

医薬品の研究開発における 課題認識

令和2年12月23日

内閣官房健康・医療戦略室
厚生労働省医政局研究開発振興課

医薬品の研究開発における課題や当面優先して議論する項目(イメージ)

構成員への事前ヒアリングを基に事務局にて作成

主な課題

基礎研究

疾病の本態解明等
理論・知識の探求

応用研究

具体的目標(疾患治療等)のもと
実用化や応用に向けた研究

開発研究

実用化

探索研究

最適化研究

非臨床試験

臨床研究・治験

- ✓ 新たなテクノロジー※1に対応した研究開発基盤
- ✓ 早期からの知財戦略(国際的に通用する知財確保)

- ✓ RWDなど新たな臨床開発手法※2の活用
- ✓ 希少がんや希少疾病の実用化フォロー体制

- ✓ アカデミアの研究支援(AROやTLOの拡充、創薬支援NW、ベンチャー企業の伴走等)
- ✓ GMPやGLPに対応した実用化研究基盤の充実※3
- ✓ アカデミアから企業への円滑なシーズ移行(早期のマッチング等)

- ✓ 人材育成(データサイエンティスト※4、研究支援人材※5)
- ✓ 新モダリティに対応するレギュラトリーサイエンス研究
- ✓ 革新的なシーズの国際展開の枠組み

※1: モダリティ、インシリコ、AI創薬等
 ※2: 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
 ※3: 治験薬製造、非臨床試験等
 ※4: 生物統計家、バイオインフォマティクス等
 ※5: 知財、プロトコール作成等

アカデミア



ベンチャー

製薬企業

当面優先して議論する項目(イメージ)

- 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)
- 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
- 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
- 人材育成(データサイエンティスト※4、研究支援人材※5等)

当面の重点的な支援が望ましい事業分野の検討

第1回協議会での課題認識

第1回協議会での議論を基に事務局にて作成

アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

○背景

- ✓ 米国等に比べアカデミア発シーズの実用例が少なく、ベンチャーも含めた環境整備が必要。
- ✓ 対象となるフェーズは変わったものの、依然として「死の谷」は存在
- ✓ 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(官民とも)。
- ✓ アカデミアと企業のシーズに関する捉え方のギャップは、なおも存在している。

○アカデミア発シーズの質の向上

- ✓ 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

○新しい「死の谷」への対応

- ✓ 「死の谷」が製造(特に新規モダリティ)や非臨床安全性試験に移行しており、支援が必要
- ✓ 「最適化」研究について、中継ぎの仕組みを含めた効率的な実施体制の構築

○連携の促進

- ✓ 創薬支援NWにおける取扱い品目の拡充など更なる活用
- ✓ 開発速度の加速に対応するベンチャー、ベンチャーキャピタル、CRO/SMO等によるオープンイノベーションのエコシステム、マッチングの仕組み
- ✓ 早期の産学連携を実現するため、アカデミアと企業の意見や認識の食い違いを減らす努力が双方に必要。話し合いの場の設定。

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

○背景

- ✓ 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、RWD、新規の開発手法など、世界的にも非常に競合の激しい新規の技術が登場。

○新たなテクノロジーや開発手法の推進に向けた方策

- ✓ 新モダリティの実用化については、化学、生物系のみならず、情報工学を含めた学際的な研究チームの編成が必要。
- ✓ 新規モダリティに関しては研究段階での製造面をサポートする体制の整備が必要。
- ✓ 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が重要。具体的には、各分野の専門家とPMDAで、テクノロジーや手法の特徴、利用に際しての注意点などを共に検討する機会を構築してはどうか
- ✓ RWDの利用の推進に向けて、希少疾患領域における治験との組み合わせによる申請パッケージの多様化を推進してはどうか。
- ✓ Bayes流の統計解析手法やバスケット型・アンブレラ型の臨床試験等、臨床試験についても新たな手法が開発されており、これらを実装するための取組が必要。

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

○背景

- ✓ 1970年代の米国では、バイオ医薬品の新興に際して、企業のみならず規制当局も研究を深めいち早く定義や留意点などを発表したことが、企業における開発促進や関連産業の育成につながった。
- ✓ 現状、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おり、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。

○レギュラトリーサイエンス研究の促進

- ✓ 革新的技術に対する評価技術の開発や標準化が必要。
- ✓ 様々な発明・発見について、正しい評価を行うこと、将来を見越してこれらの技術を育てていくことが重要。
- ✓ 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が重要。具体的には、各分野の専門家とPMDAで、テクノロジーや手法の特徴、利用に際しての注意点などを共に検討する機会を構築してはどうか(再掲)
- ✓ 開発着手時の予見性の低さを解消できるように、各種事例に基づく一般ルール化への検討について支援が必要。
- ✓ 特にRWDについては、申請に向けたデータの信頼性保証の基準等、利活用に向けた考え方を企業の利用に先んじて規制側がいち早く示すことが必要。

人材育成

○背景

- ✓ 生物統計家は種々の取組にかかわらず依然として不足。
- ✓ 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。
- ✓ アカデミアから企業へシーズ等を橋渡しするための研究支援人材(知財、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・確保することは大きな課題である。

○人材育成の制度の検討

- ✓ 医学教育に医薬品研究開発の要素を加えることも一案ではないか。
- ✓ アカデミアにおいては論文以外に特許取得数も評価されると良いのではないか。

○確保のための仕組みの検討

- ✓ アカデミアや治験を実施する医療機関等において、必要な人材の長期的な雇用や適切な評価に基づくポストや収入を可能とする仕組みの検討。

第1回協議会での課題認識

第1回協議会での議論を基に事務局にて作成

医薬品の研究開発に関する環境整備

○背景

- ✓ベンチャー企業等が最近の有望な抗がん剤の開発主体となり、日本で開発しない、販売しないという新たなドラッグラグが起きている。日本で臨床試験をしたくなるような環境整備が必要。

○国際展開や国際共同治験の促進

- ✓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すべきではないか
- ✓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(再掲)
- ✓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(再掲)

○インフラ整備

- ✓「死の谷」が製造(特に新規モダリティ)や非臨床安全性試験に移行しており、支援が必要(再掲)
- ✓新規モダリティに関しては研究段階での製造面をサポートする体制の整備が必要(再掲)
- ✓企業が手を出しにくい希少疾患・難病分野への支援を強化してはどうか。
- ✓開発期間を考慮した息の長い研究費投入の仕組みの検討が必要
- ✓ベンチャーキャピタルの創薬支援マインドの醸成

○他、医療情報の活用等

- ✓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。電子カルテの共通基盤化、医療情報として使えるような環境整備が必要。
- ✓医療情報については、構築時からユーザー目線での開発・整備が必要。