

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題**  
**中間評価報告書**

研究開発課題名	革新的な治療薬の創出に向けた創薬ニーズ等調査研究
代表機関名	ヒューマンサイエンス振興財団
研究開発代表者名	高柳 輝夫
全研究開発期間	2017年5月1日～2022年3月31日(予定)

## 1. 研究開発成果

本研究では、アンメットメディカルニーズも含めた医療ニーズ調査と、創薬に関する最新の技術情報の調査について時宜を得たタイミングで実施し、調査結果を財団のホームページを通じて広く発信することにより、我が国の健康と福祉の向上に貢献する医薬品および医療技術の開発促進に寄与することを目的として実施する。研究開発2年度目については、AMEDより追加交付を受け、革新的な治療薬の創出に向けた創薬基盤推進研究事業による研究、官民連携研究にかかる情報発信の充実(テーマ名:創薬基盤推進研究事業に係る情報発信)を目的として創薬基盤推進に向けたシンポジウムを開催した。

医療ニーズ調査1年目は、「60疾患の医療ニーズ調査」で治療満足度・薬剤貢献度ともに低いアルツハイマー病に関し、15名の専門医にADの診断と治療・ケアの現状と課題、その課題を解決するための研究開発の現状と展望および予防医療・先制医療を実現するための社会的取組みをヒアリングした。2年目は、2013年度に実施した「神経疾患に関する医療ニーズ調査」の2回目のアンケート調査を日本神経治療学会と協同で行った。「治療満足度」及び「薬剤貢献度」ともに前回調査(2013年度)より向上し、全体としては医療ニーズの充足傾向が見られるが、「治療満足度」あるいは「薬剤貢献度」が50%以上の疾患数に大きな変化はなかった。一方で、「治療満足度」と「薬剤貢献度」が極めて低い疾患数は前回調査より減少しており、最近の新薬承認を含む医療の進歩が反映された結果を得た。3年目は「60疾患の医療ニーズ調査」の6回目のアンケート調査を準備中である。

創薬資源調査1年目は米・欧の30機関を訪問し、創薬へのビッグデータ・ICT技術の利用、新規創薬モダリティ技術の動向、産学官連携や創薬エコシステム構築等の最新情報を収集した。2年目はPart 1として、国内での創薬研究の技術面の新たな展開について、(1)創薬における、ビッグデータや人工知能(AI)を含むICTの利活用、(2)中低分子化合物と核酸医薬での新たな技術展開(タンパク質分解誘導薬、核酸配列を認識する化合物、分子設計へのAI活用など)、(3)合成生物学およびその関連技術の創薬への活用可能性、の3つの観点から調査を実施した。Part 2として「医療リアルワールドデータの利活用—安全性調査、臨床研究、製造販売承認申請にいかに関与するか」「医療ビッグデータ」「医療リアルワールドデータ(RWD)」「モバイルヘルスデータ」を「医薬品医療機器等の臨床開発や承認申請にどう活かしていくか」に焦点を当て、関連する内容として、MID-NET、クリニカルイノベーションネットワーク、次世代医療基盤法

等に関して専門家へのヒアリング調査を実施した。医療関連の RWD は利活用の目的によって意味が異なり、検討すべき課題も目的や用途によって違うことがより明確となった。RWD を希少疾患からより患者が多い疾患まで対照群として利活用できる産官学での指針と体制作り、モバイルヘルスデータを医薬品医療機器等の開発に活用できる環境醸成の必要性を提起した。

3年目は2回目の国外調査として、再生医療や細胞治療等に関する新規技術、デジタル医療に関する新規技術の欧米の動向について、関連の医療・研究機関、公的団体、企業を訪問調査すべく準備中である。

創薬基盤推進研究事業に係る情報発信については、2年度目のみ追加交付を受けて実施し、日本医療研究開発機構（AMED）創薬基盤推進研究事業について成果の上がっている研究、産学官連携に資する研究を主体に「日本医療研究開発機構（AMED）創薬基盤推進研究事業公開シンポジウム—創薬のための基盤技術研究の推進と産学官連携の必要性—」と題して、公開シンポジウムを開催し、産学官の研究者の対話の場を設定し、研究成果の活用を促進した。

## 2. 総合評価

- ・優れている

### 【評価コメント】

調査対象は医療分野の創薬ニーズに合致しており、得られた調査分析結果をウェブサイトに公開することで有用に活用されており、国内製薬産業に寄与する意義深い研究と思われる。

しかし、将来の医薬品開発に意義のあるアンメットメディカルニーズの抽出や提言に繋がっているかは懸念があるため、医薬産業政策研究所などとも連携し、戦略的な医療技術開発にインプットする視点を持って取り組むこと。また、アンケート調査への回答率の低下については対策を検討する必要がある、報告書の利活用のフォローアップを行うとともに、活動内容や調査結果については学会や国際誌への発表も視野に入れ研究活動を進めること。

以上