

【施策目標 10-1】 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発（新規）

平成26年度要求額：1,500百万円

※「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等に基づき、科学技術・学術審議会等において評価が行われているため、当該評価をもって事前評価書に代えることとする。

● 主管課（課長名）

研究振興局ライフサイエンス課（課長：板倉康洋）

● 関係局課（課長名）

● 審議会等名称

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会

● 審議会等メンバー

別添参照

● 目標

・ 達成目標

バイオ医薬品はがん及び自己免疫疾患領域を中心に世界的に成長が著しい。我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題の解決が求められている。この問題を解決するため、革新的バイオ医薬品創出のための基盤技術を開発し、5年以内に企業等への技術移転を目指すことを目的とする。

・ 成果指標（アウトカム）

成果の活用状況

（実績：活用事例/目標：技術的課題の解決、蓄積された治験、技術の医学・薬学への貢献、産業応用）

ライフサイエンス委員会委員

氏名	所属・職名
主査 永井 良三	自治医科大学学長
飯島 貞代	株式会社三菱ケミカルホールディングス ヘルスケアソリューション室三菱化学フェロー
小幡 裕一	理化学研究所バイオリソースセンター長
甲斐 知恵子	東京大学医科学研究所教授
鎌谷 直之	株式会社スタージェン会長
桐野 高明	独立行政法人国立病院機構理事長
小安 重夫	独立行政法人理化学研究所 統合生命医科学センター センター長代行
笹井 芳樹	理化学研究所発生・再生科学総合研究センター グループディレクター
末松 誠	慶應義塾大学医学部長
高井 義美	神戸大学大学院医学系研究科教授
高木 俊明	テルモ株式会社 取締役上席執行役員 品質保証部・安全情報管理部・環境推進室管掌
高木 利久	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
知野 恵子	読売新聞東京本社編集局編集委員
月田 早智子	大阪大学大学院 生命機能研究科/医学系研究科 教授
中釜 齊	独立行政法人国立がん研究センター研究所長
長洲 毅志	エーザイ株式会社理事・CINO 付担当部長
長野 哲雄	東京大学薬学部教授
成宮 周	京都大学医学研究科教授
山本 雅之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長
山脇 成人	広島大学大学院医歯薬保健学研究院 精神神経医科教授

(平成 25 年 8 月現在)

事前評価票

(平成 25 年 8 月現在)

1. 課題名 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発 (新規)

2. 開発・事業期間 平成 26 年度～

3. 課題概要

【概要】

世界の新薬市場では組換え DNA 技術、細胞融合技術、細胞培養技術等のバイオテクノロジーで製造されたバイオ医薬品 (抗体・タンパク・核酸医薬等) が主流となりつつあり、平成 24 年度の世界市場における売上高の上位 10 品目のうち、がん及び自己免疫疾患領域を中心とした 7 品目をバイオ医薬品が占めている。

我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題 (細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等) の解決が求められている。

本事業は、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出することを目的とし、企業等への技術移転を目指す。

【研究内容】

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を強化するため、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、低分子化、特定の組織及び細胞への送達技術、エピジェネティクス制御技術、核酸医薬の高活性化及び安定性向上等及び糖鎖構造の制御技術等の革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発を実施する。

【想定する成果】

5 年以内に次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術を開発し、企業等へ移転する。また、本事業によりアカデミア創薬が推進されるとともに、我が国の医薬産業への貢献が期待される。中長期的には、低分子化合物や従来のバイオ医薬品を超える革新的医薬品の創出により、次世代がん医療や難病に対する医療の向上への貢献が期待される。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題（細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等）の解決が求められている。したがって、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出し、企業等へ技術移転する事業の構築が必要である。

(2) 有効性

我が国のバイオ医薬品産業には、バイオ医薬品開発における多くの技術的課題があるとともに、製造技術が集約されていないため海外に比べて新薬開発に多大なコストと時間を要するという問題がある。製造技術の集約については、経済産業省がオールジャパンの製造技術基盤構築を進めており、本事業による次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術の企業等への移転は、革新的バイオ医薬品の創出に有効である。

(3) 効率性

計算科学は、「ターゲットタンパク研究プログラム（平成 19～23 年）」及び「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（平成 24 年～）」において優れた成果を上げている。本事業はこれらのノウハウやその基盤が引き継がれている「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業」との積極的連携により、効率的に推進することが可能である。

5. 総合評価

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を高めるために本事業が重要であることは論を待たないところであり、我が国の医薬産業の発展のためにも、積極的に本事業を推進すべきである。ケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等は我が国が得意とする分野であり、これら技術の融合や「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業」との連携を推進し、最新の臨床知見等も踏まえつつ、効果的に技術成果を創出することが期待される。

また、バイオ医薬品研究に関わる人材の育成も重要であるため、アカデミア及びベンチャー企業等において優れた技術を持つ研究者の参加や、研究者間の交流・連携を戦略的に図っていくための仕組みも構築する必要がある。

事業概要

- バイオ医薬品(抗体・タンパク・核酸医薬等)は、低分子医薬品よりターゲットへの特異性が高いことから、効果が劇的であり、副作用も少ないことが期待されている。低分子医薬品の探索が世界的にピークを越えていることもあり、がん及び自己免疫疾患領域を中心に、世界的にバイオ医薬品市場の成長が著しい。
- 近年、我が国の製薬企業もバイオ医薬品の開発に取り組みつつあるが、多くの技術的課題(細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、経口投与を可能とする低分子化等の技術、糖鎖制御、特定の組織及び細胞への送達技術等)の解決が求められている。
- この問題を解決するため、我が国の強みであるケミカルバイオロジーや計算科学、糖鎖工学等を融合し、バイオ医薬品における製薬企業が抱える技術的課題を解決するとともに次世代技術を創出し、5年以内に企業等への技術移転を目指す。
- また、文科省、経産省、厚労省の連携体制により、基礎から開発・製造及び臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、バイオ医薬関連産業のための橋渡しと基盤整備を行い、次世代バイオ医薬品創出に貢献することを目指す。

従来のバイオ医薬品開発における製薬企業等が抱える課題

- 分子量が大きいため経口化が困難で注射剤となる
- 細胞内への送達が難しいため、細胞内標的に対する開発は進んでいない
- バイオ医薬品の生理活性特性に重要な影響を与える糖鎖を自在に制御する技術が確立していない
- 特定の組織や細胞にバイオ医薬品を送達する技術が確立していない
- 核酸医薬は塩基配列や構造が既知の核酸やタンパクを標的とするため作用機序が明確で副作用も少ないと期待されるが、安定性等の性能に課題が多く実用化に至っていない

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を強化するため、以下のような「次世代バイオ医薬品技術開発」を実施

細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、低分子化、エピジェネティクス制御技術、核酸医薬の高活性化及び安定性向上等、糖鎖構造の制御技術等

達成目標

次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術を5年以内に企業等へ移転

世界の大型医薬品売上高ランキング

「出典:セジデム・ストラテジックデータ(株)ユート・プレーン事業部」

上位10品目中7品目がバイオ医薬品

順位	製品名	薬効等	メーカー	2012年(百万ドル)
1	ヒュミラ	関節リウマチ	アボット/エーザイ	10,860
2	レミケード	リウマチ/クローン病他	J&J/メルク/田辺三菱	9,729
3	エンブレル	リウマチ他	アムジェン/ファイザー/武田	9,016
4	アドエア/セレタイド	抗喘息薬	GSK/アルミラル	8,242
5	クレストール	高脂血症/スタチン	塩野義/アストラゼネカ	7,919
6	リツキシマン	非ホジキンリンパ腫	ロシュ/バイオジェン・アイデック	7,902
7	ランタス	糖尿/インスリンアナログ	サノフィ	7,891
8	ハーセプチン	乳がん	ロシュ/中外製薬	7,386
9	アバステン	転移性結腸がん	ロシュ/中外製薬	6,984
10	ジャスビア	2型糖尿病/DPP4	メルク/小野薬品/アルミラル	6,187

経産省 開発～医薬品製造

- ・オールジャパンの製造技術基盤構築
- ・革新的製造技術の創出
- ・先進的品質評価技術の開発

橋渡し研究加速ネットワークプログラム

橋渡し研究支援人材・施設による基礎から臨床への橋渡し

臨床研究中核病院等

整備した人材・施設による質の高い臨床研究・医師主導治験の実施

実用化

いち早い実用化に向けたシームレスな支援