

## 総括研究報告書

1. 研究開発課題名： 産学官連携研究の促進に向けた創薬ニーズ等調査研究
2. 研究開発代表者： 高柳 輝夫（公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団）
3. 研究開発の成果

平成 26 年度報告書「60 疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ」（アンケート調査）の結果について、専門医へのヒアリングを行って分析を加えた。過去 20 年間に 5 回実施した 60 疾患の治療満足度、薬剤貢献度の推移等について、総合内科専門医にヒアリングし、治療満足度と薬剤貢献度の上昇傾向は、多くの新薬や革新的な治療法の開発で説明されること、著効する新薬が出た疾患で薬剤貢献度が高いことが明らかとなった。治療満足度に比し薬剤貢献度が高いという治療上のギャップがあるパーキンソン病、アトピー性皮膚炎、関節リウマチについて専門医に聞いた結果、例えばパーキンソン病では運動障害以外の認知機能障害などの非運動性障害に課題のあることが判明し、薬剤貢献度の高い疾患でも医療ニーズが存在するが故に治療満足度が低いことを明らかとした。最後に、新たな対応が急務として多くの回答があった筋委縮性側索硬化症、血管炎症候群、特発性間質性肺炎の 3 難病について、その理由を聞き、難病に多くの医療ニーズがあることを明らかとした。

平成 26 年度報告書「ロコモティブシンドロームの将来動向調査」を踏まえ、治療満足度の低い 3 疾患（骨粗しょう症性骨折、変形性脊椎症・脊柱管狭窄症、サルコペニア）を対象に専門家から意見を収集し、5 及び 10 年後のロードマップ作成と今後の課題を取りまとめ、ロコモティブシンドロームの創薬に向け製薬企業等に向け啓発を進めた。骨粗しょう症では寝たきりの原因となる骨折への連鎖から骨折リスク診断や骨粗しょう症リエゾンサービスの普及・啓発、骨折治療薬開発の問題点の指摘が、変形性脊椎症等では疼痛診断・神経障害の評価指標開発や観察研究の必要性が、サルコペニアでは介護リスク軽減の観点から、多領域連携を通じた概念・診断の確立や治療薬開発への取組みの必要性が指摘された。

「再生医療実用化のための周辺技術、基盤技術と法改正後の規制動向」報告書では、世界をリードできる日本の技術としていくために日本の法規制・基準を世界に発信し、実用化へのイニシアティブをとること、実用化は難病・希少疾患が想定され、評価を容易にするための疾患 historical control データの整備や供給に向けては幹細胞ストックバンクの整備、規格化・標準化の推進による関連産業の支援・育成の重要性が指摘された。

「医療ビッグデータの活用並びにバイオマーカー実用化の最新動向」報告書では、医療ビッグデータの効率的なドラッグリポジショニングや消費者向けサービス等への活用のための官民におけるソフト、ハード、人材面の充実、バイオマーカーの探索及び実用化へ向けての産学官連携の取組みと成果への期待、プロテオーム・メタボローム等オミックスバイオマーカー技術の進展がもたらす医療や創薬への期待、バイオバンクや医療ビッグデータの活用方策に関して法制度面、産学官連携の課題を指摘した。

国外調査報告書では、再生医療では他家間葉系幹細胞での組織修復・再生が主流であり、Phase 3 試験に至っていること、細胞治療ではがん免疫療法、CAR-T 細胞療法が注目されていること、遺伝子治療ではアデノ随伴ウィルスベクターの使用による臨床開発の進展、創薬動向はビッグデータの新薬開発への活用の進展、希少疾患の研究開発においては仏の国家レベルの治療薬開発支援策の概要等を把握した。産学官の専門家が参加する情報提供活動により、創薬に向けた連携活動を支援する目的で、セミナー等を開催した。臓器線維症セミナーでは、肝・腎・肺の線維化の病態と診断、創薬への展望を、また、神経難病セミナーでは、創薬に向けた様々な取り組みを情報提供した。基礎研究講習会では、産学官連携に向けて国立医薬品食品衛生研究所の医薬品の品質・安全性の担当部の研究を紹介した。財団 HP で一般に向けて告知し、参加者はほぼ定員を達成し、アンケート結果も好評だった。