

## 1H12 公的研究機関における創薬研究支援の基盤整備に関する検討

○新保 斉（理研），隅藏康一（政策研究大学院大）

### ライフサイエンス研究の出口論について

わが国の科学技術政策における、重要技術分野として、ライフサイエンス、情報通信、環境などの項目が挙げられており、特に、ライフサイエンス研究に関して重点的な予算配分がなされている。

ライフサイエンス研究においては、従前のような小規模で自由度の高い研究体制から、特定の目的・目標を持った大型の研究プロジェクトに重心が置かれつつあり、投資される予算額も巨額なものとなっている。そのため、研究成果もこれまでの学術的な成果とともに、具体的に社会に貢献できる成果が求められている。

ライフサイエンス研究における1つの出口として、「医療・健康への貢献」というものがある。このように、ライフサイエンスは他の工業製品とは異なり、「生命の維持」という質の異なるゴールを設定しているが、一方で、医療費の税負担も社会問題となっており、解決の必要がある。ライフサイエンス研究は、これらの問題に対して、技術革新（イノベーション）による解決策を提供するであろうとの期待が大きい。

そのような中、独立行政法人理化学研究所（以下、理研）は、横浜研究所に、ゲノム科学総合研究センター、遺伝子多型科学総合研究センター、免疫・アレルギー科学総合研究センターなどを設け、ライフサイエンス研究を推進している。また、タンパク3000プロジェクトなど創薬開発等を目指した国の研究プロジェクトの受託研究も実施している。

### 創薬イノベーション技術の展開

このように、ライフサイエンス研究の出口として、医薬の開発がある。これまで治療法が十分になかった疾患や副作用を軽減させた医薬などを開発することができれば、そのインパクトは大きい。ただし、理研のような学術的機関が、医薬ターゲットの選定、化合物の探索・同定、前臨床研究、臨床研究の全ての工程を担うことは現実的ではなく、製薬企業との協働が必須である。

本調査研究では、ライフサイエンス研究に重点を置く、理研のような学術機関において、どのような研究戦略が、より有効な創薬開発に貢献するのかについて、その可能性や問題点を整理してみる。

まず、研究プロジェクトを、特定の医薬開発にフォーカスすることが適当であるか、または、革新的な創薬に関する開発基盤技術を推進すべきか、との議論がある。戦略的な研究プロジェクトにおいて、特定の医薬開発にフォーカスをすると、製薬企業との役割との差別化ができず、公的研究機関の本来的な能力が発揮できにくい。ただし、戦略的なプロジェクトにおいても、医薬ターゲットが明確であり、通常の研究室レベルでの研究において、十分に可能性を支持できる成果があれば、特定の疾患等について、集中的に予算措置をすることは有効と考える。また、一般の製薬企業では採算面から開発が困難であるものの患者ニーズが存在する疾患を対象とすることは、社会的に有益と考える。

前述のように製薬企業との差別化を考えると、「革新的な創薬に関する開発基盤技術」を担うことが、大型の研究プロジェクトを実施している公的研究機関では適当であると思われる。創薬イノベーション技術によ

り、①創薬に関する研究開発のスピードアップ、②開発コストの軽減、③より安全性が向上した医薬の開発、に資することができる考える。

### 創薬イノベーション技術の強みを生かす

創薬イノベーション技術に関する開発は、情報科学、光学、ロボット技術、先端機器開発など他分野の横断的・融合的な技術開発を必要とするので、ライフサイエンス研究以外の技術基盤を有する研究機関が強みを発揮する分野である。

創薬に関する研究開発のスピードアップに資するものとしては、例えば、タンパク質関連分野でのコンピュータ科学による化合物探索（インシリコスクリーニング）、分子イメージングによる薬物動態などある。開発コストの軽減に資するものとしては、コンピュータ科学による化合物の最適化や、モデル動物による試験などが考えられる。創薬の研究開発で最大のコストがかかるのは、臨床試験であるが、遺伝子多型の解析によって、医薬と患者のマッチングなどを図ることができれば、臨床試験のコストの削減とともに、安全性の向上にも資することができるもの考える。

このように、研究所の保有する創薬イノベーション技術は、創薬開発の多くの工程で有益であるものの、これらの技術が、具体的な医薬開発プロジェクトに活用される体制としなければ妥当ではない。

そこで、創薬イノベーション技術を活用して、強みを生かすためには、①個別のイノベーション技術の融合化を進めて、ワンストップでのサービスとなるような体制を構築する、②民間企業をサービス販売の窓口にすることで、民間のマーケティング能力などの活力を活かす、③創薬イノベーション技術の優位性を活かして、ベンチャー・大学からの有望なシーズを取り込むなどの協働体制を構築する、といった施策が必要であろう。

### 創薬イノベーション技術のストーリー性のある展開

創薬イノベーション技術の展開を考慮するにあたっては、具体的なアプリケーションを想定することや、創薬開発の工程のうちのどの部分に寄与をするのかを明確にすることが、重要である。公的研究機関において、民間企業や他の学術機関からの受託研究制度は一般的にはあるが、具体的にどのような開発支援をすることができるのかを明確にしているケースは少ない。理研・播磨研究所では、これまでの受託研究のサービスの質を改善して、「蛋白結晶メールインサービス」を実施している。サービス面においては、どのような能力を有する研究機器を利用して、どのようなデータが得られるか、納期や金額についても一律に明確にした（下図）。

この経験から、創薬イノベーション技術をサービスとして提供する場合には、サービス内容を明確にすることが必要であることが分かった。これまで、産学間の受託研究の阻害要因として、その不明確さや実施の遂行に対する不安感があつたと考えられるが、それを改善するための試みの一つとなるだろう。

次に、「創薬イノベーション技術のストーリー性のある展開」について検討する。例えば、一つの研究機関において、複数の創薬イノベーション技術が散在している場合には、外部から見た場合に、そもそもどのような創薬イノベーション技術があるのかが把握されにくい、との意見が多いことが分かった。また、同時に、複数の技術について、受託研究の申し出をする場合の交渉窓口についても把握しにくい、対応の一貫性がない、との指摘も多いことが分かった。そのための解決策として、「創薬イノベーション技術」をリスト化して、研究機関に散在している技術について、その内容等を整理することが挙げられる。ここでは、一定の質を担保することが重要であり、実質的に創薬開発に資する技術を抽出しているかが、その価値を変動させるものになると考えられる。

そこで、「創薬イノベーション技術」の選定にあたっては、そのサービスの窓口機能を担う企業、製薬企業、専門家等を含む検討グループによる検討を経ることが望ましいと考えられる。

また、単に、複数の技術を寄せ集めて、交渉窓口を明確化するだけではなく、創薬開発の工程との関係やその優位性について説明をするとともに、複数の創薬イノベーション技術同士が時系列的にどのような関係にあるのかを把握した上で、個別のサービスを行うのと同時に、複数のサービスに跨る技術的なシナジー効果を有する融合的なサービスを構築することも必要である。「創薬イノベーション技術」を活用したサービスの射程範囲として、医薬ターゲットの提示を受けてから前臨床研究までは、一連のフローで完結するようなものが望ましいものとする。また、ヒトを対象とした臨床研究についても、PET を利用した薬物動態試験、遺伝子多型解析による副作用を呈する集団の同定など、臨床研究の周辺領域におけるイノベーション技術への期待も大きく、その活用策を最適化するための検討を進めるべきである<sup>1</sup>。

医薬ターゲットの提示を受けてから前臨床研究まで、一連のフローで完結する態様が好ましいのは、擬似的に製薬企業の有する開発工程の多くを取り込むことで、現実的な医薬開発のフローが定着することが予測されるからである。また、この一連のフローについては、1つの研究機関で競争力のある技術基盤を全て整備することは、必ずしも現実的ではないと考えられ、必要に応じて外部リソースとの連携ならびにそれらの取り込みを戦略的に行うことも重要であると考えられる<sup>2</sup>。

#### 創薬イノベーション技術の展開における産学連携策

創薬イノベーション技術は、その性格上、利用されてその価値がはじめて発揮されるので、積極的な利用促進が必要となる。この利用を進めるにあつたての施策としては、上述のもの以外に、マーケティング機能の強化、ならびに創薬イノベーション技術の付加価値の向上があると考えられる。この2つの観点から、研究機関の受託研究のあり方として、従来の委託研究者（製薬企業など）と公的研究機関の2者間の関係の中で行われる形態から、その中間に別の民間企業を活用する形態に変えることで、受託研究というサービス自体も産学連携により実施することを提案している。

この効果として、受託研究というサービスについて、研究機関のリソースを割くことなくマーケティング能力を強化することができる、研究機関の保有する創薬イノベーション技術とシナジー効果のある技術や不足している技術の取り込みができる、という利点があることが分かった。

また、このように、充実した「受託研究」を進めるためのコストについても、特定技術の窓口機能を許諾する代わりに、当該企業から一時金等を得る「企業スポンサー型受託研究」という、新しい態様もあるであろう。これまでの技術移転に関する話題は、特定の技術に着目するものが多いが、いわゆる受託サービスの販売権

<sup>1</sup> PET や遺伝子多型を利用した創薬開発支援は、法規制等との関係も指摘されている。フェーズ0として、極微量な医薬を人体に用いた薬物動態試験（マイクロドージング）を行うことや、治験における試験項目としての遺伝子多型解析の取り扱いについては、検討が進められている。

<sup>2</sup> 前臨床試験については、この機能を研究機関が保有することはコストの観点から、現時点において適当でないと考える。ただし、通常の動物舎を利用しながら、前臨床試験の一部を担うことができるか否かについては、検討項目である。また、「蛋白結晶メルインサービス」では、同様の技術分野の企業を窓口会社としたので、例えば、タンパク質の結晶化の特殊技術を保有する企業との連携を図ることができ、擬似的に研究機関の研究能力が拡大した体制とすることができた。

を民間企業に出していくことは、新しい産学連携のモデルとなると考える<sup>3</sup>。

このように創薬イノベーション技術の利用を進めることは、早急に取り組むべき課題ではあるが、懸念事項もある。理研の経験から、本来的に課せられた研究事業とのバランスについて、懸念する声があることも分かった。これについては、創薬イノベーション技術は利用されることで最適化されるため(これは追跡調査が必要)、本来の研究事業にもポジティブな効果をもたらすと考えられる。また、ベンチャー企業や学術機関に対しては、研究機関がリスクを負う代わりに(コストの軽減)、知的財産等の取り扱いで差別化する契約戦略とすることで、戦略的に医薬シーズの取り込み・連携ができ、革新的な個別研究が開花する可能性も高くなる。

以上のように、本稿では、創薬イノベーション技術に着目して、公的研究機関の取り組むべき内容の検討、ならびに新しい産学連携モデルの提示を行った。

## 民間企業との協働による研究インフラの展開 －インフラの提供から、インフラ活用サービスの展開へ－ －蛋白結晶メールインサービスの開始－

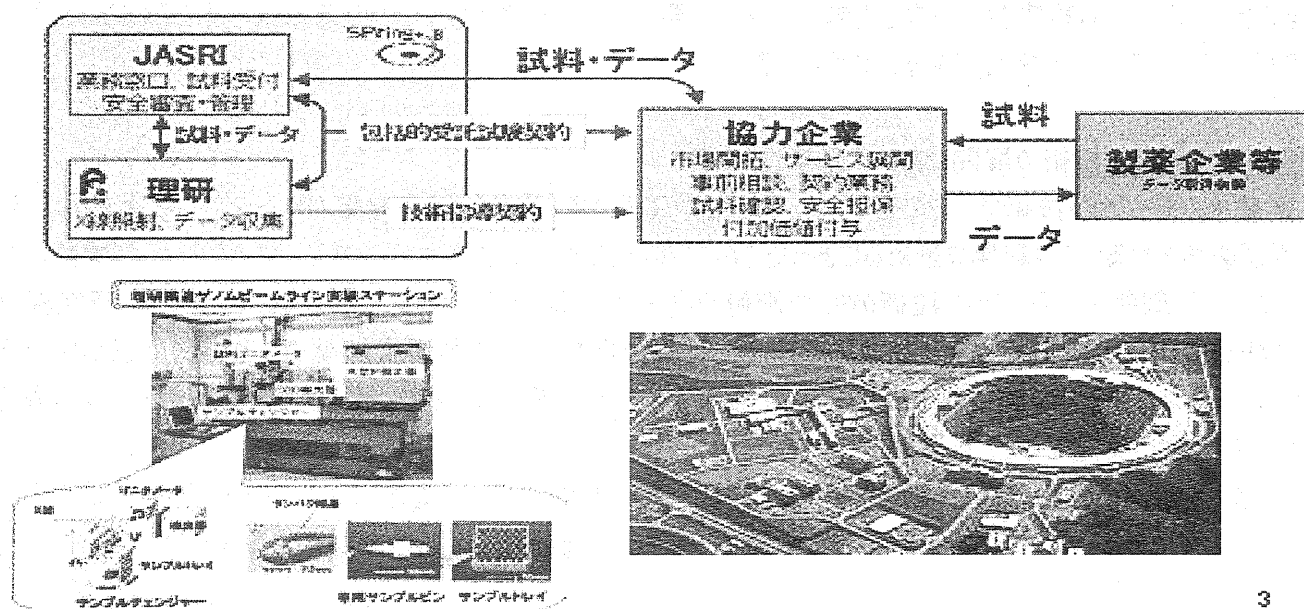


図 産学連携による受託研究の事例。受託研究を実施する研究機関と依頼者である製薬企業等の中間に協力企業を置いたことが特徴である<sup>4</sup>。

<sup>3</sup> このような受託研究の部門は、本来の研究事業と連携しつつ切り離しを行い、スピンアウトさせ、ベンチャー企業化をすることも検討される。研究機関の能力は維持しつつ、その組織のスリム化を図るうえでは、有効な手段でもある。また、昨今のポストドク問題の受け皿としても活用できないかとの意見も多い。反面、研究インフラを利用させることが前提であるので、利益相反といった問題についても検討をしないとしない。

<sup>4</sup> 図は、理研・播磨研究所で行った同事業の説明資料から抜粋した。