森下参与提出資料

日本版NIHへの要望（１）
ファンディング機能に関して

１）使いやすい予算化を希望
　従来の文科省、厚労省、経産省の枠組みにとらわれないことが重要
２）TRに関して重点的な予算化が重要
３）ベンチャー創出につながる仕組み作り
４）アカデミアの希望だけでなく、産業界・ベンチャーの要望も取り込む
５）再生医療、遺伝子治療、次世代ワクチン（DNAワクチン）、パンデミック対策など政策的課題も必要

急速に実用化が進む遺伝子治療

認可・発売済み
Gendicine（中国、がん抑制遺伝子p53遺伝子を発現するアデノウイルスベクター、2002年）
Oncorine（中国、腫瘍溶解性のアデノウイルス、2006年）
Rexin-G（フィリピン、細胞周期調節遺伝子cyclin G1をもつレトロウイルスベクター、2006年）
Neovasculgen（ロシア・ウクライナ、重症下肢虚血の治療剤：血管内皮増殖因子VEGF遺伝子を持つプラスミドDNA、2011年）
Glybera（欧州、脂質代謝異常症に対するアデノ随伴ウイルス<AAV>ベクター、2012年）

大手製薬企業の動き
GSK: ADA欠損症、Wiskott-Aldrich症候群、慢性肉芽腫症、異染性白質ジストロフィー等、Baxter:血友病、Novartis: EBVリンパ腫、急性リンパ性白血病、Amgen: 悪性黒色腫など、アステラス（CMVに対するDNAワクチン）

日本版NIHへの要望（２）

１）ファンディング機能だけでなく、直属の研究所が必須（米国では27の研究所）

２）特にTRを行うNCATSの創設希望
　基盤研をNCATSとしての活用するのはどうか？
　再生医療、遺伝子治療、次世代ワクチン開発（感染症や生活習慣病に対するDNAワクチン）などを支援

３）既存の独法のような運用にならないか危惧
　産業界との連携が重要

NCATS(National Center for Advancing Translational Sciences)

国立衛生研究所（National Institutes of Health：NIH）は、2012年度NIH歳出法において国立先進トランスレーショナル科学センター（National Center for Advancing Translational Sciences：NCATS）関連の予算5億7,500万ドルが承認されたことを受け、同センターを設立したことを発表した。NCATSは、新薬の開発速度を高めることを目的とした活動を行うことになり、NIH、国防高等研究事業局、FDAが協力して実施する。

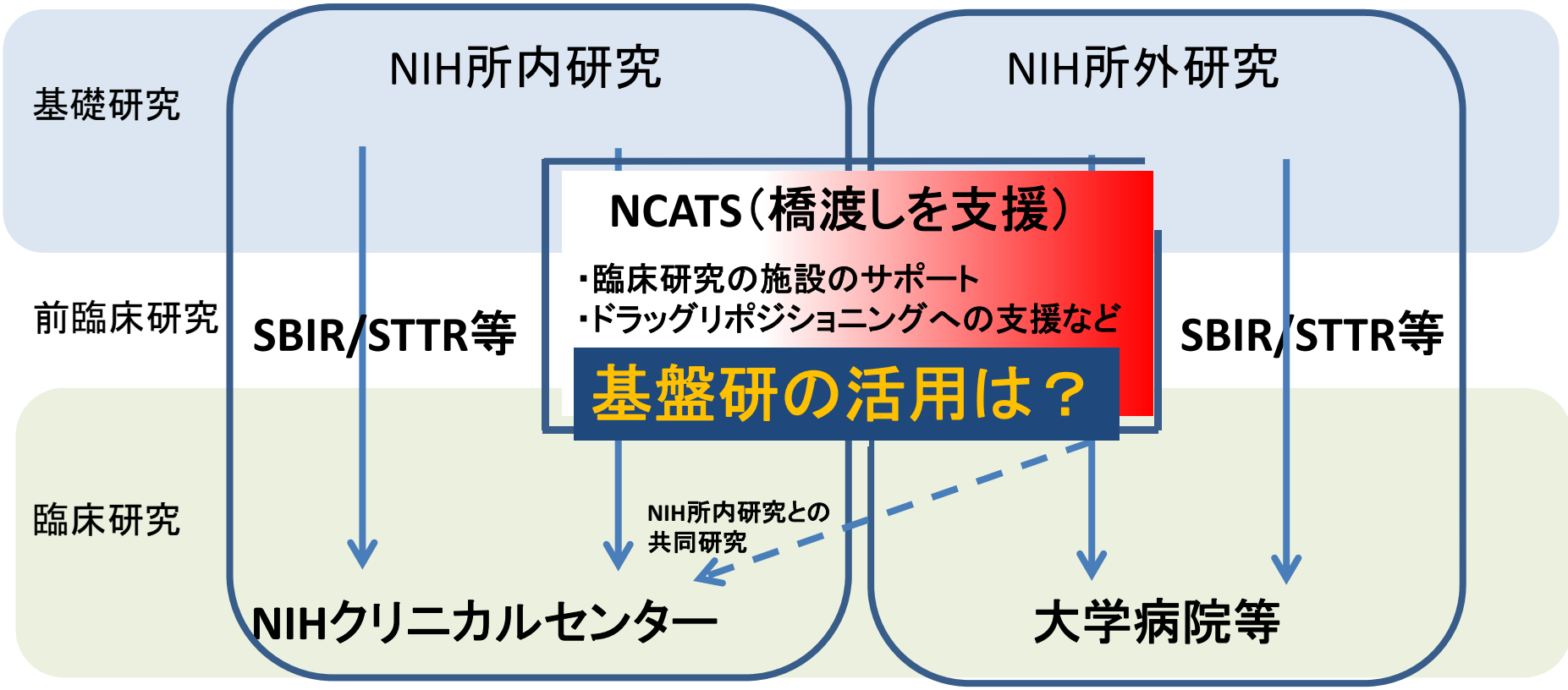
・前臨床研究および臨床研究を支援
・所内と所外の両方を支援。
・契約の形態の一つとしてCRADA（企業にインセンティブ（ライセンス）を与えることで技術移転を促進する制度）がある。

助言
意見交換

アドバイザーパネル
アカデミア・製薬企業・ベンチャー・
シンクタンク・キャピタリスト

Christopher P. Austin, M.D
医学博士、元メルク、NIH

NIHにおけるトランスレーショナルリサーチのイメージ図：NCTASの創設



＊NCATS（5.7億ドル）は、ほとんどが外部へのファンディング。
＊各研究所で中小企業を対象としたファンディング（SBIR/STTR）が行われている。

日本版NIHへの要望（案）

健康医療戦略
推進本部

アドバイザー
パネル

日本版NCATS設置
創薬支援・TR事業の強化
オーファンドラッグ支援事業
CRADA
クリニカルセンターでの臨床研究・医師主導治験の支援
健康食品の機能性表示の支援（ODS）

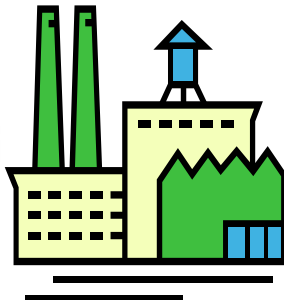
NIH

基盤研＋健康栄養研（移転）
希少疾患クリニカルリサーチセンター（新規設置）
健康食品開発研究センター（新規設置）

人材提供（薬事・製造）
マッチングプログラム

pmda

情報交換
人材交流



製薬企業
ベンチャー
ヘルスケア関連産業

日本版FDA創設要望

近年、PMDAの審査スピードは上がってきたが、日本発のシーズを世界に先駆けて実用化していくためには、FDAやシンガポールより早い承認審査体制が求められている。
少なくとも1000人体制は必要である。
FDAは紙の上の審査だけでなく、実験系のレギュラトリーサイエンス研究も行っており、半分以上の予算は国費である。また日本は厚労省が最終承認を決定するのと違い、FDAが主体的に承認できる。PMDAでは、未だ裁量行政による承認が見受けられる。より科学的な審査が必須。

提言案
国立医薬品衛生研究所とPMDA、さらに厚生労働省医薬食品局を統合し、日本版FDAとしてはどうか？
PMDA-WESTも拡充し、関西の先端製品に対応するべき。