

MCMエコシステムにおける治療薬 及び診断薬等の研究開発の 基本的考え方に関する調査

調査報告書

MAR 2025



MCMエコシステムにおける治療薬及び診断薬等の研究開発の基本的考え方に関する調査結果 概要

我が国の感染症研究の現状

- 感染症関連、特に重点感染症を対象としたパイプラインは少
- その背景に感染症シーズ自体の少なさ、および**資金・研究人材・ノウハウ**の不足、**データや設備**といった研究基盤の整備が不十分であることが挙げられる



我が国が目指す姿

- **短期的**には、海外シーズと連携した喫緊のパンデミック対応を進めつつ、国内シーズ創出に向けた基盤を整備
- **中長期的**には、上記で培った知見・研究基盤を活用して我が国発のシーズの創出を目指す

研究開発の基本的考え方

支援方策の考え方

プッシュ型・プル型支援

- 感染症の研究開発が少ないうちは、アカデミア/メーカーにとって利便性のあるプッシュ型を優先整備
- 感染症研究が一定隆盛した段階で、サブスクリプションモデルを中心としたプル型支援へとシフト

研究段階に応じた研究開発支援

- 海外の感染症特化型アクセラレーターと連携して、企業化・事業化段階の支援を強化
- 臨床段階の支援に向けて、官民ファンドの組成や、海外ファンディングエージェンシーや基金と連携

研究開発基盤の整備

- **情報基盤**: 治療薬候補化合物をスクリーニングし我が国独自のライブラリを構築
- **研究・製造設備基盤**: 有事に向けてCRO・CDMOの情報を一元管理。中長期的には公的委託の集約化や官民共同でのライン投資も視野に

国際連携

- 海外アクセラレーター・ファンディングエージェンシー・基金と連携し、資金のみならず研究/事業ノウハウを活用

対象研究・優先度の考え方

各治療薬の研究開発

- **疾患**: 脅威度が高くかつ既存対策では抑制しきれない疾患から優先して国内外シーズの支援を強化 (SFTS、エンテロウイルス等)
- **技術**: 抗体医薬を中心とした新規モダリティ、および広域スペクトラム治療薬の研究、In-silico/ AI創薬技術を支援
- **開発目標**: 平時はPhase2を目指し、有事に緊急開発に移行できる状態へ

各診断薬の研究開発

- **POCT・迅速検査**: 我が国への脅威度(疾患負荷・蔓延可能性)が高く、早期の特異治療もしくは隔離が必要な疾患について優先的に開発
- **供給体制**(製造・調達): 平時からのサプライヤーの情報管理に加え、マルチソース化などのリスク対応を支援

調査結果まとめ: 短期的には海外シーズを活用した備えを実施しつつ国内研究開発の体制を整備し、中長期的な国内からのシーズ創出を目指す

MCM研究開発の基本方針実現に向けた短期/中長期での取り組み (案)



短期: 喫緊のパンデミック対応の実施・国内シーズ創出に向けた体制構築

- ① 官民ファンドの組成による国内外投資の拡大 (特に海外シーズとのリレーション構築)
 - ・ メーカー等と連携し、海外シーズへの出資を通じて有事に相談・交渉可能なリレーションを構築
- ② 中長期での感染症研究の底上げに向けた研究開発の支援体制整備
 - ・ シーズ創出に向けたケイパ向上/アクセラレーションプログラムやデータ等を整備
- ③ 国際基金を中心とした国内シーズの支援体制の整備
 - ・ 国際基金への国内シーズのマッチングを支援し、基金からの研究資金を確保
- ④ 次なるパンデミックに向けた緊急での国内開発・供給体制の整備



中長期: 我が国発のシーズの創出

- ⑤ 我が国発の治療薬候補・シーズの創出
 - ・ 左記プログラムを活用し、国内研究者により各疾患への治療薬候補を複数創出 / バイオインフォマティクス・AIを活用した創薬研究で諸外国に比肩
 - ・ 上記研究開発に対し、我が国のみならず海外からも資金を獲得
- ⑥ 国際基金からの支援を活用した我が国発の治療薬候補・シーズの創出
 - ・ 我が国としての出資を適正にしつつ、グローバルヘルスに貢献するパイプラインを輩出
- ⑦ 平時の事業活動も見据えて開発・供給体制を最適化

Agenda

- A. 平時と危機時のMCM研究開発の考え方
- B. 現時点での重点感染症に含まれる各感染症に対する、プッシュ型研究開発支援とプル型研究開発支援の考え方
- C. 重点感染症に含まれる各感染症に対する、MCM治療薬等の研究開発目標
- D. 開発段階に応じた研究開発支援の考え方
- E. MCM治療薬等の研究開発を可能とする研究開発基盤の考え方
- F. 現時点での重点感染症に含まれる各感染症に対する、国際連携の考え方
- G. 治療薬・治療法の考え方
- H. 診断薬・診断機器の考え方

A. 平時と危機時のMCM研究開発の考え方サマリー (1/2)

- 1 我が国では令和3年に重点感染症を定義し、そのMCM確保を図っている。一方で足許の国内における感染症関連パイプライン数は55本程度と少なく、またその対象も途上国支援の観点が強く、重点感染症への備えとしては盤石でないと危惧される
- 2 その背景にあると考えられる課題、ならびにその課題解決に資する可能性のある機会について、シーズおよびその研究促進に必要な資金・人材・データ・設備および制度の6つの観点から調査を実施した
 - 2-1 **シーズ:** 国内では感染症注力メーカーさえも次なる投資先の探索に苦慮。一方でグローバルにはウイルス治療薬の採算性の高さが示されつつあり、また米・英国ではPrototype Pathogensに対する研究推進・シーズ創出が促進
 - 2-2 **資金:** AMEDでも既存の枠組みはあるものの資金的制約によって臨床段階までの支援が困難。また多くの日系メーカーが採算性の悪さから感染症を注力分野から外し、臨床段階における資金拠出の担い手とならなくなっている。米英国の政府系機関および民間ファンドとの共同投資の可能性を探ることで補完できる可能性
 - 2-3 **人材:** 上記のような資金状況から、研究者の中で相対的に感染症領域の魅力度が低下し、メーカーにおいても感染症分野の知見を有する人材が限定的。また創薬ブースター事業にてコーディネーターが支援するも、AMED内のリソースが律速となって丁寧な伴奏や事業化のアドバイスまでは難しい状況
 - 2-4 **データ:** 我が国の感染症領域の研究は発達しているとはいえず、ライブラリ構築や(感染症に限らないが) AI/データサイエンス人材獲得で後れ。欧米中心としたAI活用の隆盛にいち早くキャッチアップする機会を持つ必要
 - 2-5 **設備:** BSL-3以上の施設は既存事業で稼働率は高く、有事で委託ニーズが急増しても人材・設備を即座に立ち上げるオペレーションレディネスがどのCRO・拠点にもある状況ではない。同様の状況がCMOにも当てはまる状況米国でのSouthern Research等の事例に鑑み、成長産業であるCRO/CDMOへの政府投資による共同設備立ち上げの可能性は検討余地あり
 - 2-6 **制度:** 上記のような資金状況から、メーカー側が感染症領域への注力意向は低く、“前払い”かつ中長期の政府のコミットがなければ注力しにくい

A. 平時と危機時のMCM研究開発の考え方サマリー (2/2)

- 3 これらを踏まえると、平時には従来進めてきた研究支援に加え、研究開発環境の整備も並行して行うべきであるとする。具体的には基礎研究から臨床後期までを継続して支援できるよう、多様なパートナーと連携した体制を構築することが必要ではないか
- **次なるパンデミックに備えた治療薬候補となる海外シーズとのリレーション構築:** 国内メーカーと連携してファンドを組成し、海外における有力なシーズへと投資して有事に連携できるようなリレーションを構築
 - **アカデミアによる基礎研究の支援体制整備:** 海外プレイヤーと連携して感染症向けアクセラレーションプログラムを国内でも展開。また人材開発のために海外研究機関への留学支援も充実化
 - **国際基金を中心とした臨床段階の支援体制の整備:** ゲイツ財団など国際基金への国内シーズのマッチングを支援し、共同出資の中で基金からの研究資金を確保
 - **緊急開発・供給が可能な状態の整備:** CRO/CDMOのキャパシティ・対応可能な製造・試験に関する情報を一元管理し、有事において早期にアクセス可能な状態を担保
- 4 また上記の平時対応を踏まえ、有事においては平時に進めたシーズを速やかに開発・上市できるよう体制構築を進めることが肝要
- **出資先の有望海外シーズとの迅速な交渉・国内開発への着手:** 出資ネットワークを元に海外シーズを探索し、国内開発・供給を交渉。また共同出資メーカーとの連携で国内開発に早期着手
 - **国内の有望シーズへの緊急出資による迅速な治療薬開発:** 平時から育成したシーズ候補を探索の上緊急出資し、開発を推進。またIn-silico研究技術や構築済みのデータライブラリを活用し、最速で治療薬候補を探索
 - **CRO/CDMOキャパの確保:** 平時に構築したCRO/CDMOネットワークを活用し、活用可能なキャパ・技術を早期確保。またCRO/CDMOに出資して行政向けにフレキシブルに活用可能なライン構築も検討を進める
 - **機動性の高い臨時資金提供の実行:** 平時に確立した臨時資金提供の枠組みを活用し、上記のような有望シーズやCRO/CDMOに出資

2 我が国での感染症領域の研究開発促進に関する現状の課題と機会を、6つの観点で検証



シーズ

- 対象疾患の**治療薬候補**はどの程度有しているか
- 有事にはその**候補を我が国向けに割り当て**可能か



資金

- シーズ育成・治療薬開発に足る**資金額**が投下されているか
- その**資金配賦**は適切か (疾患・技術・機関別など)



人材

- 感染症研究を行う**人材の数・質**はそれぞれ十分か
- ステージ・領域別にはどうか(非臨床/臨床/商用等)



データ/AI

- 効率的・効果的な研究を支援する**データ提供**ができているか
- 特に近年成長を見せる**AI創薬等の活用**はなされているか



設備
(特に試験・製造)

- 有事の際に**治療薬候補を緊急で**臨床開発・商用生産する体制**は整っているか



制度・規制

- 平時・有事それぞれ**で感染症の研究開発を促進できるような制度になっているか

3 基礎研究~臨床後期までを継続支援できるよう、多様なパートナーと連携した体制を構築

課題・機会を踏まえた、研究開発推進に向けた平時の対応方針案

現状課題

- 1-A 感染症注力メーカーも、次なる投資先の探索に苦慮
- 2-C 国内メーカー一般としては感染症全般への投資優先度は低い
- 3-A アカデミア・メーカー双方とも研究者数・ケイパビリティは不足
- 3-B 特に起業・商用化段階の開発推進/支援リソースに課題
- 4-A 我が国として利用可能なライブラリは未整備
- 4-B 創薬研究に携われるAI/データサイエンス人材が不足
- 2-A 現状のAMEDプログラムではPre-clinical以降の支援が困難
- 2-B 有事の際の臨時資金の枠組みがなく機動性が不足
- 5-A 有事の際に捻出可能な試験/製造キャパシティは不足

平時の対応方針案

- ① 次なるパンデミックに備えた治療薬候補となる海外シーズとのリレーション構築
 - 国内メーカーと連携し、海外シーズへの出資を通じて有事に相談・交渉可能なリレーションを構築
- ② 中長期での感染症研究の底上げに向けた、研究開発の支援体制整備
 - シーズ創出に向けたケイパ向上/アクセラレーションプログラムやデータ等を整備
- ③ 国際基金を中心とした国内シーズの支援体制の整備
 - 国際基金への国内シーズのマッチングを支援し、共同出資の中で基金からの研究資金を確保
- ④ 緊急開発・供給が可能な状態の整備
 - 有事に相談可能なCRO/CDMOネットワークを整備しつつ、キャパ・ケイパ両面でのオペレーションレディネスを醸成
 - 有事を想定した機動性の高い臨時資金提供の枠組みを確立

今後の機会

- 1-a 米国・英国でのPrototype Pathogensに対する研究推進
- 1-b ウイルス治療薬の採算性の高さ
- 2-a 米国・英国での共同投資可能性
- 2-c 将来的な海外からの日本の研究開発への投資可能性
- 2-d 他への応用機会も加味した、ウイルス関連分野へのメーカーの投資可能性
- 3-a 感染症専門アクセラレーターの隆盛
- 4-a 欧米中心とした創薬分野でのAI活用の活発化
- 2-b 民間インパクトファンド/BMGFとの共同投資の可能性
- 5-a 政府との共同設備立ち上げの可能性

4 有事においては、平時に進めたシーズを速やかに開発・上市できるよう体制構築

治療薬研究開発の支援スキームを通じた、平時・有事の対応方針



平時の研究開発推進

① 次なるパンデミックに備えた治療薬候補となる海外シーズとのリレーション構築

- 国内メーカーと連携し、海外シーズへの出資を通じて有事に相談・交渉可能なリレーションを構築



② 中長期での感染症研究の底上げに向けた、研究開発の支援体制整備

- シーズ創出に向けたケイパ向上/アクセラレーションプログラムやデータ等を整備



③ 国際基金を中心とした国内シーズの支援体制の整備

- 国際基金への国内シーズのマッチングを支援し、共同出資の中で基金からの研究資金を確保



④ 緊急開発・供給が可能な状態の整備

- 有事に相談可能なCRO/CDMOネットワークを整備しつつ、キャパ・ケイパ両面でのオペレーションレディネスを醸成
- 有事を想定した機動性の高い臨時資金提供の枠組みを確立



有事の緊急対応

出資先の有望海外シーズとの迅速な交渉・国内開発への着手

- 出資ネットワークを元に海外シーズを探索し、国内開発・供給を交渉
- 共同出資メーカーとの連携で国内開発に早期着手

国内の有望シーズへの緊急出資による迅速な治療薬開発

- 平時から育成したシーズ候補を探索の上緊急出資し、開発を推進
- In-silico研究技術や構築済みのデータライブラリを活用し、最速で治療薬候補を探索

CRO/CDMOキャパの確保

- 左記ネットワークを活用し、活用可能なキャパ・技術を早期確保
- 平時に国から支援を実施していたCRO/CDMOでキャパを捻出し、国の求めに応じて必要な試験/生産を実行

機動性の高い臨時資金提供の実行

- 左記で確立した臨時資金提供の枠組みを活用し、上記のような有望シーズやCRO/CDMOに出資

B. プッシュ型・プル型研究開発支援の考え方サマリー

B-i. 現時点での重点感染症¹に含まれる各感染症に対する、プッシュ型研究開発支援とプル型研究開発支援の考え方

- 1 制度上の支援の方向性には、平時での開発促進としてのPush型・Pull型支援と緊急時の開発早期化の2つが存在している
- 2 諸外国の取り組みを見ると、英国・スウェーデン等ではPull型・開発早期化を中心とした支援を足許では進めていることが確認できる。具体的にはサブスクリプション契約による一定額の支払いを継続するモデルの導入、および緊急時の臨床試験デザインの優先相談対応や緊急承認などを整備している。
- 3 我が国でもこれらの方針と同様に、AMRでサブスクリプションモデルの試行や新型コロナを機とした緊急承認を実現している
- 4 しかしながら国内メーカーの状況をヒアリングすると、現状の収益構造では感染症への注力は難しく、多くの会社が社内の感染症チームも縮小・解体している状況となっており、研究開発支援の方針としてもPull型ではなく、研究開発資金の提供といったPush型の支援が強く求められている。今後に向けては、基金での支援期間の延長や事業化の状況に応じて借入返済を変動させるといった感染症研究にあった支援モデルの構築が必要ではないか

B-ii. 将来追加される重点感染症にも適用できる、重点感染症に対するプッシュ型研究開発支援とプル型研究開発支援の考え方

- 5 短期ではPush型の必要性が高いものの、経済的に持続可能なエコシステムを構築するためには、将来的にはPull型への切替を考えていくことが求められる。特にサブスクリプションモデルの充実化・強化はこの目的に合致したオプションであると考え
- 6 上記のように我が国でのアカデミア/メーカーでの感染症研究の知見が不足しているうちは、その隆盛を先行して担保するものとしてPush型支援を軸に実施し、一定の研究/パイプライン数やスタートアップ数が見込めた段階で、サブスクリプションモデルを中心としたPull型中心の支援へと移行することが望ましいと考える

1. 重点感染症暫定リストのGroup B, Dの感染症を中心として想定

1 制度上の支援の方向性には、平時での開発促進と緊急時の開発早期化の2つが存在



平時での研究開発促進

Push型インセンティブ

Pull型インセンティブ



緊急時の開発早期化

概要

- 研究開発を実施するにあたってのリソースの提供等を行うことで、研究開発への取り組み自体へのインセンティブを提供
- 研究開発成功した場合の上市・利益獲得に向けた支援を行うことで、間接的に当該領域での研究開発にインセンティブを提供
- 緊急時に向けた国際協調された臨床試験緩和ルールを策定し、緊急時はその実行により早期承認を実施

支援事例

- 官民パートナーシップ
- 公的ファンド
- グラント・研究開発減税
- 優先相談・審査
- 薬価優遇
- 特許・販売独占機関の延長
- 優先審査バウチャーの提供
- 事前買取/サブスクリプションモデル
- 少症例数/RWDデータでの承認
- 承認プロセスの簡素化・優先審査
- 再審査を前提とした条件付き承認

詳細次頁

- 2 英国・スウェーデン等ではサブスクリプション契約による一定額の支払いを継続するモデルを
3 導入しており、わが国でも類似のモデルを試行中



英国: Antimicrobial products subscription model



スウェーデン: delinked incentive model



日本: 抗菌薬確保支援事業

概要

- 対象の抗菌薬について、抗菌薬の使用量ではなく、NHSに対する価値に基づいて抗菌薬の年間固定料金を企業に支払い
 - 上記により企業の開発インセンティブを引き出すとともに、画期的な抗菌薬の適正使用を支援し耐性菌の出現を抑制
- 年間の買取最低額を設定し、それより販売額が下回った場合は政府より差額を補填
 - 最低額より販売額が多い場合は、企業はその分の収益も獲得可能
- 企業が国の薬剤耐性対策(販売量の適正水準維持)に協力することで生じる減収に対して、一定額を国が支援

支援対象の製品例

- フェトロージャ(塩野義)
 - Zavicefta/Avycaz(ファイザー)
- フェトロージャ(塩野義)
 - Zerbaxa(MSD)
 - Recarbrio(MSD)
 - Vabomere(Rempex Pharma)
- フェトロージャ(塩野義)

Source: エキスパートインタビュー

- 2 欧米では緊急時の臨床試験デザインの優先相談対応や緊急承認を予め制度化し、
3 新型コロナの際もワクチン/治療薬の緊急承認を実現。わが国でも緊急承認制度を試行中



米国

臨床試験上の緩和

- 新型コロナにおける臨床試験ガイドラインを(他国に先駆けて)発行
- 臨床試験デザインに関する優先相談対応を実施



EU

承認申請上の緩和

- 緊急使用承認の前から、Pre-EUAとしてFDAと議論しデータレビュー等を実施
- ただし、EU/日本と異なり「使用許可」であって「承認」ではない

- EMAによる臨床試験デザインに関する優先相談対応を実施

- 申請内容の優先レビューによる承認期間の短縮・緊急承認を実現
- 試験進行中の段階から順次データレビューを行う"Rolling review"プロセスにより、上記の実現に貢献



日本

- 新型コロナを機に緊急承認制度を施行し、臨床試験優先相談や、臨床試験届け出後30日を待たずに開始可能とする緩和ルールを実施

- 申請内容の優先レビューや、事前相談における実質的な資料評価を実施

4 他方でメーカーからの意見としては、現状の収益構造では感染症への注力は難しく、Pull型ではなく強力かつ中長期のPush型支援がなければ取り組みは難しいとの意見

メーカーインタビューまとめ

現在の感染症 領域の状況

- 抗菌薬・抗ウイルス薬ともに、**足許の市場環境・収益構造では注力が難しい**という声大きい
 - mRSAやAMRでのメディカルニーズは残る一方、多くの細菌性感染症は既存の治療薬で対応できる認識
 - 従来アンメットニーズが大きかったC型肝炎やHIVでの治療法が確立されつつあるため新たな成長領域が見えにくい中、次なる感染症に向けた研究は考えるものの、予見性が低く優先できない
 - このため多くの国内ファーマで研究所の感染症チームは解体/数名程度の状況
- 感染症注力メーカーでさえも今後の重点領域を定められていない状況であり、更には国内でのシーズだけでは厳しいという見立てから、海外のシーズ探索も視野に入れることを検討中

今後の感染症 領域への注力に 向けて必要な事項

- 今後注力するためには政府支援が重要であり、かつ**プル型ではなくプッシュ型での資金援助がマスト**
 - プル型で企業側に初動の負担が求められる形では、今のゼロに近い研究状況から立ち上げるインセンティブにならない。**プッシュ型かつ中長期にわたって政府が特定疾患にコミットすることが必要**との意見(バウチャーや優先審査も"あればよい"の位置付けであり、それだけではモチベーションとなりにくい)
 - AMRでは既にPull型支援が存在するが、**諸外国の支援額やその研究開発への投資額に比べると、Push型支援含めまだ不足している印象**
- **アカデミア・ベンチャーがPoCまで進め、その後でメーカーが引き取って開発するという流れを作ることが必要**
 - 現状のリソース・ナレッジではメーカーとして感染症領域で探索・創薬から実施するのは困難



我が国でのアカデミア/メーカーでの感染症研究が隆盛するまでは、Push型支援を軸に考えていくべきではないか

Source: エキスパートインタビュー

今後の重点感染症に対する プッシュ型研究開発支援と プル型研究開発支援の 考え方(案)

我が国でのアカデミア/メーカーでの感染症研究の知見が不足している
うちは、その隆盛を先行して担保するものとしてPush型支援を軸に実施

- 重点感染症リストで定めた感染症のうち特に優先する疾患
(次章以降参照) については、中長期の支援機関を前提にPush型
支援を提供
- 既存の抗菌薬に対するPull型支援については、その実使用状況も踏
まえながら支援額の調整にフォーカス

中長期的に、アカデミア/メーカーでの感染症研究の知見が集積した段
階で、順次型Pull型支援を拡充し効率を向上

- 特にサブスクリプションモデルの採用により、優れた研究/パイプラインへ
の手厚い支援と経済的持続可能性を両立

C. MCM治療薬等の研究開発目標サマリー

C-i. 現時点での重点感染症¹に含まれる各感染症に対する、MCM治療薬等の研究開発目標

- 1 研究開発目標の設定においては、ターゲットとするべき感染症はどれか、また平時においてどこまでの研究開発段階(フェーズ)まで進展させるかの2つを明確化する必要。前者のターゲットについては、個別感染症の特性や我が国の状況を踏まえて定義することが求められることから、以下の3つのクライテリアを用いて評価を行った
 - **我が国への脅威度:** 患者に対する疾患負荷・我が国での蔓延可能性(感染経路を加味した将来の可能性含む)
 - **治療薬・ワクチンの利用可能性:** 十分有効かつ調達可能な既存治療薬・ワクチンが存在するか
 - **新規治療薬の開発可能性:** 上記がない場合、既存パイプラインは存在するか、将来研究によって創出可能か
- 2 評価の結果、現時点の重点感染症のうち、SFTSやエボラ出血熱、エンテロウイルス等は特に我が国への脅威度が高くかつ既存対策での抑制が困難と見込まれる。これら疾患から優先して臨床段階のパイプラインを確保できるよう備えを進めることが考えられる
- 3 後者の目標とする研究開発段階について、新型コロナでの他国の事例を見ると、Phase2前後まで予めいくつかのパイプラインを進めていたことで、パンデミック後に速やかな上市を実現できていた。我が国においても、既に緊急承認制度が導入されていることから、Phase2をターゲットとすることで有事に向けた迅速な対応が可能となるのではないかと

C-ii. 将来追加される重点感染症にも適用できる、重点感染症に対するMCM治療薬等の研究開発目標

- 4 新型コロナのように、今後も新たな感染症が発生し、我が国としての研究開発の優先度を定義する必要があることが見込まれる。その際には、今回定義した以下3つのクライテリアから優先度を評価することが望ましいのではないかと
 - **我が国への脅威度:** DALYs・致死率、国内・諸外国感染者数、感染経路・再生産数
 - **治療薬・ワクチンの利用可能性:** 国内・海外におけるワクチン・治療薬の有無およびその有効性・供給状況(国内生産か否か、確保済みか)
 - **新規治療薬の開発可能性:** 国内・海外におけるパイプライン数、既存の治療薬の転用可能性有無、国内における論文数

1. 重点感染症暫定リストのGroup B, Dの感染症を中心として想定

1 各重点感染症に対する治療薬研究開発の優先順位を、3つのクライテリアによって検討



1 我が国への脅威度

病原体のインパクト

- 感染した場合の重篤度や、感染拡大による社会活動へのインパクトはどの程度か

我が国での感染可能性

- 現状、我が国および諸外国ではどの程度感染者がいるか
- 感染経路に鑑みて、我が国での蔓延可能性はどの程度あるか



2 治療薬・ワクチンの利用可能性

- その病原体に対する有効な治療薬・ワクチンおよびパイプラインが我が国に存在し、予防・治療が可能であるか
- それらは調達・確保可能な状態であるか



3 新規治療薬の開発可能性

- 治療薬がない場合、ほかの既存治療薬やパイプラインの転用の可能性はないか
- 我が国での研究状況に鑑みて、そのような転用研究が実施できそうか (= 国内研究はどの程度盛んか)

2 評価結果に基づいて、我が国への脅威度が高くかつ既存対策では抑制しきれない疾患から優先して、国内外それぞれでの研究開発による備えを進めていくべきと考える

クライテリアによる評価を踏まえた対応方針案

1 脅威度 x 2 治療薬・ワクチンの利用可能性による評価

1 我が国への脅威度

大

小

既に我が国では感染抑制への備えがなされている疾患

- 検疫等の対策や既存治療薬・ワクチンが奏功してきた疾患であり、まずはこれらを継続
- 新規治療薬開発への支援は、我が国の安全保障の観点では積極的には実施しない(国内に有望なシーズがあれば、関心のある海外機関に紹介し効率的に支援)

脅威度が高く、かつ既存対策では感染抑制しきれない疾患

- 検疫・隔離や既存治療薬・ワクチンでの感染抑制は難しいため、新規治療薬の開発が必要
- そのために、有望パイプライン/シーズの商用化を見据えて積極的に支援

脅威度は相対的に低い、引き続き備えが必要な疾患

- 国内外の研究開発の機会を探索し、有望なシーズが見つかった場合には支援する

有効性に優れた治療薬・ワクチンが利用可能な状態

既存治療薬・ワクチンでの備えは十分でない

2 治療薬・ワクチンの利用可能性

3 新規治療薬の開発可能性による評価

我が国でのシーズ育成による対応が一定期待できる疾患

- 国内の有望なパイプライン/シーズの商用化に向けて、積極的に支援

我が国での対応は容易でなく、海外連携が必要な疾患

- 海外機関との連携により有望シーズへのタッピングを早期に実施
- 並行して国内でのシーズ確保に向けて支援を実施

4 将来的な新たな重点感染症の指定の場合にも、3つのクライテリアに基づいて具体的に優先度・対応方針を評価

3つのクライテリアに基づく各感染症の評価方法

3つのクライテリアに基づく各感染症の評価方法				
1 我が国への脅威度		治療薬・ワクチンの	新規治療薬の	
病原体のインパクト		2 利用可能性	3 開発可能性	
我が国での感染可能性				
評価の考え方	感染した場合の重篤性から見てインパクトを評価	現在国内感染が広がっているかを評価した上で、まだ国内で広がっていない場合には感染症の輸入リスクがどの程度かを評価	ワクチン・治療薬が存在するか、それは十分な有効性を持つか、供給可能な状態にあるかを評価	特に治療薬/ワクチンの利用可能性が担保されていない場合、既存の治療薬や研究データの活用可能性を評価
評価項目	- 重篤性: DALY・致死率 - 可能な場合はDALYを参照するが、難しい場合は致死率にて代替	- 国内感染者数 - 海外における感染状況 - 感染経路 - 再生産数	- 国内/海外におけるワクチン・治療薬の有無 - 上記の有効性 - 上記の供給状況（国内生産か否か、確保済みか）	- 既存の治療薬の転用可能性有無 - 国内における論文数
スコアリング詳細	- 大: 致死率10%以上 - 中: 致死率1~10% - 小: 致死率1%未満	- 大: 国内ですでに蔓延 - 中: 国内での蔓延には至っていないが、ヒト-ヒト感染や節足動物媒介など輸入・拡大リスクが存在 - 小: 国内での感染例はなく、感染経路を踏まえても輸入リスクが低い/世界的に終息	- 低: ワクチン・治療薬は海外含めでも現時点で存在せず - 中: 既存ワクチンor治療薬は存在するが、国内での確保に懸念（未承認/国内生産でない）もしくは有効性が十分とはいえない - 高: 既存ワクチンor治療薬が存在し、確保可能（国内メーカー生産もしくは備蓄済み）かつ有効性に優れる	- 低: 転用可能な治療薬・パイプラインが存在せず、研究開発の土台となるデータの蓄積も不十分 - 中: 転用可能な治療薬・パイプラインは存在しないが、多数の既存研究(100件/5年)が蓄積されている - 高: すでに国内承認済みの治療薬が転用可能、もしくは我が国でパイプライン(Ph1以降)が存在

Note. 国内研究論文数は、疾患毎に対応するMeSH Termを含み、かつAuthorに国内研究機関に所属する研究者を含むPubMed掲載論文数を、2020-24の間で集計

D. 開発段階に応じた研究開発支援の考え方サマリー

- 1 現状の開発段階別の支援においては、資金・ノウハウの面で課題があると考えられる
 - 資金面: いずれの開発段階においても、感染症領域での研究開発向け資金は十分ではない。とりわけ非臨床段階まではAMEDでも各種支援制度があるものの、Phase1以降で一定規模の資金が必要な段階を支援できるような枠組みは限られている
 - ノウハウ: AMEDで伴奏支援を行っているが、リソース上の制約から潤沢に指導・支援が行えているわけではない。特に研究開発が進んで企業化/事業化の段階になった際に、ビジネス素面からのアドバイスが十分に行えていないという課題がある
- 2 これらの課題に対し、これまでのように公的/国内のリソースだけで支援を強化することは難しいと想定される。他方、グローバルに目を向けると、様々なステークホルダーが感染症研究における各種のテーマ・段階を支援していることがわかる
 - 2-1 **海外政府機関:** NIH/NIAIDやBARDA等は重点感染症領域および国内開発への資金拠出の実績を保有。AMEDとの共同投資に対しても、支援額の増加及び日系メーカーとの開発連携が模索できることからポジティブとの意見もあり
 - 2-2 **アクセラレーター:** 主要な感染症治療薬分野のプログラムでは、既にスタートアップ中心に臨床・製品化に向けた研究戦略・デザイン設計まで支援を実施
 - 2-3 **民間インパクトファンド:** これら組織は感染症分野に関わる企業への投資もこれまで実施しており、今後も投資意向はある
- 3 これらを踏まえると、資金面では海外の政府機関や民間のインパクトファンド、ノウハウ面では感染症に特化したアクセラレーターとの連携を強めることで、各段階での支援の充実化を図ることがよいのではないかと考えられる。この方針は、創薬力構想会議の中間取りまとめでも掲げられている「海外の実用化ノウハウを有する人材や資金の積極的な呼び込み・活用」とも合致

E. 研究開発を可能とする研究開発基盤の考え方サマリー

- 1 研究開発基盤には、大きく研究開発に活用するためのデータ・情報としての基盤、および研究・製造設備としての基盤の2つが含まれる。いずれについても、欧米と比較すると我が国の基盤は盤石ではないと考えられる
 - **データ・情報としての基盤:** 他国では感染症研究のために、細菌・ウイルス関連のライブラリや化合物ライブラリを公的資金を投じて構築している。またAIを活用した創薬研究も支援を行っている。我が国では感染症分野の化合物ライブラリは未整備であり、AI創薬についても製薬メーカー含めて十分に進んでいない状況
 - **研究・製造設備としての基盤:** CROやCDMOにおける試験・製造キャパシティは既に高稼働な状況であり、また感染症領域に詳しい人材が不足しているためにオペレーションレディネスにも懸念がある。他方で他国、特に米国ではSouthern Research等の政府系研究機関に平時から一定の委託を行うことで、有事の試験・製造キャパシティの担保に成功している
- 2 AI創薬については、実際に新型コロナ時に抗体カクテル療法がAIによって見出されるなど、今後の期待度が高い。このため**データ・情報としての基盤**は、緊急時における治療薬等の候補候補化合物の速やかな抽出・研究促進に向けて、平時からその候補となる化合物をスクリーニングし我が国独自のライブラリ構築を目指すべきではないか
 - 多大、現状ではライブラリを構築するだけの十分なデータがない懸念もあり、まずはフィジビリティ検証および活用方針の仮説構築に向けた調査・分析を進めることが肝要
- 3 **研究・製造設備としての基盤**については、設備投資などに一定の期間を要するため、短期的な拡充は難しい。このため、まず短期的には国内CRO・CDMOの設備/稼働状況を取りまとめ、有事に委託先を早期に探索できる状態とするべき。また中長期的には、公的な研究を一部のCROへ集約してプリファード化することや、官民の共同投資で試験・製造ラインを構築することで、フレキシビリティのあるキャパシティの確保を目指すことがよいのではないか

3 有事の治療薬増産体制に向けて、各メーカーの生産キャパシティやスペシャリストの状況を平時から国が主導して把握し、有事のメーカー間連携に備えることが必要

パンデミック時の治療薬増産対応の要諦

平時の製造キャパシティ

- 通常時には、製造能力にパンデミック対応用の余力を確保しているわけではない

グローバルな生産ネットワーク

- 各メーカーは、平時からグローバルで広範な生産ネットワークを構築しており、緊急時に活用する

生産技術の連携

- 有事には、各メーカー間で生産技術面の連携が強化され、効率的な増産が可能となる

我が国への示唆



生産能力の把握

平時から、国内を中心に各メーカー・CDMOがどの程度の生産キャパシティ・技術を保有しているか、有事にリーチアウト可能かどうかを、一元的に把握しておくことが重要



スペシャリスト ネットワークの確立

各メーカー・CDMOの治療薬の製造・サプライチェーンのスペシャリストと平時からリレーションを構築し、有事にはナレッジを集約して生産実行・最適化に向けた技術支援ができるように備えておくべき



国主導の状況把握

上記のような情報収集は、各国内メーカーでは対応が難しいため、まずは国が主導して一元的に把握し、有事の際に情報共有できる体制を整える

F.重点感染症に対する国際連携の考え方サマリー

F-i. 現時点での重点感染症¹に含まれる各感染症に対する、国際連携の考え方

- 1 我が国の感染症全体でのパイプライン数は55本程度と少なく、またその対象も途上国支援の観点が強くと重点感染症への備えとしては盤石でない状況。その中でも、フィロウィルスやエンテロウィルスは、我が国への脅威度が高いものの既存対策での抑制が難しく、さらに国内研究が限定的であるため、脅威度が高い。これらについては早期に備えを拡充するべく、海外との連携が必要ではないか
- 2 具体的には、海外の有望シーズへの支援を通じたタッピングを実施し、有事の治療薬候補（臨床段階）への交渉機会を担保することが考えられる。実際に各国機関では我が国での対応が容易でない疾患に注力する海外Funding Agencyも存在し(特にNIAID、BARDA等)、共同出資によるタッピング・シーズ確保の余地あり

F-ii. 将来追加される重点感染症にも適用できる、重点感染症に対する国際連携の考え方

我が国の感染症領域においてはシーズ・資金・人材とも不足している状況ではあるが、他方で海外機関・組織の取り組み事例を踏まえると、それらとの連携による課題解決の可能性が見込まれる。具体的には次の3つを進めることが考えられる

- 3 **官民ファンドの組成による国内外投資の拡大:** ウイルス感染症およびプラットフォーム技術に関心のある国内メーカーを誘致し、官民ファンドを立ち上げNIAID/MRCの資金拠出する研究へ共同出資。また国内メーカーや日本人の海外留学生のネットワークをベースに、AMEDから海外研究へ直接投資
- 5 **海外知見を活用した、感染症研究底上げに向けた体制構築:** グローバル研究機関への研究者の留学・派遣プログラムを確立し、人材を派遣/さらに中長期的にはこれら人材の活躍に向け感染研/国際医療研究センター中心にポジションを提供/ラボ立ち上げ。また海外VC/アカデミア人材も取り込んだ、シーズ事業化/商用化に向けたアクセラレーションプログラムを立ち上げ
- 6 また**国際基金を中心とした国内シーズへの支援体制の整備:** 対象疾患への投資意欲のある国際基金(BMGF等)と連携し、投資先として有力な国内シーズを紹介

1. 重点感染症暫定リストのGroup B, Dの感染症を中心として想定

G. 治療薬・治療法の考え方サマリー (1/2)

イ) 治療薬・治療法開発における現状と課題:

(A. 平時と危機時のMCM研究開発の考え方にて現状・課題を整理したため割愛)

ロ) 新たな治療薬・治療法に関するホライズンスキニング:

- ホライズンスキニングを行う上では、感染症分野の研究開発で先行している欧米のFunding Agencyが支援している研究テーマが参考となりえる
- 欧米では国家戦略として次なるパンデミックへの対応のためにPrototype Pathogensを対象としてそれ自体およびより広域なスペクトラムを有する治療薬の創出が目指されている。実際にNIAIDなどでの支援テーマを見ると、特定病原体に限らずウイルス科全体への効果を想定した治療薬開発プログラムが確認できる
- また、そのさらなる効率化(特に有事のスピード感ある対応)実現に向けて、AIを活用した治療薬探索やその実施に資するデータベース・プラットフォーム構築にも積極投資を実施

ハ) 特異的治療薬のモダリティ毎の考え方

- 欧米の疾病別・モダリティ別のパイプラインをみると、全般的に抗体医薬への注力がトレンドとして伺える。但し、各国の戦略において疾患xモダリティまで絞った研究方針までは定義されていない。上記方針に基づいて非特異的治療薬の探索の中で広く治療への活用可能性を検証しつつ、個別パイプライン毎に有望な疾患があれば具体的な可能性を検証する、という考え方が妥当と考える

二) 非特異的治療に対するアプローチの考え方

- 上記の通り、非特異的治療の開発に向けてはPrototype Pathogensを想定した広域スペクトラム治療薬の探索、ならびにAIおよびデータベース・プラットフォームを活用した効率的探索を目指すべき

G. 治療薬・治療法の考え方サマリー (2/2)

前述の論点を踏まえた、治療薬・治療法の開発方針:

- 疾患別の研究開発の目標設定に当たっては、その疾患の特性および我が国としての対策状況を整理する必要。具体的には、我が国への脅威度・治療薬・ワクチンの利用可能性・新規治療薬の開発可能性について各疾患を評価し、**我が国への脅威度が高くかつ既存対策では抑制しきれない疾患**から優先して備えを進めていくべき
 - **うち国内研究が進んでいる疾患** (コロナ・インフルエンザ・パラミクソウイルスやデング熱・SFTS等) は積極的に国内研究を支援し、有事に備えた治療薬候補 (臨床段階) の開発を目指す
 - **国内研究が限定的な疾患** (フィロウィルス・エンテロウィルス等) は、海外の有望シーズへの支援を通じたタッピングを実施し、有事の治療薬候補 (臨床段階) への交渉機会を担保
 - その他については他の公的基金・ファンドや海外機関等と有効に連携し、我が国からの支援額を最適化しつつ、国内でも有望シーズがあれば受動的に支援
- また技術別には、新規モダリティ(抗体等)および、より**基盤的な研究として広域スペクトラム治療薬の研究やIn-silico/AI創薬技術への支援を強化**すべき
 - 治療薬モダリティとしては研究が隆盛している抗体を中心に、新規モダリティ治療薬候補の開発を広く支援。特に未知ウイルスの出現を想定して、上記注力ウイルス群の研究の中でも特に広域スペクトラムを有し得る治療ターゲットの特定・治療薬開発を優先的に支援
 - 加えて、有事の速やかな治療薬開発を想定して、開発の成功確度・速度を大きく高めるIn-silico/AI創薬技術にも集中投資

我が国の 治療薬研究開発 方針(案)



感染症別: 脅威度が高く、かつ既存対策では感染抑制しきれない疾患を優先して、シーズ育成・タッピングに向けた支援を行う

- 国内研究が進んでいる疾患 (コロナ・インフルエンザ・パラミクソウイルスやデング熱・SFTS等) は積極的に国内研究を支援し、有事に備えた治療薬候補 (臨床段階) の開発を目指す
- 国内研究が限定的な疾患 (フィロウイルス・エンテロウイルス等) は、海外の有望シーズへの支援を通じたタッピングを実施し、有事の治療薬候補 (臨床段階) への交渉機会を担保
- その他については他の公的基金・ファンドや海外機関等と有効に連携し、我が国からの支援額を最適化しつつ、国内でも有望シーズがあれば受動的に支援



技術別: 新規モダリティおよび、より基盤的な研究として広域スペクトラム治療薬の研究やIn-silico/AI創薬技術への支援を強化

- 治療薬モダリティとしては研究が隆盛している抗体を中心に、新規モダリティ治療薬候補の開発を広く支援
- また未知ウイルスの出現を想定して、上記注カウイルス群の研究の中でも特に広域スペクトラムを有し得る治療ターゲットの特定・治療薬開発を優先的に支援
- 加えて、有事の速やかな治療薬開発を想定して、開発の成功確度・速度を大きく高めるIn-silico/AI創薬技術にも集中投資

H. 診断薬・診断機器の考え方サマリー (1/2)

イ) 診断薬・診断機器開発における現状と課題:

- 体外診断薬については、**研究開発上の備え**と**安定供給上の備え**の2つの面から現場と課題の検討が必要と考える
- **研究開発:** 現状国内では大半の重点感染症について地衛研・主要医療機関でPCR・イムノアッセイでの検査が可能であるが、天然痘やエボラ出血熱等、PCR・イムノアッセイの検査実現性も未検証な疾患が存在している。またすべての重点感染症において、POCT・迅速検査キットが利用可能な状態ではない
- **供給:** 新型コロナにおいては、原料調達・製造キャパ確保の両面で課題が表出した。特に調達面では、有事にグローバルで物品が逼迫する中で、GMP/GQP水準を満たした資材や検体パネルの確保が困難化した

ロ) 新たな診断薬及び診断機器に関するホライゾンスキャンニング:

- 治療薬と同様に、諸外国における研究支援の事例からホライゾンスキャンニングを行った
- 海外動向をみると、早期の治療が必須/効果的な敗血症・ライム病等を対象とした、培養を必要としない血液・体液を用いた迅速な直接検査の実現に向けた支援がなされている。またAMRでは、欧米で病原菌の薬剤感受性検査を簡便・迅速に実施できるPOC機器が既に承認済みとなっている。これらは上記で挙げたようなPOCT・迅速検査キットのない疾患も対象となっている

H. 診断薬・診断機器の考え方サマリー (2/2)

ハ) 診断薬・診断機器の目的・モダリティ毎の考え方:

- パンデミックリスクを考えると、いずれの重点感染症も国内で診断可能な状態とすることが望ましく、PCR・イムノアッセイは少なくとも診断薬が上市している状態を目指すべきと考える。また我が国で脅威度が高く、かつ早期の診断によって適切な治療や隔離といった感染拡大防止を実現すべき感染症については、迅速診断(POCT・迅速検査キット)が利用可能であることが望ましい
- PCR・イムノアッセイは、一部検査実現性が未検証な疾患はあるものの、新型コロナの例を踏まえるとそれら疾患のパンデミック時も現状の我が国の研究開発体制でスピーディ(海外と同等タイムライン)な開発が可能と考えられる
- POCT・迅速検査キットについて、我が国への脅威度と早期の特異治療・隔離の必要性を鑑みると、AMRやエンテロウイルス、SFTS等は開発優先度が高いと考える
- また研究開発支援と並行して、供給体制(製造・調達)についてもサポートが必要。国としても平時からのサプライヤー・メーカーの情報収集およびマルチソース化・在庫確保を推進していくことが考えられる

重点感染症別の 診断薬研究開発に 向けた考え方(案)

重篤度・感染可能性によらず、いかなる重点感染症であっても各地域で診断可能である必要

- 各地の地方衛生研究所や基幹病院を中心として、どこでどの感染症が発生しても診断可能な状態であるべき

また、我が国で既に流行・蔓延している感染症については、早期治療および感染拡大防止を実現すべく、迅速診断が利用可能である必要

- 特に早期の治療が医療上重要な疾患や、感染拡大力の強い疾患については、迅速診断による早期対応の意義が臨床上大きく、優先して実現すべき



B 迅速診断の必要性については、我が国での感染可能性および早期治療・隔離の必要性の観点から検証



我が国での感染可能性

- 既に我が国でも蔓延している/蔓延のリスクのある疾患から優先的に備えるべき
- 感染可能性の低い疾患については、当面通常のPCR・イムノアッセイで対応可能と思料



早期の特異治療の必要性

- 奏功する特異な治療薬が存在し、かつ通常のPCR・イムノアッセイのタイムラインを待たずして治療開始すべき疾患は、迅速診断が必要
- 他方、診断できても治療法が対症療法のみであったり、重篤度が低く対症療法でも回復可能な場合は迅速診断の優先度は低い



早期隔離の必要性

- 飛沫感染や節足動物媒介など、患者隔離が蔓延防止に重要な疾患は、迅速診断して早期から隔離すべき
- 他方、感染リスクの低い疾患についてはあえて迅速診断まで実施する必要はない