

医療分野の研究開発に関する専門  
調査会コメント  
2013/10/3

国立国際医療研究センター  
研究所長  
清水 孝 雄

# 議論の進め方に関して

1. 大きな質的転換であるので、慎重な議論と精密な制度設計が必要
2. ライフサイエンス研究開発費の大幅増が大前提
3. 創薬、医療機器開発（アカデミア、企業、ベンチャー、助成団体など）の人材からのヒアリング

例：創薬、診断技術：間野、門脇、藤堂、成宮、西野、岩坪、  
浦野、岡、溝上

ベンチャー成功例：片岡（東大）森下（阪大）、菅（東大）

米国NIHの現状：満屋（国際医療セ／NIH部長、抗エイズ薬開発）

3. ヨーロッパ、米国、カナダなどの調査
4. 新独法設立をめだま、自己目的にしない

# 医療分野の研究開発のために(1)

## 1. 開発の源泉

- 個人の自由な発想(interest-driven)は研究の多様性の源泉。ボトムアップ的基礎研究支援の飛躍的拡充が大前提  
iPS、酵母のオートファジー研究、ターゲットタンパク研究からの高尿酸結晶治療薬開発、線虫の研究から核酸医療、代謝学、シグナル伝達研究からの創薬、材料化学からナノデリバリーシステム

## 2. 開発の目的

- 日本人の健康寿命延長
- アジア、アフリカなどとの医療協力

## 3. 開発人材の育成

- リサーチマインドを有する医師の育成
- 融合型教育、医工薬など異分野交流の推進(資料1)、異分野融合組織、ダブルディグリーの加速
- グローバル人材の育成、ヘテロ集団でのマネジメント能力向上
- バイオインフォマティクスの育成、海外からの招聘
- 学部段階から知財教育、治験などの教育強化

## 4. 開発の仕組み・制度

- 研究費と人材の絶対不足が大きな因子(対GDP比で米国の数分の1)
- 長期的な支援システム、研究費の基金化、間接経費の増額
- 改正労働契約法の再改正、給与システムの自由化(インセンティブの付与)
- バイオバンクの充実(詳細な臨床情報、経年解析、病理標本、健常人データ、アクセシビリティの拡大)、電子カルテや共通IDの早期導入

# 医療分野の研究開発のために(2)

## 4. 開発の仕組み・制度(続き)

- TR推進のためのベンチャー育成、あるいは組織的産学連携(東大の社会連携講座、京大のAKプロジェクトなど)
- 医療開発への個人出資を促す税制改革
- 前進しているPMDAの一層の充実強化による審査迅速化、効率化、精度向上(職員数、FDA4000名、PMDA400名, 2008年)

## 5. 開発の工夫

- ナショセン、大学、研究機関の中に産学連携組織(資料2)
- アカデミア、企業の大膽な人材交流(アカデミアに創薬人材、企業に生物学、医学のわかる人材、行き来が可能な給与システムなど)
- 既存薬の適応拡大、新標的分子の探索
- 天然物活用(アスピリン、タクロリムス、FTY720など)
- phenotypic screening over target-based screening(資料3)
- 治験、臨床試験の疾患別拠点とオールジャパン体制、開業医も含めて

# 新独法が持つべき要件

- 厳密な評価による統合的ファンディングシステム
- ファンドシステム改革の先導(基金化、間接経費大幅増、7～10年程度の安定支援、使途制限の多い補助金方式の廃止)
- 官民共同(マッチングファンド)を主体に、ベンチャー育成を支援
- 独法附属病院群(P1、治験病床、先進医療など、十分な品質管理と解析力、総合診療、救急対応など)との連携
- 融合研究の促進、組織化を支援(医工薬、薬学理学、倫理・財政と医学等)
- 専任の頭脳集団群 Advisory board、海外研究者
- 研究調査システム(研究所)
- 倫理、知財の国際的プロ集団

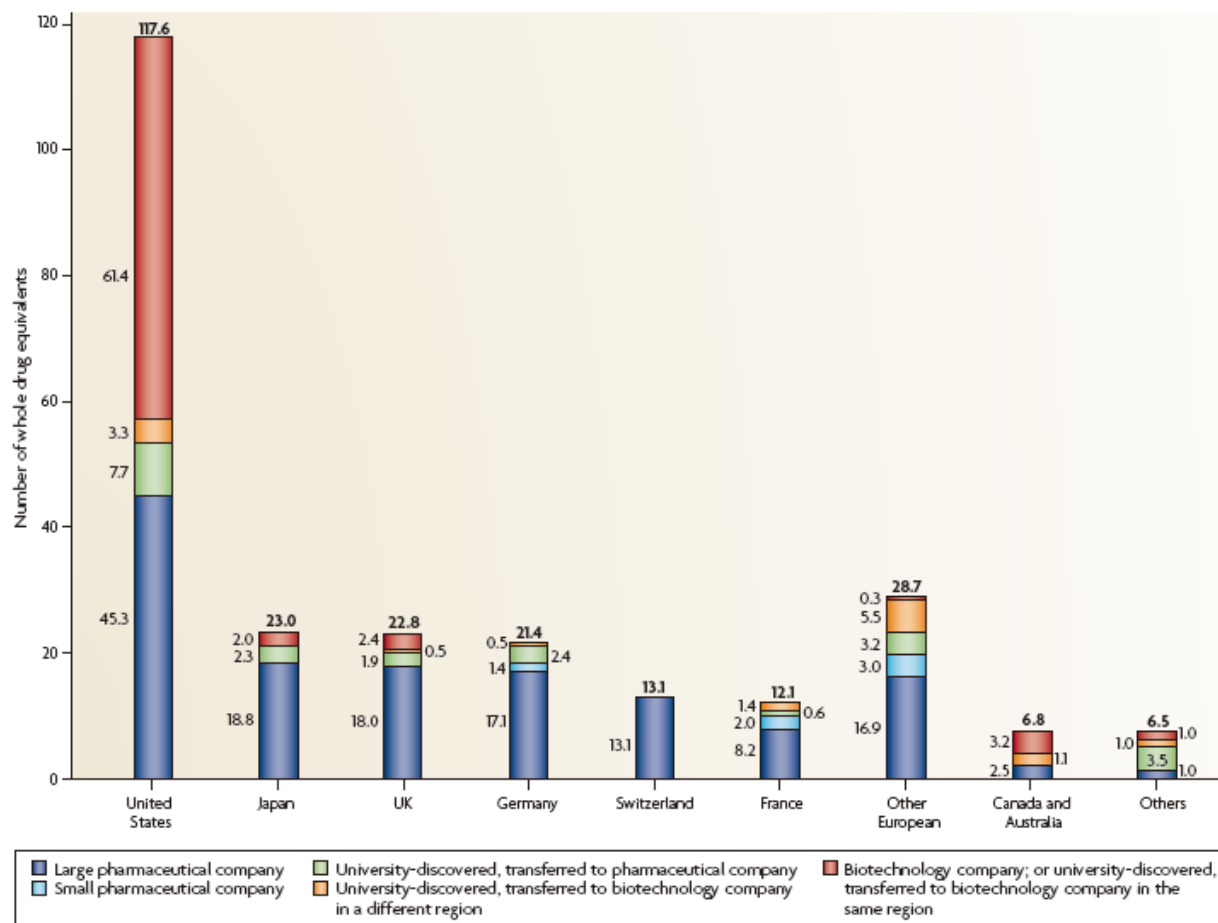
# 資料1 融合研究プログラムの評価

KPI	Indicator	Unit	CNBI		Control		CNBI Before/After		Control Before/After		Effect of project			
			2000-2004	2005-2009	2000-2004	2005-2009	Effect	P Value	Effect	P Value	Effect	P Value	DID Value	
			Mean (S. D.)	Mean (S. D.)	Mean (S. D.)	Mean (S. D.)								
Interdisciplinarity	Extent of Research Field													
	Interdisciplinary Index	Index	0.687 (0.204)	0.763 (0.132)	0.654 (0.219)	0.713 (0.124)	**	.009		.472	*	.016	-0.015	.740
	Extent of Research Network													
	Joint Papers	Ratio	0.05 (0.08)	0.06 (0.07)	0.03 (0.09)	0.01 (0.03)		.247	**	.006	***	.000	0.043	* .016
	"	Total	2.43 (4.21)	4.23 (5.10)	0.66 (1.94)	0.34 (0.59)	**	.007	**	.006	***	.000	0.446	* .010
	Affiliated Organizations	Per Paper	2.50 (0.88)	3.00 (0.86)	3.09 (1.59)	3.27 (1.30)	***	.000		.160		.668	-0.059	.818
	"	Total	62.5 (58.6)	82.1 (59.0)	35.5 (47.1)	56.3 (49.9)	**	.004	*	.046	*	.037	1.794	.644
	Affiliated Regions	Per Paper	1.15 (0.15)	1.12 (0.15)	1.15 (0.17)	1.16 (0.17)		.914		.995		.260	-0.094	.207
"	Total	3.34 (2.74)	3.57 (2.69)	2.60 (2.28)	3.51 (3.17)		.428		.252		.747	-0.251	.257	
Publication Productivity Indicator	No. of Research Papers	Total	37.9 (33.7)	55.5 (44.5)	22.7 (27.9)	39.4 (36.3)	**	.001		.066		.050	0.011	.993

Notes: N=35 (PIs). \*p<0.05; \*\*p<0.01; \*\*\*p<0.001. S.D. = standard deviation.

from Anzai, T. et al, *Technovation* 32:345-57 (2012)

# 資料2 どこで創薬がおこるか



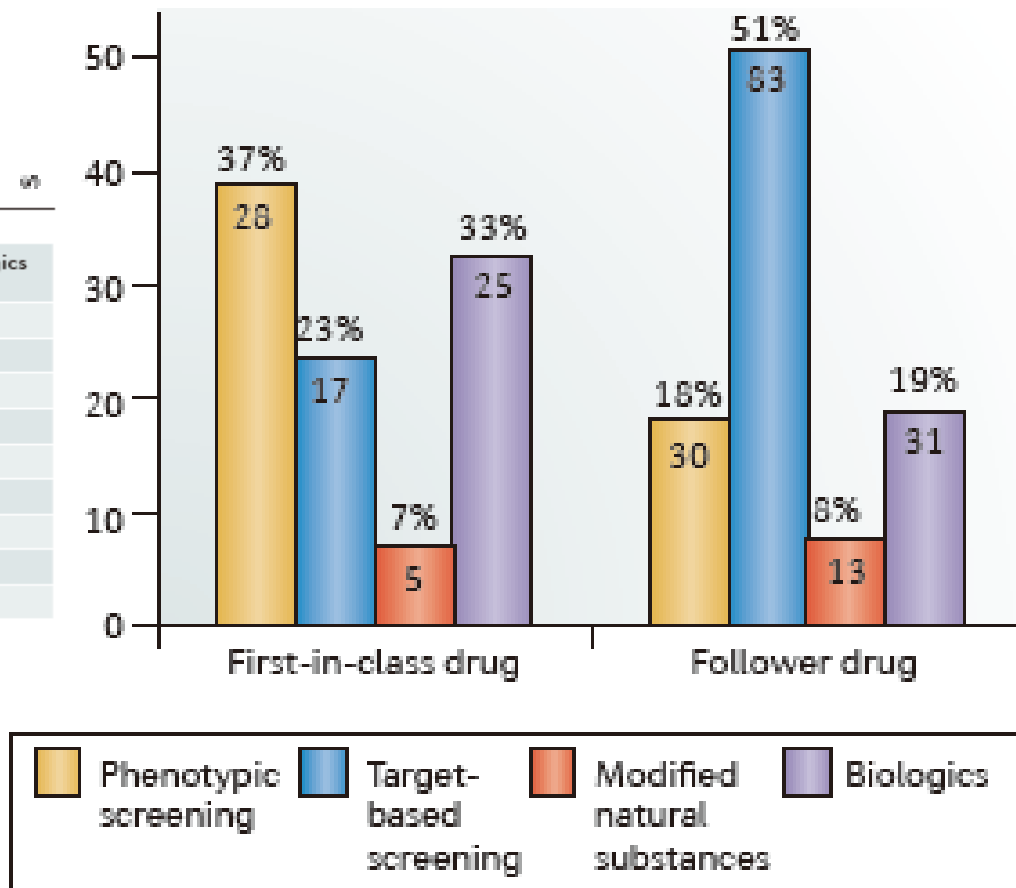
From Kneller, R. *Nature Rev. Drug Discovery*, 9, 867-881, 2010

# 資料3 Phenotypic screening

Table 2 | Discovery of first-in-class NMEs by therapeutic area

Disease area	Target-based screening	Phenotypic screening	Biologics
Infectious diseases	3	7	1
Immune	1	0	6
Cancer	5	3	8
Central nervous system	1	7	1
Metabolic	3	2	2
Cardiovascular	2	3	0
Gastrointestinal	1	1	1
Others	1	3	1
Rare diseases	0	2	5

NME, new molecular entity.



From Swiney, DC and Anthony, J. *Nature Rev. Drug Discovery* 10, 507-519, 2011