

第10回医薬品開発協議会	参考資料 2
令和5年11月20日	

当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ

医薬品開発協議会

令和3年3月29日

<b>I. はじめに</b> .....	3
<b>II. 本協議会で指摘された課題や現状認識</b> .....	5
1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み.....	5
2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制 .....	6
3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究.....	6
4. 人材育成 .....	6
5. 医薬品の研究開発に関する環境整備.....	7
<b>III. これまでの取組状況</b> .....	8
1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み.....	8
2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制 .....	9
3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究.....	10
4. 人材育成 .....	11
5. 医薬品の研究開発に関する環境整備.....	13
<b>IV. 今後の検討について</b> .....	13
1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み（非臨床等の実用化研究、早期の産学連携、知財等） .....	14
2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制 .....	15
3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究.....	15
4. 人材育成（データサイエンティスト、研究支援人材等） .....	15
5. 医薬品の研究開発に関する環境整備.....	16

## I. はじめに

健康・医療戦略推進法（平成二十六年法律第四十八号）第二条基本理念においては、「健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出は、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化により、世界最高水準の医療の提供に資するとともに、（中略）、我が国経済の成長に資するものとなることを旨として、行われなければならない。」と定められており、第2期健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定）（以下、「同戦略」という。）では、健康・医療をめぐる我が国の現状は、「健康・医療関連産業の状況を概観すると、我が国は、医薬品、医療機器ともに貿易収支は輸入超過であるものの、高い技術力を有している医薬品については、数少ない新薬創出国であり、大手新薬メーカーの中には海外売上高比率が50%を超えているところもあるなど、グローバルな企業活動が展開されている。（略）その一方で、欧米企業が、自前主義からオープン・イノベーションへと転換し、ベンチャー企業発の革新的な医薬品や医療機器を事業化する中、我が国では、ライフ系ベンチャー企業が十分に育っていない状況にある。」との認識を示されている。

同戦略では、再編されたモダリティ等を軸とした統合プロジェクトとの一つとして、医薬品プロジェクト（以下、「医薬品PJ」という。）を設定しており、医薬品PJの実施内容を「医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。（科技、文、◎厚、経）」としている。

また、施策を推進するため、推進本部の下に、研究開発、新産業創出等の各論に係る協議会を設置し、その検討内容に応じた産学官の幅広い関係者の参画を得て、関連施策のフォローアップや検討を行うこと、とりわけ研究開発に関しては、統合プロジェクトを踏まえた協議会を設置し、推進する重点領域や、人材、データ利活用等の環境の整備も含めて検討を行うこととされている。

以上より、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画を踏まえ、医薬品の実用化の推進のための取組を関係府省・関係機関が連携して進めるため、医薬品開発協議会（令和2年7月29日健康・医療戦略推進会議決定）（以下、「本協議会」という。）が設置された。本協議会は、医薬品に係る基礎から実用化まで一貫した研究開発等を対象とし、世界でも有数の創薬国の地位を維持・向上させるため、国内の創薬環境を整備することを目的として、以下の内容を主な議題とし、必要な協議を行うこととする。

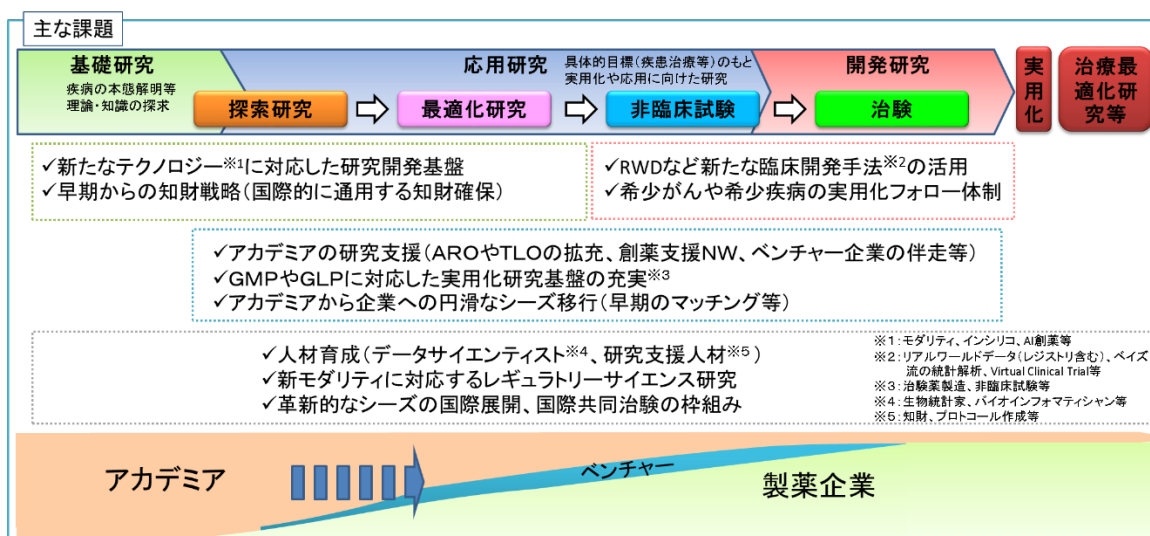
1. 医薬品プロジェクトの進捗を確認するとともに、同プロジェクトにおける重点領域を検討
2. 官民対話等で産業側から提案されたものも含め、医薬品開発における各種課題の抽出、及びその解決に向けた検討

なお、第1期健康・医療戦略期間中は、本協議会の前身となる創薬支援ネットワーク協議会（以下、「NW協議会」という。）が、平成25年5月から令和元年9月までの7年間に計16回開催され、国内の基礎研究を企業による実用化につなげることを目的とした「創薬支援ネットワーク」（以下、「同NW」という。）を関係府省・関係機関が連携して構築するため、同NWの活動現状を定期的に把握するとともに、アカデミアシーズの実用化に向けて求められる取組等についての検討が行われた。

一方で、日本医療研究開発機構（以下、「AMED」という。）は同ネットワークに限らず、様々な創薬に関する事業を支援しており、また、医薬品の実用化においては同NWのスコープである標的検証～前臨床以外にも、臨床研究やレギュラトリーサイエンス、産業連携など幅広い領域における取組や連携が必要となることから、本協議会では、同NW及びNW協議会で得られた知見・経験を活かしつつ、医薬品開発全般に関して検討できる体制を構築すること、メンバーは創薬に関する幅広い取り組みを議論するために、アカデミア・産業界・医薬品医療機器総合機構（以下、「PMDA」という。）等から選出することとし、医薬品PJの重点領域、AMED事業のフォローアップ、産業界との連携、環境整備（規制、人材、データ利活用等）等を検討することとした。

## II. 本協議会で指摘された課題や現状認識

本協議会では、医薬品の研究開発全般における現状や課題を抽出するため、第1回（令和2年10月23日開催）から第3回（令和3年3月29日）を開催するとともに、有識者のヒアリング、委託調査を実施した。協議会においては、創薬研究に係るアカデミア側から見た課題や実用化を担う産業界側からの課題に加えて、新規モダリティやデータサイエンス、レギュラトリーサイエンス等、様々な立場や観点から、現状認識や課題への指摘があった。主な指摘事項は、大きく5つに分類し下記1～5に示す。



1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み（非臨床等の実用化研究、早期の産学連携、知財等）
2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制
3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究
4. 人材育成（データサイエンティスト※<sup>4</sup>、研究支援人材※<sup>5</sup>等）
5. 医薬品の研究開発に関する環境整備

### 1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

これまで多くの支援が実施され、基礎研究と応用研究の間のいわゆる「死の谷」も浅くなってきているものの、依然として「死の谷」は存在しており、その対象フェーズが非臨床試験や安全性試験、製造（特に新規モダリティ）に移ってきているとの指摘もなされている。加えて、官民ともにアカデミア発シーズの臨床試験への研究費拠出が少ないことや、アカデミアと企業のシーズに関する考え方に未だギャップがあること等も指摘されている。

また、アカデミア発シーズに対しては、「アカデミア側も論文重視から知財への目配

りへ意識と評価を変えることが重要」、「データ収集について、チャンピオンデータ優先ではなく、再現性・信頼性の確保」、「GxP 準拠を重視」、「アカデミア内において知財出願や管理をサポートする体制が不可欠」、「国際的な視点を踏まえた知財管理、データ取得等の体制の整備と質の向上が必要」との指摘がされている。

## 2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

創薬基盤の技術として、新規モダリティ、ゲノムを活用した創薬、リアルワールドデータ（以下、「RWD」という。）の活用、ベイズ流の統計手法、Virtual Clinical Trial、AI 創薬など、世界的にも非常に競争の激しい新規の技術や開発手法が登場している。これらの新たなテクノロジーや開発手法を活用するためには、従来の化学系・生物系の研究者や企業のみではなく情報工学などを含めた学際的な研究チームや新規モダリティに対応可能な製造体制等の検討が必要となってくる。

## 3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

1970 年代の米国では、バイオ医薬品の新興に際して、企業と規制当局が連携して研究を深めいち早く規制等のデファクトスタンダードを構築したことが、企業における開発促進や関連産業の育成につながっているとの指摘がある。現在、核酸医薬や高度な合成技術で加工した抗体医薬など新しいモダリティが登場している中で、日本においてもレギュラトリーサイエンス研究によりこれらの技術に対応することが喫緊の課題である。そのため、レギュラトリーサイエンス研究を促進し、革新的技術に対する評価技術の開発や標準化の検討が重要であると指摘されている。また、新たなテクノロジーや開発手法について、いち早く規制当局が対応の考え方や方向性を示すことの重要性が指摘されていることに加え、まずは、各分野の専門家と PMDA 等で、テクノロジーや手法的特徴、利用に際しての注意点などを共に検討する機会を設ける必要性も指摘された。

## 4. 人材育成

開発環境の変化に伴い、ビッグデータ等の取扱機会が増えたことにより、データサイエンティストの需要が急増しており、人材の育成や確保については、産学官で課題となっている。生物統計家やバイオインフォマティクシアンについても、種々の取組にもかかわらず依然として不足している。

さらに、研究支援人材（医薬品に関する知財の専門家、毒性の専門家、臨床試験プロトコール作成等）や、新規モダリティの研究・製造に関する人材等を含め、ヘルスケアイノベーション全体のエコシステムの様々なパーツを担う人材を育成・確保し、人材交流を促進することも大きな課題である。

## 5. 医薬品の研究開発に関する環境整備

最近の有望な抗がん剤の開発主体である米国のベンチャー企業等が、日本では開発、製造販売を行わないという新たなドラッグギャップ<sup>1</sup>が起きている。外資企業が日本でも臨床試験を実施し、開発を進めたくなるような環境整備が必要である。

また、国際展開や国際共同治験を促進するため、日本を基点とするような国際共同治験を実施できる枠組みを構築すべきではないか、また、ベンチャー支援の更なる充実やベンチャーキャピタルの創薬支援マインドの醸成も必要ではないかといった課題も指摘されている。

その他、健康・医療データ利活用基盤協議会における検討内容ではあるが、医療情報の活用等においては、医療情報とゲノム情報がマッチングできれば、日本でも先端手法の研究開発が可能となるため、電子カルテ内の臨床情報（特に非構造化情報<sup>2</sup>）が共通基盤、医療情報として使えるような環境整備が必要ではないか、医療情報については構築時からユーザー目線での開発や整備、情報入力のコントロールが必要という指摘がされている。

---

<sup>1</sup> 日本では開発、製造販売を行わない状態。ドラッグラグとは、特定の医薬品の日本への導入が欧米諸国等に比べ遅れている状態（いずれは日本に導入される）を示し、ドラッグギャップとは、特定の医薬品が結果として日本に導入されない状態を示す。

<sup>2</sup> ここでは、電子カルテの備考欄や事由入力欄など自由に入力した文書等のデータを言う。

### Ⅲ. これまでの取組状況

「Ⅱ. 本協議会で指摘された課題や現状認識」で示した内容について、第2回協議会で提示されたものをはじめ、関係各省や関係機関において、既にこれまで多くの取組が実施されてきた。その主な取組を以下に示す。

#### 1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

文部科学省においては、平成19年度から全国の大学等に整備してきた橋渡し研究支援拠点において、規制・特許・産学連携等で、基礎研究段階から臨床試験段階までの一貫した支援機能をもつ拠点として基盤を整備してきた。また、医療分野研究成果展開事業産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M）においては、大学等と企業（ベンチャー企業も含む）が連携して医療分野の技術課題を解決し、大学等の研究成果の実用化を加速することにより、医療分野における革新的なイノベーションを創出することで、オープンイノベーションによる革新的な新薬の研究開発を支援してきた。ACT-Mによる支援では、アカデミア発の技術シーズを企業に円滑かつ効率的に移転するため、大学等と企業による研究チームを支援し、提案時に役割分担の明確化及び相応の企業リソース（資金及びインカインド）の提供を求め、その内容を審査することで実効性の高い産学連携を実現してきたことで、平成27年度～令和元年度採択課題においては、医薬品23課題平均で194百万円／課題の企業資金が拠出される計画であり、プログラム全体で93件（うち医薬品52件）が特許申請・登録等に至っている。こういったACT-Mの強みである産学連携の仕組みを橋渡し研究事業に応用する形で、より多くの基礎研究の成果が実用化されるよう検討を進める。

厚生労働省の主な取組として、創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）や創薬基盤推進研究事業（GAPFREE）等の革新的シーズの実用化に対する取組と、ベンチャータータルサポート事業（MEDISO）の拡充や医療技術実用化総合促進事業等のベンチャー支援の取組が挙げられる。創薬支援ネットワークは、大学や国立高度医療研究センター等の優れた基礎研究の成果を実用化に導くため、日本医療研究開発機構創薬事業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取組である。令和2年度は、3件の企業導出に至った。GAPFREEは、革新的新薬の開発に向けて、アカデミア・企業からなるコンソーシアムを構築し、参画企業も研究費を算出の上で、産学それぞれの強みを活かした共同研究を推進するスキームである。令和2年度から、複数の企業が関心をもつ疾患領域を特定して、複数のアカデミアと複数の製薬企業からなるコンソーシアムを構築したうえで、質の高い臨床情報が付随した臨床検体を活用した産学官連携による創薬研究を進めている。また、医療系ベンチャー振興のための取組については、2016年の「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会」報告書の通り、エコシステムを醸成する制度づくり、エコシステムを構成する人材育成と交



流の場づくり、「オール厚労省」でのベンチャー支援体制の構築の3本の柱で取組が進められている。これを踏まえ、2018年2月にMEDISOを立ち上げ、知財管理、薬事申請、経営管理、海外展開等、医療系ベンチャーが実用化に至る各段階で抱える課題への相談対応や、事業戦略の策定、人材交流、VC等投資家とのマッチング機会の提供等による各種支援を行うなどの取組を実施している。MEDISOによるサポートによる成果として、ベンチャー企業と製薬企業の共同事業化契約締結につながった事例や、ベンチャー企業の各種受賞と資金調達に成功した事例などが出始めている。2020年10月からは、事前準備が不要な無料飛び込み相談窓口である「MEDISO Open Hours」を開設し、より気軽に相談可能な体制を整備するとともに、本相談も含め全国各地からオンラインで面談可能な体制となっている。また、「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット」を2017年から開催し、医療系ベンチャーが事業・開発のパートナーとのマッチングを行うための機会を提供している。このサミットには臨床研究中核病院も出展し、ベンチャー企業への支援策について情報提供している。医療技術実用化総合促進事業では、臨床研究中核病院にベンチャー支援部門を設置し、ベンチャー企業に対する研究開発の支援や共同研究を実施している。さらに、ベンチャー支援に関する取組については、経済産業省のHealthcare Innovation Hub(InnoHub)とも連携し資金調達面のアドバイス等のサポートも実施している。

## 2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

文部科学省においては、先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業では、アカデミアの優れた技術シーズを用いて遺伝子導入技術、遺伝子発現制御技術、バイオ医薬品の高機能化や、創薬周辺基盤技術を開発するとともに、それら要素技術の組合せ、最適化によるバイオ医薬品等に関する強固な技術基盤を形成し、企業導出を目指しており、令和元年度以降で2件の企業導出に成功している。今後については、バイオ医薬品やその周辺技術の高度化に係る要素技術を対象とした研究開発及び導出の支援を着実に実施するとともに、今般のCOVID-19感染拡大を受け、新たな対象モダリティとして「ワクチンの基盤技術開発」を加え、感染症を含む様々な疾患に対するワクチンの基盤技術開発を推進する。

次世代がん医療創生研究事業では、がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を加速し、画期的な治療法や診断法の実用化に向けた研究を推進している。平成28年度から令和元年度までに企業に9件、厚生労働省の革新的がん医療実用化事業に13件の導出に成功している。今後については、がん研究10か年戦略の中間評価及び本事業の中間評価を踏まえ、将来的なシーズの枯渇を防ぐために有望なシーズを見だし、製薬企業や次の研究開発段階等へ早期に導出する切れ目のない支援を引き続き実施していく。

厚生労働省では、クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)において、レ

ジストリ等の RWD の利活用促進に向けた取り組みを行っている。具体的には、1. レジストリ構築・活用、2. 治験ネットワーク構築・国際展開、3. レギュラトリーサイエンスを柱として、これまで 20 疾患群のレジストリ構築や企業ニーズとのマッチングによる 4 レジストリの改修、23 件のレジストリを活用した臨床研究等の実施、製造販売後調査や承認申請にレジストリデータを活用するためのガイドラインの整備等を実施してきた。

経済産業省では、次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業において、患者層別化マーカーの探索技術開発、抗体等のバイオ医薬品の製造・創薬技術開発、中分子創薬技術開発等に取り組んでいる。層別化マーカーにおいてはゲノム解析以外のバイオマーカー探索技術の開発を令和 5 年度まで継続して支援する。バイオ医薬品の製造においては、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（MAB）を中心に国産の連続生産技術を開発し、従来のバッチ生産に比べて 2 倍の抗体生産性を達成する等の成果を上げており、そういった実証データは PMDA が作成中のバイオ連続生産向けホワイトペーパーの参考としても活用される予定である。また、新規モダリティの一つとして注目されている中分子化合物においても、化学合成では困難な天然化合物の誘導体生産技術の開発や、分子シミュレーションシステムを用いた構造多型の影響を考慮した細胞膜透過予測手法の開発などの成果を上げている。

世界では創薬分野で新モダリティの開発が活発化しており、将来市場の牽引役になると予想しているため、令和元年度から開始している「患者層別化マーカー探索技術の開発」に加えて、令和 3 年度からは「RNA 標的医薬品」、「次世代抗体医薬品」、「マイクロバイーム」の研究開発を新たに支援する。RNA 標的医薬品については、品質分析技術や立体構造解析技術等、個社での対応が難しい基盤技術を確立し、RNA を標的とした我が国発の医薬品が幅広く実用化される環境の構築を目指す。次世代抗体医薬品については、抗体薬物複合体（ADC）や放射性同位体を利用した抗体（RI 抗体）等の研究が活発に行われており、我が国発の医薬品の創出及び幅広く実用化するための環境構築を図る。マイクロバイームについては、高効率なスクリーニング技術、再現性のあるマイクロバイーム制御技術や安定製造技術の確立等により、マイクロバイームの制御による治療が可能となる環境構築を目指す。

### 3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

厚生労働省の医薬品等規制調和・評価研究事業では、革新的な技術に対する評価技術の開発や標準化に関する研究に取り組んでいる。品質・有効性・安全性の予測・評価・判断に関するレギュラトリーサイエンス研究を実施することで、リスクベネフィットの適正な評価や研究開発の効率化、品質・有効性・安全性の向上等に成果が活用されている。令和 3 年度においては、核酸医薬品や中分子医薬品などの新規モダリティ医薬品の評価手法を開発し、審査指針の根拠となる科学データをまとめること、ヒト iPS 細胞等

を用いた毒性評価手法の開発とバリデーションを経て国際標準化等を実施する。

さらに、PMDA においては、革新的医薬品等の日本における開発時の相談から承認審査、安全対策まで一貫した予測、評価及び判断の科学的根拠に基づく支援に資するため、平成 30 年 4 月 1 日にレギュラトリーサイエンスセンターを設置し、レギュラトリーサイエンス<sup>3</sup>を推進している所である。また、革新的な医薬品等の実用化に応用される可能性のある技術項目について、レギュラトリーサイエンスに基づき、

- ①登場しつつある革新的技術についての網羅的調査
- ②当該技術が規制に及ぼす影響の評価
- ③技術的な課題の整理が必要な技術の選定

を行うことにより、革新的技術に対するガイダンスの作成等の適切な規制等の構築を目指すものとして、ホライゾン・スキャニング<sup>4</sup>に取り組んでいる。また、今後の医療イノベーションの推進も踏まえ、レギュラトリーサイエンスの積極的推進とともに、アカデミアや医療現場との連携・コミュニケーションを強化し、先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図ることを目的とし、医薬品審査等業務の科学的側面に関する事項を審議する機関として、科学委員会を設置し、第 5 期ではマイクロバイーム研究に基づいた細菌製剤の現状と課題等をテーマとしている。

RWD の活用については、PMDA において、2020 年 12 月末現在 530 万人超の規模の品質管理された医療情報データベースである MID-NET<sup>®</sup>を管理・運営しており、薬機法の基準に基づいた高い信頼性が確保された状態で、病名、処方等に加え、318 項目の検体検査情報の結果値が利用可能となっている。G-CSF 製剤における血小板減少リスクなど、MID-NET<sup>®</sup>の調査結果を主たる根拠として添付文書へ医薬品の安全性に関する情報を記載した事例も出てきている。RWD の更なる活用推進に向けて、レジストリデータを承認申請等に活用するための留意事項のガイダンスについて、令和 3 年 3 月 23 日に発出した。

#### 4. 人材育成

文部科学省では、データサイエンティスト等の人材育成について、学生から社会人、リテラシーレベルからエキスパートまで、関連事業を通じ、幅広く体系的な形で推進している。例えば、健康・医療分野における取組としては、「医療データ人材育成拠点形成事業」において、医療現場から大規模に収集される多様なデータの利活用を推進し、質の高い医療を実現するため、医療データの活用基盤を構築・運営する人材や医療データを利活用できる人材を育成している。また、全ての分野を対象とした事業ではあるが、

<sup>3</sup> レギュラトリーサイエンス(RS): 科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価及び判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。Kondo T et al. Clin Pharmacol Ther 101: 136-139, 2020 (doi:10.1002/cpt.1604)

<sup>4</sup> PMDA のホライゾン・スキャニングに関する取り組み Clinical Pharmacology & Therapeutics 誌 (DOI: 10.1002/cpt.1986)

「数理・データサイエンス・AI 教育の全国展開の推進」「超スマート社会の実現に向けたデータサイエンティスト育成事業」「データ関連人材育成プログラム (D-DRIVE)」においても、健康・医療分野関連の人材育成に資する取り組みが実施されているところである。令和3年度においては、上記に加え、新たに「統計エキスパート人材育成プロジェクト」において、高度な統計学のスキルを有する統計エキスパート人材の育成等を実施する予定である。

さらに、育成後のポストや待遇が課題といった指摘を踏まえ、「精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト」等の大型のチーム型研究の公募時に、研究体制にデータサイエンティストを適切に組み入れることを要件化するといった措置を実施するなど、人材の「受け皿」に焦点を当てた検討を新たに開始したところ。これにより、データサイエンティストが一定の安定性が確保された中で、研究に従事できるほか、健康・医療分野の研究者がデータサイエンティストとともに成果を上げることを促すこととしている。

厚生労働省では、臨床研究・治験推進研究事業（製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基とし、産学官が一体となった環境整備事業）において、生物統計家の育成支援に取り組んでいる。生物統計に係る修士号を付与できる大学院から東京大学と京都大学を育成拠点として選定し、座学に加えて病院のOJTカリキュラム追加を必須とし、また就職先候補も兼ねたインターンシップ機関とも連携している。令和2年3月には第1期生20名が修了し、実務家としての生物統計家を臨床現場に送り出した。令和3年度以降は、卒後教育を加えた一貫した育成プログラムを実施することで、生物統計家育成の推進を図る。また、アカデミアや治験実施医療機関等において、研究や治験実施に必要な人材の長期的雇用や評価に基づくポストや収入を可能とする仕組みについては、令和2年4月からの臨床研究中核病院の承認要件の中で、臨床研究の実施支援者として、専従24人（臨床研究コーディネーター(GRC)/モニター/プロジェクトマネージャー（スタディーマネージャー）/治験・臨床研究調整業務担当者/研究倫理相談員/臨床検査技術・品質管理者/研究監査担当者/メディカルライター）、データマネージャー専従3人、生物統計家専任2人（常勤換算でエフォート合計2人）、薬事承認審査機関経験者専従1人といった人員要件を定めている。また、新規モダリティに対応可能な製造体制等を支える人材の支援として、「バイオ医薬品開発促進事業」において、バイオ医薬品の製造技術、開発ノウハウ等に関する研修プログラムによる人材育成を行っている。

経済産業省においては、産業構造審議会バイオ小委員会で人材育成に関する議論が行われ、①バイオインフォマティクスについては、大学院生や企業の若手研究者等をトップクラスの人材に育成することを目的として、講座・プログラムを新設することとした。また、②バイオ生産担い手人材の育成に向けた取組については、BCRET<sup>5</sup>等の既存の枠組みや、国プロの既存実証設備等を最大限活用しつつ、学生や社会人を対象に生産の

---

<sup>5</sup> 一般社団法人バイオロジクス研究・トレーニングセンター

オペレーターや品質保証・規制等に精通した人材を育成することとした。

#### 5. 医薬品の研究開発に関する環境整備

文部科学省の創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）では、我が国の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるため、創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術等を共用する先端研究基盤を整備・強化し、大学・研究機関等による創薬標的探索研究や作用機序解明に向けた機能解析研究等を支援してきた。新型コロナウイルス感染症対策においても、SARS-CoV-2 のメインプロテアーゼの構造をベースにした既存薬ライブラリーのインシリコスクリーニングを実施し、既存薬データベースの約 8,000 化合物から 118 のヒット化合物を同定、ウェットラボ（国立感染症研究所）における抗ウイルス活性評価を実施することで、ヒット化合物の中からネルフィナビルの有効性を確認する等、これまで多数の成果をあげている。一方、構造解析に不可欠の研究基盤となっているクライオ電子顕微鏡は、創薬研究にも活用され産業界からの要望も多いが、整備状況については諸外国に劣後しており、待ち時間短縮のためにも台数を強化してきた。しかしながら、事前の測定調整等の予備検討に多大な作業時間及びマシンタイムを要すること、現 BINDS ではマシンタイムの確保等の課題により、企業による利用が少ないことが課題として指摘されている。今後、更なる効率的な運用のためにも、「自動化・遠隔化の技術開発」による「質」の向上及び「官民協働」という新たなアプローチを含めた「量」の増加の両輪で進める。

企業が開発に乗り出しにくい希少疾患・難病分野への支援の強化については、厚生労働省の希少疾病用医薬品の指定制度に加え、希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業において、希少疾患用医薬品指定を目指す品目の開発企業を対象とした支援を実施してきた。令和 2 年度までに支援課題 2 件が希少疾病用医薬品として指定された。

日本を起点とするような国際共同治験を実施する枠組みの構築に関しては、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」（令和元年 6 月 20 日健康・医療戦略推進本部決定）においても、アジア諸国における国際的な技術水準を確保する治験実施拠点整備の必要性について言及されてきた。また、今般の COVID-19 拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな臨床研究・治験実施体制構築の必要性が改めて明らかになった。アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業（臨床研究・治験推進研究事業）では、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を進めているところであり、整備した基盤の継続性の確保及び更なる拠点の整備を推進し、日本主導の国際共同臨床研究・治験の強化、治療薬等の開発・共有の加速に繋げたい。

#### IV. 今後の検討について

本協議会では、医薬品の研究開発における基礎研究から実用化まで多岐にわたる課

題がⅡ、で示された。今後の議論はその5つに分類し、当面の重点的な支援が望ましい事業分野の検討を行い、関係府省・関係機関が連携して課題解決に取り組むことで、本協議会の目的である「健康・医療戦略等を踏まえた医薬品の実用化」を実現し、もって世界最高水準の医療の提供とともに、医薬品産業を日本の経済成長に資するような産業にしていくことに繋げていく。

#### 1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み（非臨床等の実用化研究、早期の産学連携、知財等）

- ・ 企業と連携を図り、出口を見据えて開発のロードマップを共有し、マイルストーンを決め、産学で研究開発を実施するという観点から、橋渡し研究事業に ACT-M の仕組みを応用し、より多くの基礎研究の成果が実用化されるよう検討を進めることとしてはどうか。
- ・ 創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）の取組を継続するとともに、創薬ブラスターの支援課題をより導出に近づけるための産学連携の取組を推進してはどうか。
- ・ AMED や MEDISO 等の枠組みにおいて、アカデミアやベンチャー企業の個別シーズに企業のスペシャリストがアドバイスや伴走を行う仕組みが構築されており、これらの枠組みを充実拡張してはどうか。
- ・ アカデミア発シーズの知財マネジメントについては、関係府省・関係機関が連携し現状把握や課題解決の検討を進めてはどうか。
- ・ 新規モダリティの製造体制、シーズの最適化、及び非臨床試験の実施など、財政面を含めた支援が必要ではないか。
- ・ AMED 等の公的資金については、利用期間や支給費用の上限等により、医師主導治験等の医薬品開発の実施に限界がある。医薬品開発の枠組みを広げるために、GAPFREE を含め企業原資との組み合わせ等により、よりフレキシブルに資金を活用出来るようなスキームを検討してはどうか。
- ・ MEDISO や InnoHub については、利用者からは良い取組であるとの声がある。更なる周知で、これまで以上に医療系ベンチャーの育成につながるのではないか。
- ・ アカデミアと企業の開発に向けた価値判断やギャップを埋めるために、一対一の個別の相談のみならず、課題について研究者と企業、PMDA が議論する場について検討してはどうか。
- ・ アジア国際共同臨床試験・治験ネットワーク等の研究開発基盤や日本がリードする国際共同試験について、企業の積極的な参画を促すことやそのための仕組みを検討するべきではないか。
- ・ 大学発ベンチャーを含め、医療系ベンチャーに対する規制や知財等の支援について、製薬大手企業のノウハウに基づく協力や、専門性の高いファンドの導入や国内での

枠組み作りについて海外の事例を踏まえつつ、検討を進めてはどうか。

## 2. 新たなテクノロジー<sup>6</sup>や開発手法<sup>7</sup>を活用した研究の推進体制

- ・ 創薬基盤の技術として、新規モダリティ、RWD、ゲノム等を活用した創薬、新規の開発手法など、世界的にも非常に競争の激しい新規の技術が登場している。革新的医薬品創出のためには、化学、生物系分野のみならず、情報分野を含めた学際的な研究チームの編成に向けた取組を検討すべき。
- ・ バイオ技術の振興に当たって、MAB や BCRET のような製造技術開発やその人材育成を支援する継続的な取組が必要である。新規モダリティの研究開発段階での製造面をサポートする体制の整備を検討してはどうか。
- ・ RWD については、GIN によるレジストリの構築や利用に向けた基盤整備、MID-NET の安全対策への活用などが進んでいるが、引き続きデータ基盤の構築及びデジタルヘルステクノロジーを活用していく手法の開発や課題について検討を進めると共に、市販後調査等を含め企業資金（利用料等）を活用したデータ利活用の体制を作ることが必要である。RWD については、更なる活用が期待されるところであり、国民の理解を得つつ、希少疾患等を含めた申請パッケージへの実装を推進してはどうか。
- ・ モダリティやテクノロジーのみならず、臨床試験の新たな解析手法等についても、その実装に向けた支援が必要である。

## 3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

- ・ 核酸医薬・ペプチド医薬（中分子）等の非臨床評価のあり方や実施に向けた基盤整備については、産官学で議論を進めるネットワークの形成が必要である。
- ・ 新たなモダリティ（マイクロバイオーム、エクソソーム、放射性医薬品等の萌芽期のモダリティを含む）やテクノロジーについて、世界に先駆けていち早く規制当局が対応の考え方や方向性を示すことが重要であり、PMDA の科学委員会等の取組を引き続き推進すると共に、早期に該当分野の専門家と PMDA が検討できるような枠組みを検討してはどうか。
- ・ 開発着手時の予見性の低さを解消できるように、より早い開発段階の各種事例に基づく一般ルール化への検討について、PMDA の検討体制の充実等の支援が必要ではないか。

## 4. 人材育成（データサイエンティスト<sup>8</sup>、研究支援人材<sup>9</sup>等）

- ・ これまでの取組にもかかわらず、生物統計家は依然として不足していることに加え、

---

<sup>6</sup> モダリティ、インシリコ、AI 創薬等

<sup>7</sup> リアルワールドデータ(レジストリ含む)、ベイズ流の統計解析、Virtual Clinical Trial 等

<sup>8</sup> 生物統計家、バイオインフォマティシャン等

<sup>9</sup> 知財、プロトコール作成等

データサイエンティストやバイオンフォマティション等のニーズの急増も含めて対応する必要がある。

- ・ 人材については長期的な取組として、育成、確保、評価等の側面での指摘があり、育成については、定量的な目標を立てることを含め、臨床研究・治験推進研究事業（生物統計家育成支援事業）等の様々な取組を継続することが必要である。
- ・ 人材育成については、単なる育成のみならず、安定的な雇用や適切な処遇を可能とする仕組みを検討し、育成された人材が専門性と高いモチベーションを維持して業務を継続できる体制を支援する必要がある。
- ・ 生物統計家やバイオンフォマティションの育成について、アカデミアに十分な人材を配置することが重要であるが、企業での業務経験も育成に当たって有効ではないか。さらに、臨床研究中核病院やPMDAにも生物統計家等の人材を充実させることも重要ではないか。
- ・ 国内におけるバイオ医薬品の製造基盤はいまだ十分と言える状況にないことから、バイオ医薬品の製造技術、開発ノウハウ等に関する研修プログラムによる人材育成についても拡充する必要がある。
- ・ アカデミアにおける人材評価や業績評価について、ファーストオーサーの論文数に偏る傾向があるが、臨床研究を支援する人については、論文化に長い期間が必要となることやコオーサーに位置づけられることが多いこと等を踏まえ、業務に即した評価のあり方について、まずはアカデミアにおいて議論を行い、考え方を示していくことが重要ではないか。また、好事例の共有に取り組んではどうか。

#### 5. 医薬品の研究開発に関する環境整備

- ・ 「Ⅱ. 本協議会で指摘された課題や現状認識」で示したように、海外ベンチャー企業等が日本でも臨床試験を進めたいとなるような環境整備が必要との指摘があるが、新たなテクノロジーや開発手法を活用した臨床試験が実施しやすくなる環境整備やインセンティブ等を検討してはどうか。
- ・ 新型コロナウイルス感染症の治療薬・ワクチン等においても国際的な開発の実施に関する課題が指摘されているが、日本を基点とするような国際共同治験の枠組み等の臨床試験を実施できる仕組みを構築できるよう、アジア地域の臨床試験の環境整備、拠点施設等を含めた国際人材の育成、国際的な規制調和に引き続き取り組むこととしてはどうか。
- ・ 革新的シーズの実用化の支援に際しては、AMED、PMDA や MEDISO 等を含めた各種のサポート体制に加えて、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院など、自ら実用化を進める能力と他を支援する能力を併せ持った拠点についても、引き続き支援拡充を図る必要がある。
- ・ 希少疾患や難病分野等医療ニーズが高いものの、採算が見込めず、企業の開発が進



まない分野について、引き続き公的な支援を進めると共に、RWD 等の積極的な活用により開発を推進する必要がある。

- ・ 民間資金の投入や、産業界の人材のアカデミアへの参画を促す仕組みについて、海外の好事例におけるインセンティブ等、仕組みの背景について調査した上で、日本においてどのような取組が可能かを検討すべきではないか。

以上