

「医療分野研究開発推進計画」の 実行状況について

～統合プロジェクト～

平成29年6月1日

内閣官房 健康・医療戦略室

文部科学省

厚生労働省

経済産業省

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト①

創薬支援ネットワークや創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

【統合プロジェクト】

創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、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。

【達成目標】

【2020年までの達成目標】

- ・ 相談・シーズ評価 1,500件
- ・ 有望シーズへの創薬支援 200件
- ・ 企業への導出(ライセンスアウト) 5件
- ・ 創薬ターゲットの同定 10件

【平成28年度(2016年度)の主な成果】

1. 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業
①「マイクロRNA測定技術基盤開発」では、主要な13のがんを対象に37000検体以上の血清を網羅的に解析し、6のがんについて、新たに診断マーカーと解析アルゴリズムを選定した。現在、前向き臨床研究による臨床有用性の検証を進めている(平成29年2月開始)。
②平成27年度末に本格稼働させたGMP準拠の国内初のバイオ医薬品(抗体)のマザー工場にて、抗体医薬品候補を用いた実証試験を実施した結果、精製工程を含む製造工程の個別条件設定に成功した(平成29年2月)。今後事例を増やし最適化を行う。
2. 創薬基盤推進研究事業
平成27年度に産学共同創薬研究プロジェクト(GAPFREE)にて、有望なテーマが採択され、産官学の研究が開始された。更に、産業界からの要望があり、平成28年度からは、既存薬をツール化合物として、これを用いた臨床研究から創薬研究を開始し、臨床研究データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発につなげる産官学共同rTRプロジェクト(GAPFREE2)を立ち上げた。
3. 臨床研究・治験推進研究事業
希少疾患である難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群に対する治療薬(11βHSD1阻害剤)の医師主導治験を開始した(平成28年10月)。
4. 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業
抗体医薬品の糖鎖解析に利用できる、微量の糖タンパク質を濃縮・回収するチップの特許ライセンス契約を国内企業と締結(当該チップは発売済)(平成28年10月)。

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト②

創薬支援ネットワークの活用等により、基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目ない支援は概ね順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
・ 相談・シーズ評価 1,500件	863件	A	大学等の研究者から医薬品開発に関する相談等に応じるとともに、医薬品としての実用化の可能性の高い基礎研究の成果について目利き評価・相談を863件行った。	
・ 有望シーズへの創薬支援 200件	58件	B	創薬支援ネットワークによる創薬支援を58件実施した。	
・ 企業への導出(ライセンス アウト) 5件	15件 (創薬支援 ネットワー ク:2件)	A	製薬企業等への円滑な導出による早期の医薬品としての実用化を図るため、製薬企業等の重点開発領域等やニーズを基に活動を行い、製薬企業等への導出を15件行った。	
・ 創薬ターゲットの同定 10件	8件	A	・平成27年度までに同定した8件について、平成28年度は知財化等を進めるとともに、新規創薬ターゲットの同定に向けた研究を行った。	

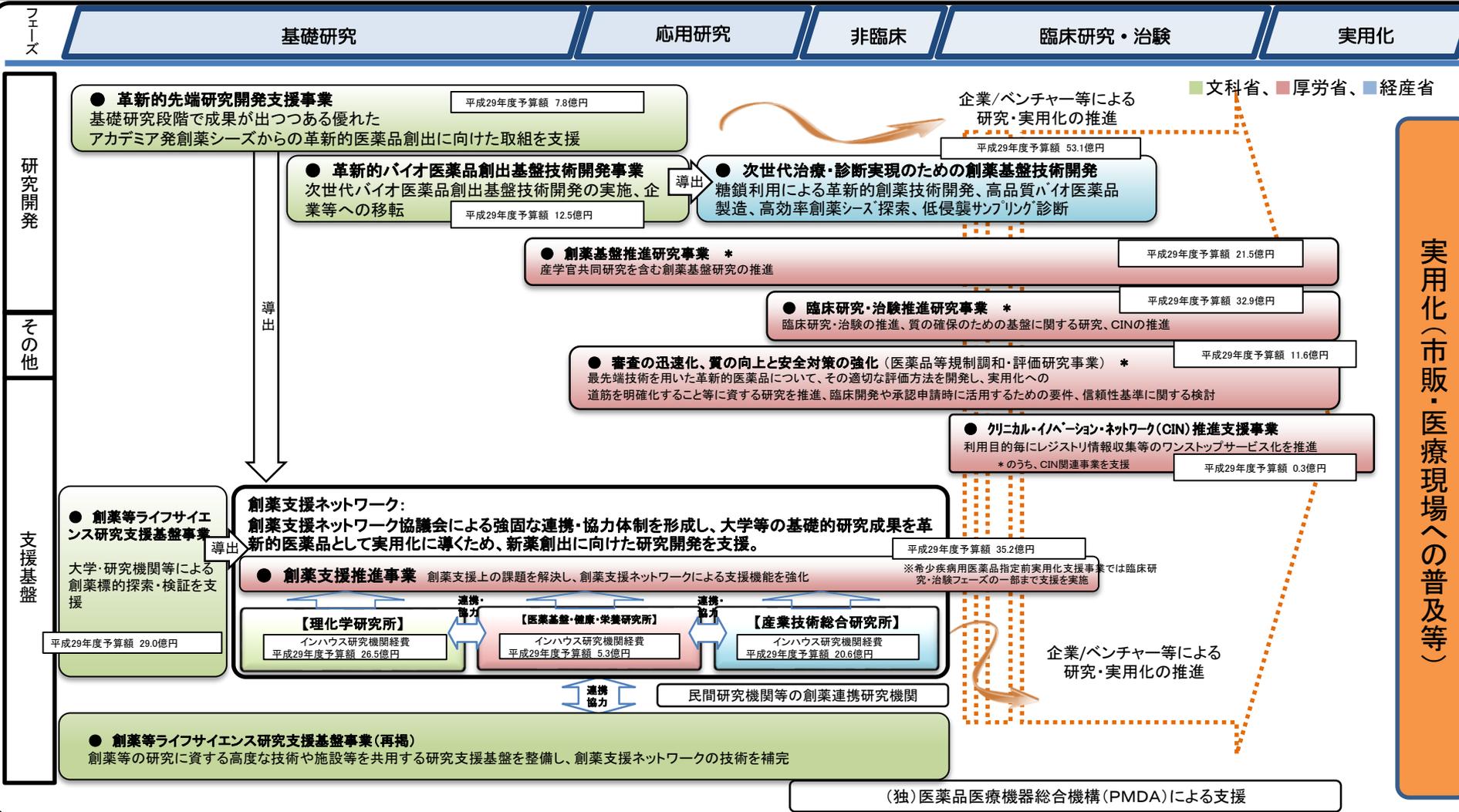
※ 「最新の数値」は、2017年3月31日時点の計数、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成29年度予算額 204億円

インハウス研究機関経費
平成29年度予算額 53億円

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。



【2020年までの達成目標】

- 相談・シーズ評価 1,500件
- 有望シーズへの創薬支援 200件
- 企業への導出(ライセンスアウト) 5件
- 創薬ターゲットの同定 10件

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-①>

1. 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

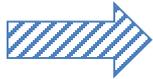
主要がんのマイクロRNA診断マーカー等を選定

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早期発見マーカーを見出し、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

がん、認知症等の37000検体以上の血清を網羅的に解析し、主要がんをほぼ網羅する11のがんについて診断マーカーと解析アルゴリズムを選定した。これらの臨床有用性を検証するため、PMDAの助言を受けながら、前向き臨床研究の基盤整備とサンプル収集を行っている。また、実用化を確実にするため、これまで32件の特許出願を行った。



マーカーセット	症例数	感度(%)	特異度(%)	AUC
乳がん	1206	97	83	0.97
大腸がん	564	80	95	0.91
肝臓がん	205	99	95	1.00
胃がん	650	100	99	1.00
食道がん	259	99	98	1.00
神経膠腫	51	98	94	n.d.
膵臓がん	463	99	94	0.99
胆道がん	206	98	99	1.00
卵巣がん	434	97	100	1.00
肺がん	1868	100	100	1.00
骨軟部腫瘍	120	93	81	0.95

平成28年度は、新たに6の主要がんでは高い性能の診断マーカーセット・解析アルゴリズムを見いだした。

今後薬事申請をにらんで、臨床有用性を確認するため、前向き臨床研究を実施する。

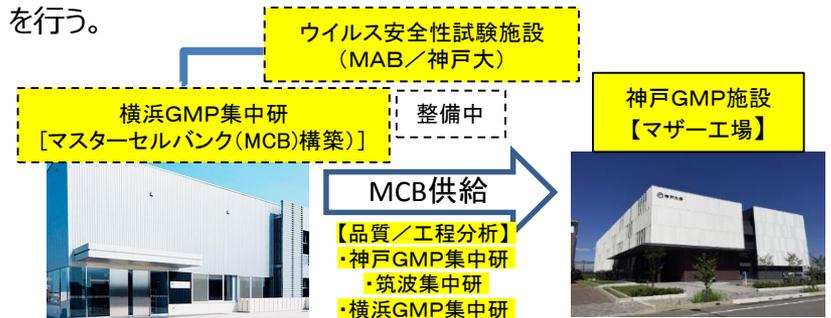
抗体医薬品製造のマザー工場での実証試験開始

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する：①オリジナルなCHO細胞を用いたマスターセルバンク、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ウイルスクリアランス試験、⑦開発した技術評価体系の整備

研究成果

プラットフォーム基盤としてのGMP準拠のバイオ医薬品（抗体）のマザー工場が本格稼働し、抗体医薬品候補を用いた実証試験を行った結果、個別条件設定に成功した。今後事例を増やし最適化を行う。



GMP準拠の抗体医薬の製造施設を活用し、抗体医薬品候補を用いた実証生産を継続して実施し、製造検討及び品質管理技術のプラットフォーム化を進める。並行して開発中の生産設備・技術の実証を目的としたテストランを行う。

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-②>

2. 創薬基盤推進研究事業

平成27年度に産学共同創薬研究プロジェクト(GAPFREE※)にて、有望なテーマが採択され、産官学の研究が開始された。更に、産業界からの要望があり、平成28年度からは、既存薬をツール化合物として、これを用いた臨床研究から創薬研究を開始し、臨床研究データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発につなげる産官学共同rTRプロジェクト(GAPFREE2)を立ち上げた。

※ Funding for Research to Expedite Effective drug discovery by Government, Academia and Private partnership

GAPFREE2採択課題

個別疾患研究

イマチニブをツールとした自己免疫性水疱症における創薬基盤開発研究

【研究開発代表者】
京都大学
椛島 健治



参画企業



田辺三菱製薬

抗PD-1抗体治療患者における個別免疫担当細胞レベルにおける免疫応答の解析研究

【研究開発代表者】
国立がん研究センター
土井 俊彦



参画企業



ホソトロンCTで脳内炎症が確認された患者に対するミクログリア活性化抑制薬の有効性検証

【研究開発代表者】
理化学研究所
渡邊 恭良



参画企業



調査研究

産学官共同創薬プロジェクトの在り方に関する調査研究

【研究開発代表者】 東京大学 小野俊介



I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-③>

3. 臨床研究・治験推進研究事業

難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群の病態解明と11 β -HSD1阻害剤の臨床開発
九州大学病院 野村 政壽

研究概要

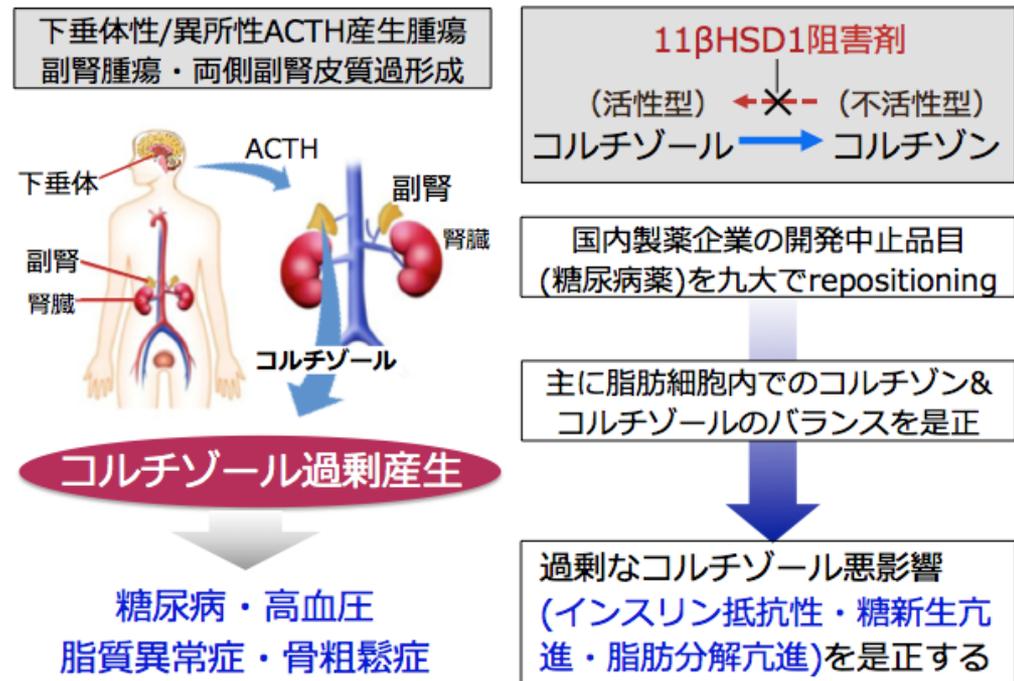
希少疾患である難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群を対象とし、11 β -HSD1阻害剤の医師主導治験を実施し、有効性及び安全性を評価する。

研究成果等

- ・平成28年10月に治験計画届を提出し、医師主導治験を開始した。
- ・九州大学の患者登録システム（九州クッシングレジストリ）を活用し、被験者16名のリクルートの準備を完了。

今後の予定

平成29年度に全16症例の被験者の観察を完了し、平成30年度までに当該疾患症例における本薬剤の耐糖能異常改善のPOC（Proof-of-Concept）を取得し、企業への治験データの導出、企業治験への移行及び薬事承認申請を目指す。



4. 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

バイオ医薬品の高機能化に利用できる糖鎖の分析ツールの開発

横浜市立大学 川崎 ナナ

- 抗体をはじめとするバイオ医薬品では、固有の配列をもつ「糖鎖」がタンパク質に結合し、高い生物活性を示している。
- バイオ医薬品に結合する「糖鎖」構造のわずかな違いは、活性を大きく左右する。
- 高い活性をもつバイオ医薬品を安定して製造するには、「糖鎖」配列を厳密に管理する必要があり、「糖鎖」の分析手法は極めて重要である。
- 「糖鎖」分析の際には、タンパク質を切断し、得られる断片の中から「糖鎖」の結合した糖ペプチドだけを取り出す必要があるが、糖ペプチドだけを迅速かつ簡便に取り出す手法はこれまで存在しなかった。
- 横浜市立大学のグループは、小ピペットチップの先端部分に、糖に親和性をもつ樹脂とペプチドに親和性をもつ膜を上手く組み合わせることにより、少量の試料から、糖ペプチドだけを簡単に濃縮・回収する手法を創出した。
- 本品は平成28年10月から販売が開始されている。

