

## I 日本の医薬品開発の課題

### 「AMEDによる創薬研究の支援方策」

菱山 豊（日本医療研究開発機構 理事）

#### 1. はじめに

日本医療研究開発機構（AMED）は、「独立行政法人日本医療研究開発機構法」に基づき、2015年4月に発足した。従来、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省に分かれていた医療に関する研究開発経費で、大学や独立行政法人の研究者、あるいは企業を募集して配分する予算を同機構に集約し、より総合的、より効率的に研究開発が進められることを目指したのである。本稿は字数が限られているので、より詳しい情報を知りたい方は同機構のホームページ（<http://www.amed.go.jp/>）を是非参照していただきたい。

#### 2. 従来のアカデミアと産業界

近年、日本においても先端的な科学技術を活用した新薬の開発に関し、アカデミアが貢献していることがしばしば見られることは以前から指摘してきた<sup>1</sup>。例えば、協和発酵キリンが開発した成人 T 細胞白血病リンパ腫の治療薬であるポテリジオは名古屋市立大学の上田龍三教授たちの、ファイザーが開発した肺がんの分子標的薬であるクリゾチニブは東京大学の間野博行教授たちの、JTに導出され、その後グラクソスミスクラインが開発し、現在はノバルティスが製造販売をしている MEK 阻害剤のトラメチニブは、京都府立科大学の酒井敏行教授たちの、小野薬品などが開発し、抗がん剤の概念を変えたとも言われるニボルマブは京都大学の本庶佑教授たちの、それぞれ基礎研究の成果を基としている。こうした研究者や製薬企業の方たちには、AMED の設立や運営に関して大変お世話になっている。

アカデミアから創出された優れたシーズを患者さんに届け、イノベーションを創出するためには、企業がシーズを取り入れ、研究開発、製造そして販売することが必須である。したがって、産学連携によるエコシステムを構築することが極めて重要であり、そのために大きな役割を果たすことが AMED のミッションの一つだ。

しかしながら、従来、アカデミアと産業界との関係は緊密とは言い難かった。AMED が設立された頃、アカデミアからは、日本の企業は新しい技術については関心を示さないし、フェーズ 2A までの医師主導治験の結果、いわゆる POC を示して欲しいと言われるという声が聞こえてきた。他方で、産業界からは、アカデミアによる研究成果の再現性が足りない、大学病院は医薬品という製品の顧客でもあり、研究におけるフラットな関係が築きにくいとの声が聞こえてきた。また、企業で研究開発に携わってきた方に大学も実用化を考えた研究を進めていると話すと、大学はしっかりと基礎研究をしてもらい、企業からは出てこないような新しいシーズを出してほしいとの答えがかえってきた。AMED は、こうした両者を WIN-WIN の関係するような触媒の機能を果たすことも求められている。

### 3. AMED の創薬支援に関わるプロジェクト

創薬に係るプロジェクトとしては、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」を中心に、大学病院やナショナルセンターという研究開発の基盤を整備し、医薬品や医療機器等を創出する「革新的医療技術創出拠点プロジェクト」<sup>2</sup>やゲノム医療実現に向けた研究の支援やバイオバンクの整備を支援する「疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト」<sup>3</sup>がある。また、疾患別のプロジェクトとして、がんに関する研究を支援する「ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト」、脳機能の解明の研究からうつ病や認知症等の精神・神経疾患の研究を支援する「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」、感染症に関する研究を支援する「新興・再興感染症制御プロジェクト」、希少難治性疾患の研究を支援する「難病克服プロジェクト」があり、これらには、疾患の診断や治療の創薬研究も含まれる。

特に、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」では次のような創薬支援を行っている<sup>4</sup>。すなわち、日本初の公的創薬支援制度「創薬支援ネットワーク」で、大学や公的研究機関等の優れた研究成果の革新的新薬への橋渡しを支援している。創薬研究に資する民間リソースを活用する「創薬支援推進ユニット」、ライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなぐ「創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム (BINDS)」、中分子化合物から構成される「次世代創薬シーズライブラリー」などによって開発環境を強化している。また、疾患登録システムを活用した「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の推進支援や、PPP (Public Private Partnership) の一つの形態である産学官共同創薬プロジェクトである“GAPFREE”を推進している。

### 4. 強力なマネジメント

AMED は透明性を確保して公正に研究資金を配分しているだけでなく、次のようなマネジメントの例を紹介する。

AMED ではデータシェアリングを進めている。近年の医学研究においては、多くの患者、一般の方に参加していただき、ゲノム、プロテオーム、メタボロームなどのビッグデータを解析するものが増えている。このようなビッグデータを研究者の間で共有して解析することができれば、効率的に研究が進むであろうし、そもそも税金で実施した研究の成果であるデータを一部の研究者が独占するのは好ましくないという考え方もある。また、試料や情報を提供した方たちは医学のために広く役立ててほしいという願いも持っているだろう。他方で、多くの方に研究に参加していただくためには、研究の意義を広く周知し、一人一人の方に丁寧な説明をして、血液等の試料や情報をいただくという大変な努力が必要である。そうした努力を経て収集した試料や情報を何ら苦勞していない研究者に「研究寄生 (research parasite)」<sup>5</sup>させることは適切ではない。こうしたことを考慮し、AMED では「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を策定<sup>6</sup>するとともに、さらに「データマネジメントプラン」の提出を要請している<sup>7</sup>。データシェアリングについては、難病研究やバイオバンク事業で大きな成果が出ている。

また、前述したように複数のプロジェクトにおいて創薬に関する研究が行われている。これらに対して横断的なマネジメントを行うため、AMED では 2017 年度から、創薬研究の重要なステージゲートにおいてより適切な評価を行うための研究開発マネジメントチェック項目を作成し、公表した<sup>8</sup>。

さらに、アカデミアと産業界の双方から、アカデミアのシーズと企業のニーズを早期にマッチングしたいとの要望に応え、主として医薬品分野におけるアカデミア発のシーズと企業のニーズとを早期にマッチングし、アカデミアと企業の両方でインキュベーションを促すツールである「AMED ぷらっと」を開発し、提供している<sup>9</sup>。AMED としては、こうしたシステムの活用を進めるとともに、産業界の皆さんとアカデミアの皆さんには直接に向き合っ

## 5. おわりに：今後に向けて

AMED は設立して 3 年が経ったところだ。各省に分かれていた予算を集約したので、基礎研究から実用化までを一貫して研究開発を支援し、成果を患者さんに届けるという理念の実現には届いていない面もある。2020 年から始まる次期中長期計画期間においては、将来を見据えて、実際に研究開発を行っているアカデミアの研究者や企業の皆さんにさらなる協力をいただき、医療分野の課題に取り組むとともに、研究開発システムの改善を進めていくことになるだろう。

---

<sup>1</sup> 菱山豊：日本医療研究開発機構の始動，ビオフィリア，Vol. 4, No.1, 8-14 (2015)。

<sup>2</sup> <https://www.amed.go.jp/program/list/05/01/001.html>

<sup>3</sup> <https://www.amed.go.jp/program/list/index05.html>

<sup>4</sup> <https://www.amed.go.jp/program/list/index01.html>

<sup>5</sup> Dan L. Longo and Jeffrey M. Drazen: Data Sharing, New England Journal of Medicine, Vol. 374, No.3, 276-277, 2016.

<sup>6</sup> [http://www.amed.go.jp/content/files/jp/program/0401\\_datasharing-policy.pdf](http://www.amed.go.jp/content/files/jp/program/0401_datasharing-policy.pdf)

<sup>7</sup> <https://www.amed.go.jp/content/000030140.pdf>

<sup>8</sup> [https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin\\_check.html](https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html)

<sup>9</sup> [https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed\\_plat.html](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed_plat.html)