあり、「創薬支援ネットワーク」による支援テーマ探索は将来の成果創出に影響する喫緊の課題である。従って、支援テーマの採択に当たっては幅広い分野・領域から独創的で競争力の高い研究課題を見いだす必要がある。このため、当初、シーズ探索の対象として、医学部・薬学部を設定し、大学からの要望に応じて「創薬支援ネットワーク」の取組を説明する会(大学キャラバン)を開催していたが、アカデミア研究者からの提案を増加させるため、「創薬支援ネットワーク」に関する説明会をAMED自ら企画するとともに、対象を理学部、工学部、農学部等にも拡大し、周知を図ることとした(第8回協議会)。

また、創薬コーディネーターが自ら創薬シーズを発掘する手段が学会参加や論文調査等に限られていたため、AMEDの他部署との連携を強化することにより、より多くのAMED内他事業の研究課題も評価に加えることとした。さらに、AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)を活用し、AMED内他事業で採択されたシーズを効率よく評価することとした(第8回協議会)。現在では、平成28年度後期以降に書類審査通過した「次世代がん医療創成研究事業」、「難治性疾患実用化研究事業」、及び「革新的がん医療実用化研究事業」について評価を行うこととしている。

### 2-3-3. 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)の活用

第5回協議会において、創薬支援ネットワークで採択・支援する課題について、客観的な評価や判断が必要であり、特に支援課題の主な導出先である製薬企業等の考え方を取り入れる必要があるのではないかとの意見が出された。このため、DISCの枠組みを活用し、製薬企業において探索研究部門で勤務する実務者から、創薬コーディネーター会議から提案された支援テーマ候補に関する助言並びにHTSテーマ案の推薦を受ける機会を設定することとした(第6回協議会)。DISCを活用した会議体を含めた創薬支援ネットワークにおける支援テーマ・導出テーマ決定における会議体と意思決定の流れを下図にまとめた。



(第6回資料2-1を基に作成)

## 2-4. 撤退基準

限られたリソースの中で合理的な研究活動を行うためには、適切なテーマの見極め・整理を行う必要がある。このため、1) 支援中のテーマの見極め・整理における考え方、2) 導出活動開始後の支援継続・終了の決定における考え方、3) 導出活動において聴取した企業からの要望への対応、について整理を行い、以下の支援テーマ撤退基準を設定した(第6、9、11回協議会)。

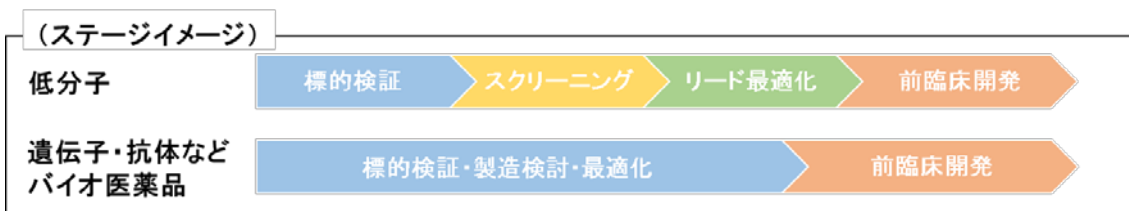
### 【支援テーマの撤退基準】

- ① 支援テーマ決定時の評価項目の充足性に変更があった場合
  - 1) 競合環境の変化
    - 支援テーマと同一の創薬コンセプト等で新たな医薬品又は開発候補品の創製が発表された場合
  - 2) 研究仮説の否定
    - 創薬コンセプトが否定された場合
    - 創薬標的の妥当性が否定された場合
    - 研究開発に必要なコアデータの再現性が証明できなかった場合
  - 3) 実用化の可能性が著しく低下した場合
    - 毒性発現等、医薬品候補物質ほか化合物の潜在リスクが顕在化した場合
    - アッセイ系が構築困難等、研究開発が困難な状況が判明した場合
  - 4) 導出テーマについて「導入検討企業」から要望された課題等が一定期間内に解決困難な場合
- ② 製薬企業等への導出が困難な場合
  - 公募開始以降6か月の間に「導入希望企業」が決まらなかった場合
- ③ 採択から2年間経過<sup>5</sup>

上記基準のいずれかに該当する場合、支援中止とすることとした。ただし、[③採択から2年間経過した場合]については、研究開発計画の策定時に設置したステージアップ予定時期(最長2年)から遅延が見込まれる場合、四半期に一度開催する創薬支援ネットワーク運営会議において、目標の達成に必要な試験や、そのための期間等の妥当性を協議し、議長は支援撤退も含めて基準に基づき、継続/終了の判断を行うこととした。

また、バイオ医薬品のシーズに対しては、研究材料の作製に時間を要するため、撤退基準について支援期間を柔軟に設定すべきではないかとの意見が出され、ステージ期間については柔軟に運用することとした(第14回協議会)。

<sup>5</sup> 第9回協議会での報告において、ステージアップしたテーマの多くの支援期間は約2年であり、支援期間が2年以上になると支援撤退テーマの割合が増加しているとの調査から、支援期間2年と設定した。



## 2-5. 撤退基準該当シーズの公開

上記1-1の支援撤退基準に該当し、支援中止が決定されたテーマについて、将来の再評価の可能性を鑑み、以下の通り、AMEDホームページへの公開することとした(第7回協議会;参考資料6)。

### ① 競合環境の変化、研究仮説の否定等により支援撤退となった場合

- 支援撤退基準に該当したテーマであっても、ネガティブデータとして利活用される等の可能性があるため、以下のとおり公開する。

- 支援撤退テーマ一覧を「過去に支援したテーマ」としてAMEDのホームページに掲載する。
- 掲載期間は共同研究契約終了後3年間とし、製薬企業等との共同研究等に発展した場合はホームページより削除する。
- PIは創薬支援ネットワークによる技術支援結果を活用して製薬企業等との共同研究、論文発表等した場合はAMEDに連絡することとする。また、共同研究契約終了後3年間は利用の有無にかかわらず年次報告をAMEDへ提出する。
- 支援撤退テーマ一覧をホームページに掲載するに当たり、終了理由は記載せず、A.プロジェクト概要、B.秘密情報を含まない範囲での技術支援結果の概要を掲載する。ただし、製薬企業等からAMEDに受け入れ希望があった場合、秘密情報の取扱いについては、PIの所属機関と製薬企業等との二者間での調整することとする。

### ② 公募開始以降6か月の間に「導入希望企業」が決まらなかった場合

- 公募時には製薬企業等のニーズに合わなかったテーマでも、事業環境の変化等により、再び評価される可能性があるため、以下のとおり公開する。

- 上記①と同様に、支援撤退テーマ一覧を「過去に支援したテーマ」としてAMEDホームページに掲載する。ただし、製薬企業等からAMEDに受け入れ希望があった場合、秘密情報については支援終了後3年間はCDA(confidential disclosure agreement)等の締結によりAMEDより開示することとする。

また、上記撤退基準には該当しないが、PIより支援終了要望があった場合については以下の通り公開の有無を決定することとした(第7回協議会;参考資料7)。

- PIが支援シーズをもとに自ら起業する場合は、非公募で導出することとし、支援を終了する。
- PIが退職等により不在となった場合、新たなPIへ承継が可能な場合承継を行う。一方、承継者がいない場合、ホームページで公開して承継希望者の公募を行う。承継を希望する者が現出した場合は承継されるが、現出しない場合支援を終了し、3年間ホームページに課題情報を掲載する。

### 3. 3国立研究開発法人及びCROの技術・設備等の活用

#### 3-1. 3国立研究開発法人の設備や技術のデータベース化

創薬支援ネットワークでは、創薬支援に関わる高い技術を有する3法人が、支援テーマに対して技術的な支援を実施しているが、当初、創薬支援ネットワークで活用できる設備や技術として、3法人が具体的にどのようなものを保有しているかとまとめられていなかった。そこで、これら設備・技術についてデータベース化して一覧性を向上させ、それら設備・技術の合理的な活用に役立つ事とした(第8回協議会)。併せて、支援設備・技術の中には、CROの活用が可能なものが多く存在するため、独法の事情により支援が困難な場合は、CROや他機関の設備・技術も合理的に活用することとした<sup>6</sup>。平成31年3月末現在、支援テーマに対して3法人が提供可能な設備・技術を参考資料8に記した。

#### 3-2. 3国立研究開発法人の技術支援に対するインセンティブの考え方

創薬支援ネットワークにおける3法人による技術支援は、3法人の運営費交付金で措置されている。従って、当初、支援テーマにおける課題解決に必要な設備・技術を3法人が新たに技術開発に取り組む場合、各独法への運営費交付金でまかなう必要があった。そこで、このような場合において、3法人に対して何らかのインセンティブを与えることが可能かを検討した。その結果、AMEDが「各独法に対し整備をお願いしたい設備・技術のリスト」を作成し、このリストをもとに、3法人が翌年度予算に反映して技術開発を行い、これら設備・技術を活用してテーマを支援する場合のみ、委託実験調査契約のもと必要経費<sup>7</sup>を措置することを可能とした(第9回協議会)。これに伴い、AMEDが支援テーマを推進する上で、「各独法に対し整備をお願いしたい設備・技術のリスト」を提示し、議論する場として新たに6月に協議会を開催することとした。創薬支援ネットワークにおける3法人による支援の流れ、及び協議会のスケジュールについて、下図に記した。

<sup>6</sup> 第9回協議会において、3法人でのみ提供可能な技術支援以外はCROに委託することとした。詳細は3-2章参照。

<sup>7</sup> 本経費は創薬支援推進事業の予算の範囲内で措置することとした。

創業支援ネットワークにおける3法人による技術支援の流れ

[H30年度以降]

3月:(3法人) 技術支援に関与したテーマを報告、及び次年度の計画を提示

(3法人) 創業支援ネットワーク関連予算(インハウス予算)を活用した今年度の貢献内容を報告(①)

6月:(AMED) 支援テーマを推進する上で、来年度3法人に重点的に措置を依頼したい技術等を提示(②)

(各省) AMEDの提示を踏まえた創業支援ネットワーク関連予算の概算要求方針を説明(翌年度以降)



AMEDからの提示事項について3法人と調整

9月:(3法人) 今年度計画の実行状況の報告

(各省) 概算要求の内容を説明 (各省) 調整を踏まえて、概算要求の内容を説明(③)

創業支援ネットワーク協議会の今後のスケジュール



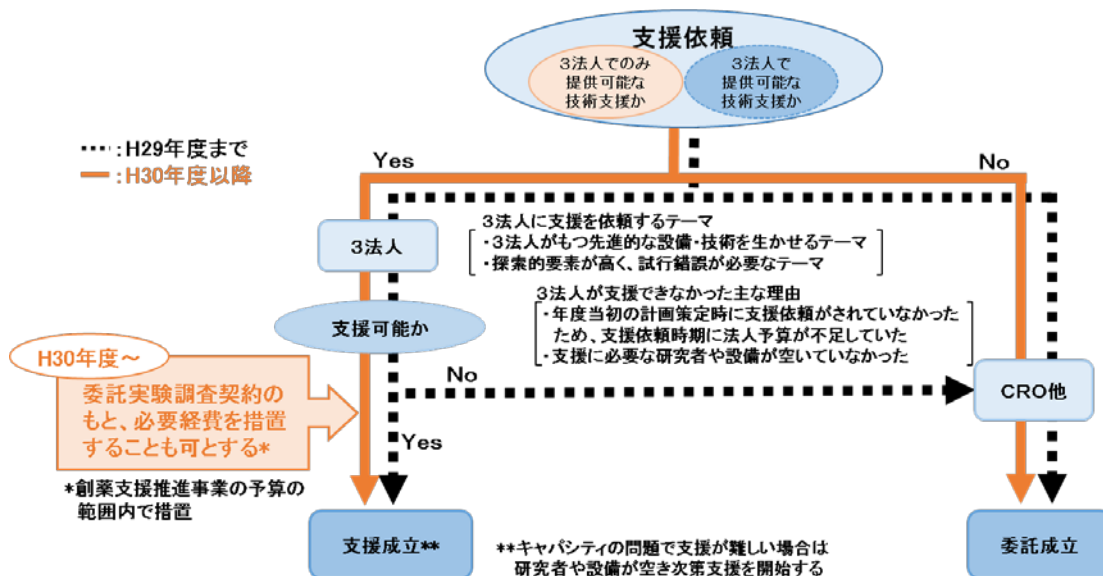
\*創業支援ネットワーク協議会

また、3法人へ依頼する支援技術は3法人でのみ提供可能な技術支援とし、CROで実施可能な技術支援はCROに委託することとした。3法人に支援を依頼するテーマとしては以下の要件を満たすものとした。

- 3法人が持つ先進的な設備・技術を生かせるテーマ
- 探索的要素が高く、試行錯誤が必要なテーマ

3法人の創業技術支援に対するインセンティブ

創業支援ネットワークにおける「技術支援フロー」



(第9回資料2-1を基に作成)



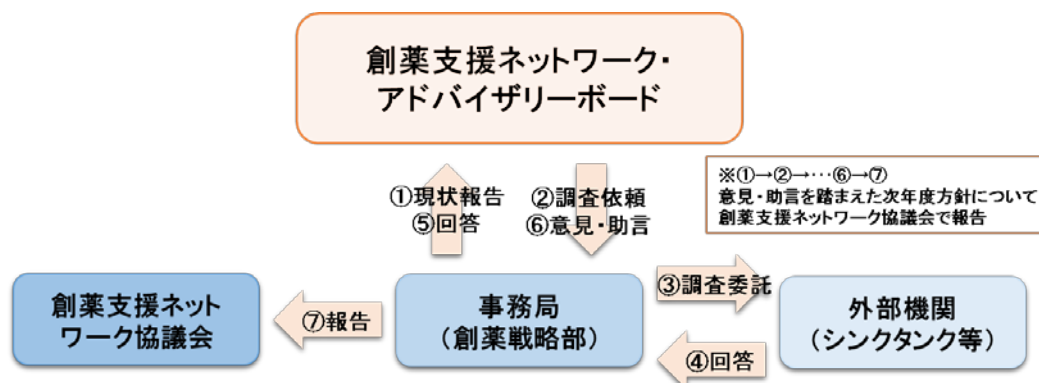
## 4. その他

### 4-1. 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)創設

AMED創薬戦略部が目利きしたアカデミア発創薬シーズの創薬研究における実用化の可能性及びライブラリー化合物の医薬品としての実用化の可能性を高めるために、国内製薬企業から構成されるコンソーシアムを創設し、本コンソーシアムの会員企業から提供された企業ライブラリー化合物及び創薬戦略部が購入したライブラリー化合物を、創薬シーズに係るスクリーニング活用することとした<sup>8</sup>。この際、HTS実施経費は創薬戦略部が負担し、化合物保管・管理やスクリーニングは外部機関に委託・実施することとした。創薬シーズが会員企業に導入された際には、実験用化合物(ツール化合物)が導入先企業よりアカデミアに提供される。なお、使用したアッセイ系や得られたスクリーニング結果については、可能な範囲において会員企業間で情報共有することとした。後述の中分子DISCライブラリーを含めたDISCの概要を参考資料9に記した。

### 4-2. 創薬支援ネットワークアドバイザーボード創設

創薬支援ネットワークの活動を長期的かつ大所高所から評価する仕組みとして「創薬支援ネットワークアドバイザーボード」を設置し、支援活動全般、ポートフォリオ、海外の仕組との比較等について、医薬品研究開発全般に豊富な経験のある製薬企業の者やベンチャー企業、アカデミア、シンクタンク、ベンチャーキャピタルに在籍し、創薬における幅広い知見・経験を持つものを構成員として意見・助言を受けることとした。平成 28 年度からこれまでに、毎年1~3回開催され、アドバイザーボードからの提言がとりまとめられ、各年度末の協議会で報告された。



(第7回協議会資料を基に作成)

また、創薬支援ネットワーク・アドバイザーボードと2-3-3章で述べたDISCを活用した評価活動との役割分担について、下表に記した。

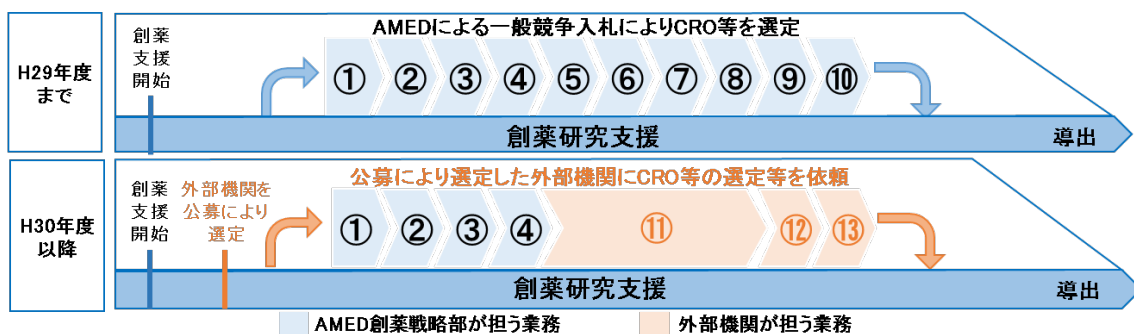
<sup>8</sup> 平成 31 年3月末現在、会員企業数は 22 社、企業提供化合物 27 万検体、購入化合物3万件体を保有。

	創薬支援ネットワーク アドバイザリーボード	産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)
目的	○ 創薬支援ネットワークの取組等に対する意見・助言 ・支援活動全般 ・ポートフォリオ ・海外の仕組みとの比較等	○ 創薬コーディネーター会議から提案された支援テーマ候補に関する助言並びにHTSテーマの提案
構成員	○ 製薬企業(医薬品研究開発全般に豊富な経験のある者) ○ ベンチャー企業 ○ アカデミア ○ シンクタンク ○ ベンチャーキャピタル	○ 製薬企業(探索研究部門の実務者)
開催要領	○ AMEDに設置 ○ 年2回程度開催(11月、2月)	○ DISCを活用 ○ 適宜開催

(第7回協議会資料を基に作成)

#### 4-3. 外部支援としてのCRO選定の方策

採択した課題に対する創薬支援の中には、定型的な業務が多く存在している。当初、そのような業務についてはAMEDが一般競争入札にて経験・実績が豊富なCROを選定し、定型業務を委託していた。一方で、定型業務は多岐にわたり、また事務処理にも多くのリソースを費やす必要があることから、AMEDだけで適切なCRO等の選定を行うことには限界があり、課題点として挙げられていた。そこで、適切なCRO等の選定能力を有する外部機関を公募により選定し、AMEDと連携して選定機能を強化するとともに、公募によって選定した適切な外部機関に創薬支援を依頼することで、効果的な創薬支援が実施可能である体制を構築することとした(第11回協議会)。具体的には外部機関に、下図に示す「CROの入札・開札に係る業務」から「外部機関あるいは外部機関が選定したCRO等が取得したデータ等のバリデーション業務」までの業務を委託することとした。



- |                        |                                   |
|------------------------|-----------------------------------|
| ① 案件の内容に適切なCRO等の事前情報収集 | ⑦(必要に応じて)低入札価格調査                  |
| ② CRO等の施設・技術の確認(視察等)   | ⑧ 落札                              |
| ③ 仕様(業務内容・各種条件)*1を検討   | ⑨ AMEDとCRO等が委託契約締結                |
| ④ 候補となるCRO等より参考見積書の受領  | ⑩ データ等の取得、AMEDへ納品                 |
| ⑤ 入札公告後、提出書類等の確認・審査*2  | ⑪ 外部機関がCRO等を選定*5、もしくは外部機関自らが支援を実施 |
| ⑥ 入札・開札                | ⑫ 外部機関とCRO等が委託契約締結*3              |
|                        | ⑬ データ等の取得、バリデーション等*4              |

\*1 仕様書に記載している内容:業務の内容、受注者の条件(創薬支援能力:設備・技術・経験)、調達条件、納入期限等  
\*2 入札公告~入札までに確認する内容:国の競争参加資格の有無、履行実績、参考見積、技術審査における提案書等  
\*3 ⑩で外部機関自らが支援を実施する場合は、CROとの委託契約締結はしない。  
\*4 AMEDとの連携の下、外部機関とCRO等が一体となって実施  
\*5 株式会社LSIメディアエンス



#### 4-4. 創薬支援推進ユニットの構築

医療技術の革新は様々な分野・疾患領域において起こっており、多様化している。従って、最先端の新規モダリティの活用やアカデミア発創薬シーズの収集等について、AMED及び3法人との連携体制だけでは限界があることを背景にして、第11回協議会では、創薬支援に必要な多岐にわたる最新、最良の科学技術を保有する産学官の研究開発機関を公募により選定し、下表のユニット<sup>9</sup>から構成される創薬支援推進ユニットを整備することが報告された。創薬支援推進ユニットの整備により、各ユニットが保有する医薬品の研究開発に必要な人財・技術・知識を最大限に利活用し、AMED創薬戦略部指示の下、研究開発や情報発信事業の実施により創薬支援ネットワークの機能強化を図ることとした。

#### ■創薬支援推進ユニットの概要

ユニット名	代表機関	稼働時期	実施内容
① 【シーズ収集・評価、出口支援】 エコシステム	大阪商工会議所	平成29年10月	アカデミア発創薬シーズを創薬支援ネットワークに供給する。具体的には、DSANJ Bio conference 案件のうちユニットで評価されたテーマを年2回程度創薬支援ネットワーク支援テーマ候補として提案する。
② 【データ収集】 イノベーションエンジン	アクセリードドラッグ ディスカバリーパート ナーズ株式会社	平成29年10月	主にプロトコルが未策定の探索研究を中心に、データ取得及びプロトコル提案等を実施し、支援課題の再現性の確認、信頼性の高いデータセットの収集を行う。
③ 【CRO調整、データ収集】 プロモーター	株式会社LSI メディエンス	平成29年11月	創薬シーズの評価やデータパッケージの構築に必要な外部試験受託機関(CRO)を活用した非臨床データの取得等に係るCRO調整業務及びプロトコルが定まっている研究についてデータ取得を行う。
④ 【DISC化合物管理、HTS実施】 DISC	第一三共RD ノバーレ株式会社	平成30年4月	DISCライブラリー等の保管管理、HTSスクリーニング等を実施する。
⑤ 【新規モダリティ(遺伝子治療/ワクチン)】 イノベティブ創薬支援	国立大学法人東京大学 医科学研究所	平成29年10月	遺伝子治療用ベクター及び遺伝子組換えウイルスの製造基盤整備、次世代ワクチンの開発支援基盤整備、臨床試験用グレードの製造受託を行う。
⑥ 【バイオ製造】 バイオ製造支援	次世代バイオ医薬品 製造技術研究組合	平成29年10月	バイオ医薬品シーズ(創薬シーズタンパク質)の製造可能性に向けたプロセス開発等を実施する。
⑦ 【起業・VC導出支援】 スタートアップ	Beyond Next Ventures 株式会社	平成29年12月	創薬支援ネットワークの支援テーマ(創薬シーズ)の事業化に必要な経営者人材プールの構築、起業マインドを有するシーズ保有者と経営者人材のマッチングすることによる創業チーム組成、起業に向けた事業計画の立案や勉強会の提供等の創業を支援する。
⑧ 【情報発信等】 キャタリスト	国立大学法人東京大学 農学生命科学研究科	平成29年11月	創薬支援ネットワークをはじめとする医薬品創出プロジェクトについての情報発信拠点を整備する。

(第14回協議会資料を基に作成)

<sup>9</sup> 4-3章で記したCRO選定等を実施する外部機関(プロモータユニット)および、DISC化合物管理・HTSを実施するDISCユニット(4-1章)も創薬支援推進ユニットの構成ユニットとすることとした。

#### 4-5. DISC中分子ライブラリーの構築<sup>10</sup>

創薬分野では、新たな創薬ターゲットとして、タンパク質-タンパク質相互作用 (protein-protein interaction; PPI) が注目されている。PPI標的はタンパク質どうしの結合面が広いいため、モダリティとして、既にDISCで保有する低分子は適しているとは言えない。一方、抗体は細胞内の標的を狙うことができないなどのデメリットがある。そのため、中分子をモダリティとした創薬ニーズが高まっている(下表「モダリティの比較」参照)。

現状の次世代ライブラリー(創薬基盤推進研究事業より実施。令和元年度末で終了)は、大環状化合物をはじめとする中分子をモダリティとした創薬に十分に対応できていないことから、DISCに合成展開可能な中分子ライブラリーを構築し、PPIを含めた幅広い標的に対応可能とすることとした(第15回協議会)。

モダリティの比較

	低分子薬	中分子薬	抗体
分子量	<500	500-2000	150000
特異性	低い	高い	高い
細胞内標的	可能	可能	不可能
PPI阻害	不適	適している	適している
経口投与	可能	可能	不可能(注射)
化学合成	可能	可能	不可能

<sup>10</sup> DISC中分子ライブラリーの構築は令和元年6月の協議会で提案されたため、現時点では予算措置されるかは未定である。

## 創薬支援ネットワークの活動実績、今後の課題

### 活動実績

令和元年8月末現在、創薬支援ネットワークにおける、新薬創出に向けた研究開発支援等については、大学等の研究者からの医薬品開発に関する相談に応じるとともに、大学等への訪問や臨床研究中核病院等との連携構築等を通じて、相談・シーズ評価を1,445件(2020年までの達成目標は1,500件)実施した。また、「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業や「創薬支援推進事業」等の創薬支援ネットワークとも連携協力し、有望シーズへの創薬支援を134件(同200件)実施した。さらに、製薬企業等への導出を8件(同5件)行った。これまでに導出された支援テーマ(概要も含む)及び導出ルートを参考資料4に、これまでに支援した支援テーマの一覧(支援終了テーマも含む)を参考資料5にまとめた。

KPI【2020年までの達成目標】		令和元年8月までの累積達成状況
相談・シーズの評価	1,500件	1,445件
有望シーズへの創薬支援	200件	134件
企業への導出	5件	8件

### 支援課題の推移

支援課題の移り変わりを総合的に把握するため、AMEDが発足した平成27年から今までに支援した課題について、各年度末<sup>11)</sup>の総支援中課題数における各種モダリティ、対象疾患、支援ステージ割合の移り変わりを下図に示した。また、課題数等の詳細については参考資料10にまとめた。

支援課題が活用するモダリティについては、平成27年度では利用されていなかった遺伝子治療や細胞治療が近年では利用されてきており、モダリティの選択肢の幅は広がっている。一方で、多くの課題は低分子創薬を目指しており、その傾向は近年でもあまり変わらないか、むしろ増えつつある。支援課題の対象疾患については、平成27年から大きな変化はなく、新生物を対象とした課題が多く支援を受けている。また、感染症については、若干増加傾向にある。支援課題のステージについては、標的検証の割合が大幅に増加しており、最適化や前臨床の割合が減少してきている。

### 今後の課題

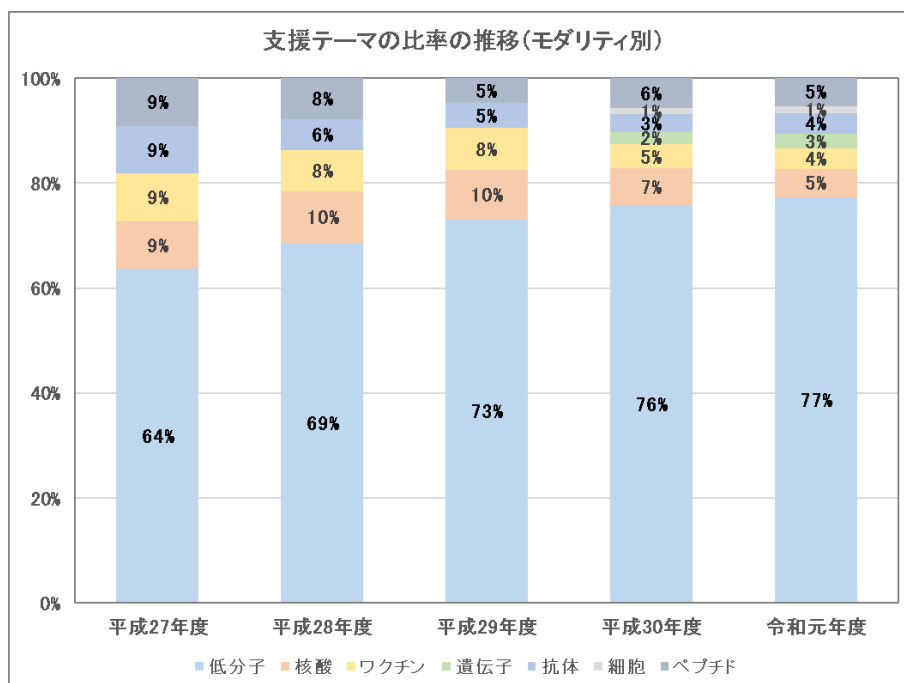
モダリティについて、支援課題においては低分子創薬が主流であるが、世界全体では、バイオ医薬品などの低分子医薬品以外の創薬が活発に行われている現状を考慮すると、創薬支援ネッ

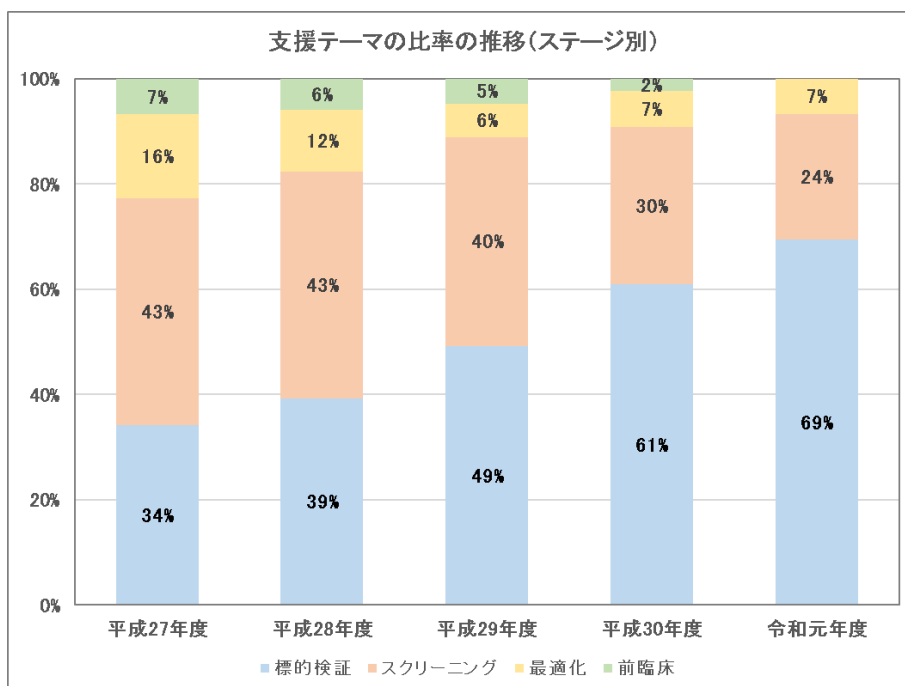
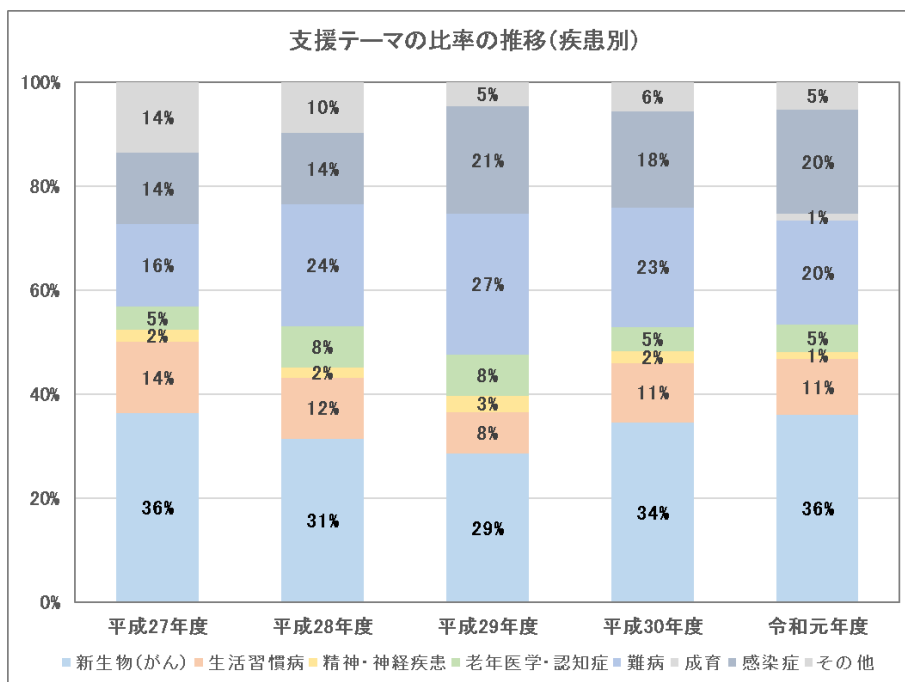
<sup>11)</sup> 令和元年度については6月末時点の支援課題について集計した。

トワークにおける多様なモダリティへの対応は今後も必要と思われる。一方で、第14回協議会において、バイオ医薬品の創薬研究にはコストが多くかかるので、戦略的な予算設計が必要との指摘があった。バイオ医薬品の支援においては、予算面を含めた適切な優先順位付けについて議論が必要であろう。

対象疾患については、感染症の支援課題数が若干増加傾向にあるが、感染症を事業の対象としている企業がそれほど多くないことから、産学の連携を密に行い、導出戦略の充実を図っていく必要があるだろう。また、第6回協議会では、難病や希少疾患など、一企業では研究開発が難しい疾患に対してAMEDが支援をすべきではないかという議論があったが、難病領域の支援課題数には大きな変化は見られていない。AMEDが支援すべき対象疾患についても議論を進める必要がある。

支援課題のステージに初期ステージの割合が増加していることについて、前臨床ステージ等の後期ステージでは、多くの資金が必要となるため、限られたリソースの中で多くの課題を支援するために標的検証など初期ステージの課題数が増加したためと思われる。産学が保有するデータ・技術を蓄積し、共有化を加速することで効率的な研究開発を推進するとともに、どのような課題を後期ステージまで支援していくのかなど、支援のあり方について、議論を深めていく必要があるだろう。





※平成 25～30 年度については3月末時点。令和元年度については6月末時点の実績を集計した。

## おわりに

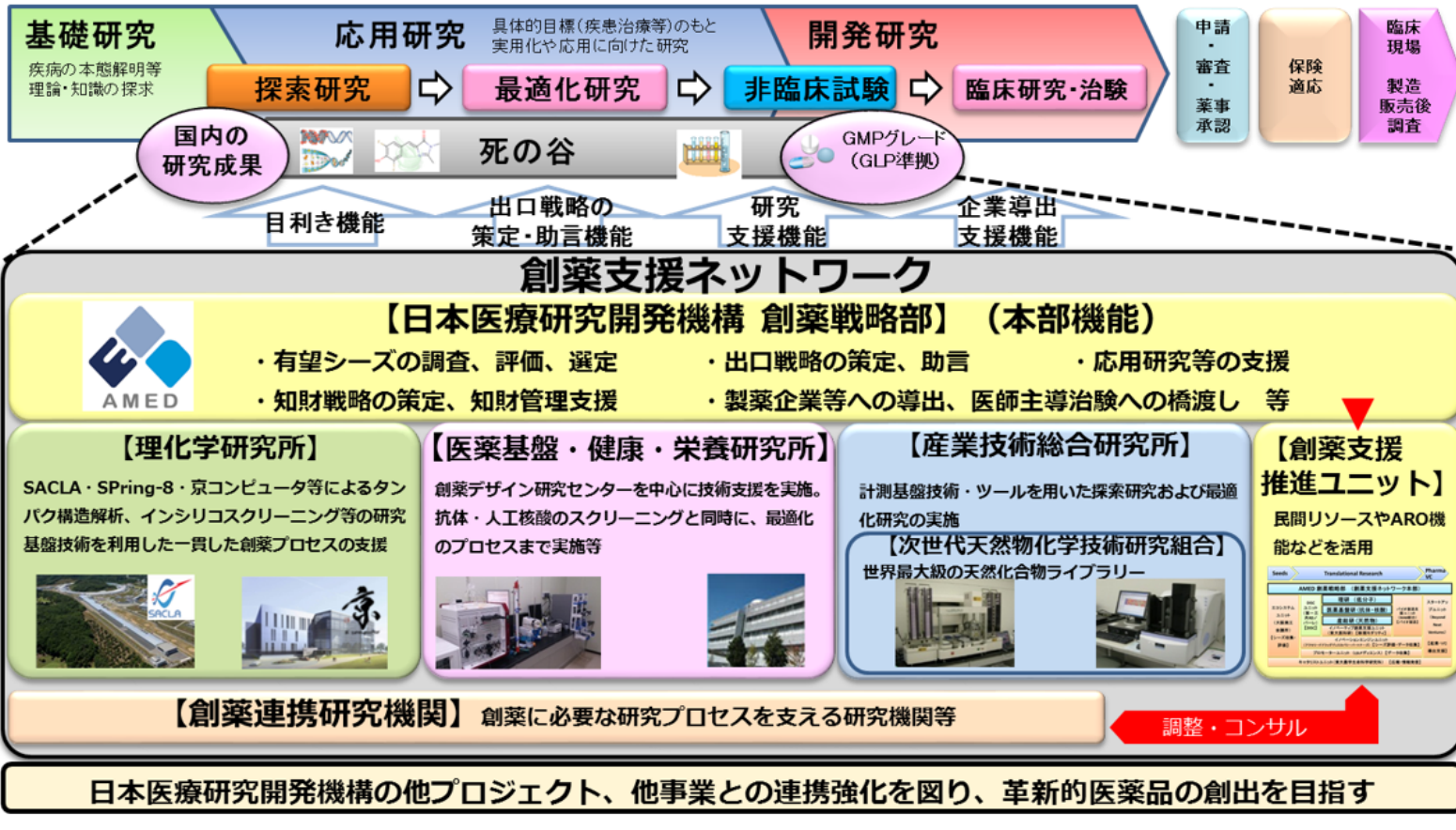
創薬の成功確率は数万分の一とも言われており、さらに、創薬標的の枯渇が研究者の共通認識とされているなか、製薬企業を中心とした従来型の新薬創出モデルだけで、日本における革新的新薬の創出を継続的に行うことは困難を極めるであろう。基礎研究を中心に優れた成果を創出してきたアカデミアが持つ創薬のシーズを、創薬支援ネットワークの支援を通して育成し、実用化を目指した企業導出へ橋渡しを行う本ネットワークの取組は、まさに、創薬の可能性を広げる新たな医薬品創出の方向性として、時代が求めた産官学連携を具現化したものである。また、創薬支援ネットワークの取組を通して、支援を受けた多くの研究者は、実用化に向けた具体的な創薬研究の考え方や取組を経験することで、これまで以上にゴールを見据え、創薬研究全体を俯瞰できる高度な視点をもって今後の創薬研究に邁進することが可能になるであろう。このことは、創薬支援ネットワークが、日本におけるアカデミア創薬の裾野を広げるとともに研究の底上げに寄与し、我が国全体として、高いレベルの創薬活動の推進に一定の成果をもたらしたと思われる。

自らの研究成果が世界の健康に貢献できることは、アカデミアを含む生命科学に携わる全ての研究者の希望である。創薬支援ネットワークの活動がさらに発展し、不断の努力によって創出されたアカデミアの優れた基礎研究の成果が、革新的な医薬品の創出を通して世界の健康に貢献することを期待する。

# 参 考 资 料

# 「創薬支援ネットワーク」の概要

「創薬支援ネットワーク」は、大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化に導くため、日本医療研究開発機構創薬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との連携により、革新的医薬品の創出に向けた研究開発等を支援する。





## 参考資料 2

### 創薬支援ネットワーク協議会の開催について

平成 25 年 4 月 17 日  
健康・医療戦略推進会議決定  
平成 25 年 7 月 19 日  
平成 26 年 10 月 27 日  
平成 27 年 5 月 15 日  
平成 27 年 7 月 14 日  
平成 27 年 9 月 28 日  
平成 29 年 3 月 31 日  
平成 29 年 7 月 11 日  
平成 30 年 5 月 23 日

一部改正

1. 国内の基礎研究から有望なものを選んで応用研究を実施し、企業による実用化につなげる「創薬支援ネットワーク」を関係府省・関係機関が連携して構築するため、創薬支援ネットワーク協議会(以下「協議会」という。)を開催する。
2. 協議会の構成は、別紙のとおりとする。ただし、議長は、必要があると認めるときは、関係者に出席を求めることができる。
3. 関係機関の事務の緊密な連絡を図り、協議会の円滑な運営に資するため、協議会の下に、関係府省、関係機関の職員及び有識者を構成員とする実務担当者会議を開催する。
4. 協議会の庶務は、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省の協力を得て、内閣官房 健康・医療戦略室において処理する。
5. その他、協議会の運営に関する事項その他必要な事項は、議長が定める。

創薬支援ネットワーク協議会 構成員

- 議長 内閣官房健康・医療戦略室長
- 内閣府日本医療研究開発機構・医療情報基盤担当室長
- 文部科学省研究振興局長
- 文部科学省大臣官房総括審議官
- 厚生労働省医政局長
- 厚生労働省 大臣官房 審議官（危機管理、科学技術・イノベーション、がん対策、国立高度専門医療研究センター担当）
- 経済産業省大臣官房商務・サービス審議官
- 経済産業省大臣官房審議官（産業技術環境局担当）
- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構理事長
- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構創薬戦略部長
- 国立研究開発法人理化学研究所理事（総括担当）
- 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所理事長
- 国立研究開発法人産業技術総合研究所理事・生命工学領域領域長
- 日本製薬工業協会会長