

(公財)ヒューマンサイエンス振興財団
調査報告書 (HSレポート No. 82) 発刊のご案内

HS レポート No. 82 平成 25 年度規制動向調査報告書

核酸医薬品の開発と規制の動向

公開URL (公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団ホームページ)
http://www.jhsf.or.jp/paper/report/report_no82.pdf

平成 26 年 3 月 25 日(火)

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団 (HS 財団) 規制基準委員会では、“規制動向調査ワーキンググループ”を内部に設置し、年度ごとにテーマを設定して、将来期待される医療、医薬品、医療機器等についての技術と規制の動向に関する調査研究を行い、その結果とともに、様々な課題の解決のための独自の提言を盛り込み、報告書の形で公表してきています。

平成 25 年度は、「核酸医薬品」を調査対象とし、核酸医薬品の開発の現状について規制面ならびに科学技術面における実態を調査し、国民の健康・福祉の向上のために、行政、医薬品産業界、アカデミアは、核酸医薬品という新しいタイプの医薬品の実用化を通じてどのような貢献ができるか、そのためにどういった取り組みを進める必要があるか、等について、レギュラトリーサイエンスの視点と最先端の科学技術の視点から、核酸医薬の発展のために取り組むべき課題を抽出するとともに、それらの解決策を見出すための調査活動を、行政、アカデミアや産業界の多くの専門家へのインタビュー、関連学会やシンポジウム等への参加や文献調査等を通じて展開し、その調査結果を平成 25 年度規制動向調査報告書に整理しました。

さらに、私たちの調査活動を通じて抽出された課題を速やかに解決するために、行政、アカデミア、産業界等が採るべき方策として、以下の 3 項目についての具体的な提言をしています。

<平成 25 年度 HS 財団・規制動向調査 WG からの提言>

【提言 1】

核酸医薬品の開発に係るガイドライン等の整備にあたっては、国・産業界・アカデミアは、国民の利益享受と健康福祉を最優先しつつ、グローバルな協調のもとで、イニシアティブ発揮と機敏な施策の推進を

国が様々な積極的な施策を通して、日本発の革新的医薬品のシーズの一つとして核酸医薬を位置づけていることを、実用化を目指した研究・開発に注力している国内の製薬企業やベンチャー企業、アカデミア等は、高く評価するところである。

しかしながら、核酸医薬品開発に係るガイドライン等は、日・米・欧、また ICH においても、まだ整備されておらず、日本では審査経験もマクジェン 1 品目しかない。そのような状況下で、民間企業が核酸医薬品を開発していくにあたっては、広範囲かつ多様な課題を個別の企業の判断で一つ一つクリアしていくことは、熾烈な国際的開発競争を鑑みると決して効率的とは言えない。

たとえば、核酸医薬品の臨床試験実施に必要な、品質・有効性・安全性を担保する試験項目や方法はどうか、また、ヒトでの有効性や安全性が推測できないような動物種を用いたサロゲート分子での試験からはどこまで意義ある情報を得ることができるか、必要でない試験も可能な限り明確にして、費用・時間・科学性等の面からの実行性や、動物愛護の観点から最小限の実験動物の使用に配慮しつつ、効率的かつ国際的な協調と競合の立場からの的確な対応が求められている。優れた核酸医薬品を早く確実に国民に届けるためには、開発に余計な費用と時間がかからないようにすることもガイドライン等の役割であろう。

そこで、低分子医薬品やバイオ医薬品とともに、優れた核酸医薬品を国民に早く確実に提供し、健康福祉に貢献していくためには、国が産業界やアカデミア等と一体となって、積極的に国際協調をリードするとともに、実用化のための科学的な議論を深めながら、核酸医薬品開発に係るガイドライン等を整備していく必要がある。

国際的な協調に立った、完成されたガイドライン等の整備は決して容易ではなからう。道程も平坦ではなからうが、国と産業界、アカデミア等が一体となって、科学の進歩に即した議論を着実に深め、ガイドライン等の完成度を高めていくことこそが、優れた核酸医薬品を速やかに国民に提供する推進力となるものと確信する。

【提言2】

国・産業界・アカデミア・公的研究機関は、核酸医薬の実用化支援策等の環境整備・充実・強化とその効果的活用を

抗体医薬品などのバイオ医薬品の進展、また、医療技術の進歩は、各種疾患の治療に画期的な進展をもたらしてきたものの、いまだ治療法の存在しない疾患も数多く残されている。そうした中、核酸医薬は、これまで undruggable とされてきた分子を標的にできる可能性を秘めており、これまで治療法の存在しなかった疾患の治療、また、新たな治療の切り口を提供できる可能性が期待されている。核酸医薬の実用化には、国民の健康・福祉の向上につながる重要な選択肢として、難病の患者をはじめとする国民の期待も大きい。

アカデミア等の優れた基礎研究の成果や基盤技術を実用化に結び付けるための支援策として、すでに創薬支援ネットワーク事業や薬事戦略相談事業等の環境整備、臨床研究中核病院や早期・探索的臨床試験拠点の整備、また、医療分野の研究開発の司令塔としての独立行政法人日本医療研究開発機構の創設へ向けての準備など、国によって数々の施策が講じられてきていることは高く評価されよう。

こうした実用化支援策の推進にあたって、実用化の観点を十分考慮し、核酸医薬品が事業として永続的に成長できるよう、国は、産業界、アカデミアや公的研究機関等と、レギュラトリーサイエンスに立脚した、十分かつ真摯な議論と意見交換のもとで、環境の整備、充実、強化を図る必要がある。また、アカデミアやベンチャー企業等は、これら支援策を効果的に活用し、知的財産権の帰属には十分に配慮を払いつつ、製薬企業との効果的な研究展開を通じて、持続可能なビジネスプランの整備を図る必要がある。

日本発の核酸医薬品の開発に向けては、アカデミア、ベンチャー企業、製薬企業の橋渡しが必須であり、国は、これらのそれぞれの役割をうまく生かせるよう、アカデミアによる基礎研究の成果と企業ニーズのマッチングの場の提供、産学コンソーシアムの構築など、より一層、実用化支援策等の環境整備・充実・強化につとめ、産業界、アカデミア、公的研究機関等は、積極的にそれらの支援策の効果的活用を図らねばならない。

【提言3】

国、アカデミア、産業界は、核酸医薬の実用化推進のための、レギュラトリーサイエンスに立脚した核酸医薬研究会組織の整備と活気ある展開を

科学技術の最先端を駆使した核酸医薬の創製を、グローバルな競合と協調のもとで実現していくためには、核酸医薬における課題を国、アカデミア、産業界で共有し検討することが欠かせない。そのためには、レギュラトリーサイエンス、すなわち、品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学(健康・医療戦略推進法案より)に立脚した核酸医薬研究会組織の整備を行い、産官学がその場に集い、一体となって、核酸医薬の実用化を目指した、活気ある議論を展開していくことが必須である。

たとえば、核酸医薬品の創製に係る品質管理や安全性評価等に関するコンセプトペーパーの取りまとめを目指して、産官学が一体となってそれを議論し、推進することは、グローバルな競合と協調の時代に、わが国における新しい核酸医薬の実用化に、極めて強力な推進力を生むであろう。

こうして、レギュラトリーサイエンスに立脚した核酸医薬研究会の組織化は、研究基盤である核酸化学、DDS や中間体を含む核酸医薬品製造法、コストダウンの研究開発の集約や共有化のフレームワーク、レギュラトリーサイエンス上の課題の検討・共有化はもちろんのこと、アカデミアと企業との間の実用化の方向性のギャップを埋めること等によって、核酸医薬の効率的な実用化につなげることができよう。

レギュラトリーサイエンスに立脚した核酸医薬研究会組織の設立と整備は、国内における核酸医薬の基礎と実用化を、レギュラトリーサイエンスの視点のもとで、産官学のみならず患者・国民もが一同に会して議論する場としての新たな学会組織の誕生と発展、また、産官学によるコンソーシアムの設立などにも結び付き、ひいては核酸医薬の実用化を強力に推進するパワーとなるものと確信する。

なお、本報告書は、森林資源保護のため冊子体の発行はせずに、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団のホームページ上での web 公開のみと致しております。

本調査報告書が、広範な基礎研究や実用化研究の推進、また、医療や科学技術の発展に寄与すると同時に、関連業界のみならず、広く国民の健康や生活の向上に結びつくことを祈念し、ここにご案内させていただきます。

【お問い合わせ先】

(公益財団法人)ヒューマンサイエンス振興財団

〒101-0032 東京都千代田区岩本町 2-11-1 ハーブ神田ビル4F

TEL : 03-5823-0361 FAX : 03-5823-0363

事務局担当 : 井口富夫

E-メール : inokuchi@tyo.jhsf.or.jp