

Title	革新的医療技術の早期実用化に向けたシーズ発掘・選定・評価・導出システムの構築
Author(s)	服部，華代；森口，万里子；澤守，麻由子；中村，明生
Citation	年次学術大会講演要旨集，33：609-612
Issue Date	2018-10-27
Type	Conference Paper
Text version	publisher
URL	http://hdl.handle.net/10119/15561
Rights	本著作物は研究・イノベーション学会の許可のもとに掲載するものです。This material is posted here with permission of the Japan Society for Research Policy and Innovation Management.
Description	一般講演要旨

革新的医療技術の早期実用化に向けた シーズ発掘・選定・評価・導出システムの構築

○服部華代、森口万里子、澤守麻由子、中村明生（京都大学医学部附属病院）

概要

医療系橋渡し研究(Translational Research)とは、アカデミアの基礎研究成果を実際の医療に活用することを目的とした幅広い研究を指し、これにより、独創的な先端医学を発出し、医療ニーズにこたえとともに、新規治療法による経済効果や新医療産業の創出までも期待されている。これまで、アカデミア研究成果をシーズ A（基礎研究）、B（非臨床研究）、C（臨床研究）のステージに分けて、シーズの発掘・選定・評価・育成を行いながら、大学病院等における医師主導治験という枠組みで開発を行う仕組みを 15 年かけて整備してきた。同時に、橋渡し研究を行う大学には、知財管理、薬事規制対応、企業連携・契約という機能も整備されてきた。京都大学での事例をもとに橋渡し研究支援の現状と課題および今後の取組みについて示す。

1. 背景

本邦における橋渡し研究プログラムと機関（拠点）の取組み

文部科学省は、橋渡し研究支援機関の拠点を整備することを目的とし、「橋渡し研究支援推進プログラム」（第一期プログラム：2007 - 2011 年度）を全国 7 機関（拠点）に対し開始した。続く 5 か年として、画期的な医薬品・医療機器等を効率的・効果的に国民へ提供することを目指し、①シーズ育成機能の強化、②拠点の自立化、③ネットワークの構築、を 3 本の柱として、全国 9 機関（拠点）において「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」（第二期プログラム：2012 - 2016 年度）を実施した。さらに 2015 年度からは国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）に事業を移管し、革新的医療技術創出拠点プロジェクトとして基礎研究から実用化まで一貫して支援する人材・体制を整備し、強力かつ切れ目ない効率的な開発の実施を進めてきた。

第二期プログラム事後評価によると、拠点の基盤整備はほぼ完了したと考えられたが、いくつかの課題が挙げられ、特にシーズの発掘・育成面においては以下のような課題が挙げられた。

○拠点において、支援シーズは着実に増え、各シーズの成熟度も上がっているが、課題についての開発の Go/No Go の判断の妥当性に疑問がある例も見られる。中間評価において「組入れシーズとしての評価基準、評価・決定方法、見直し時期・方法が不明瞭である」と指摘され、各拠点においてプロジェクトマネジメントが強化されているが、いまだ十分ではない。

○各拠点において、シーズとニーズ、アカデミアと企業のマッチングに難渋しているように見受けられる。出口戦略も含め、拠点におけるシーズを適正に評価する人材がまだ不足しており、マーケティングも含めたニーズの調査能力も十分に備わっていない。

これら課題を受け、2017 年度から開始された橋渡し研究戦略的推進プログラム（第三期プログラム：2017 - 2021 年度）では、全国 10 機関（拠点）が採択され、①拠点以外の機関における橋渡し研究の推進、②戦略的なシーズ育成と産学連携の推進、③研究成果の早期企業導出や実用化促進のための実施体制構築、④シーズを継続的に創出するための基礎研究の強化、が推進されている。

京都大学（拠点）における橋渡し研究支援の体制・取組み・課題

京都大学では、橋渡し研究の実施と支援を目的として 2001 年に探索医療センターが医学部附属病院に設置され、その後 2013 年に EBM 研究センター、治験管理センター、医療開発管理部が統合される形で、臨床研究総合センター（iACT）が設立された。探索医療センターの整備においては、文部科学省「トランスレーショナルリサーチの基

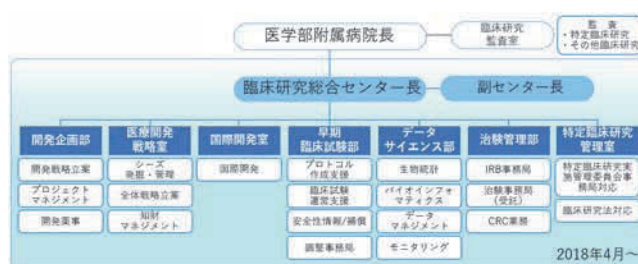


図1 臨床研究総合センター組織図

盤整備事業」(2002 - 2003 年度)の支援を受け、その後「橋渡し研究支援推進プログラム」(第一期プログラム:2007 - 2011 年度)および「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(第二期プログラム:2012 年度 - 2016 年度)の拠点採択を受け、臨床研究総合センターが拠点窓口となり、シーズ発掘・育成基盤を強化し、研究シーズの増加を図ってきた。現在は、引き続き「橋渡し研究戦略的推進プログラム」(第三期プログラム:2017 - 2021 年度)の拠点採択を受け、拠点内外の機関の研究課題を積極的に支援するために必要な人材・設備等を整備するとともに、シーズ育成能力を更に強化し、アカデミア等による革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築している(図1)。

また橋渡し研究プログラムにおいては、様々な開発段階にあるシーズを発掘し、開発段階に応じてシーズ A (基礎研究-応用研究)・シーズ B (非臨床試験)・シーズ C (臨床研究・治験)に振り分け、選定・評価を行い、開発・臨床支援を行いながら、シーズを育成している(図2)。なお、各開発段階のゴールとして、シーズ A は「関連特許出願を目指す基礎研究課題であり、2年以内に特許出願をしてシーズ B へ移行を目指すもの」、シーズ B は「非臨床 POC 取得及び治験届提出を目指す課題」、シーズ C は「臨床 POC 取得を目指す医薬品等の研究課題」と設定されている。



図2 橋渡し研究プログラムのシーズ分類

よって、京都大学においては、特許戦略の必要となるシーズ A を医療開発戦略室(旧:技術移転・国際連携部)が担当し、薬事戦略および非臨床にかかる開発支援の必要となるシーズ B は開発企画部が担当し、臨床支援の必要となるシーズ C は早期臨床試験部が担当している。

このような体制でシーズ発掘・選定・評価および育成(研究開発支援)を行い、拠点として一定の成果は収めてきたものの、第二期プログラム終了時においては依然多くの課題が挙げられた。

○シーズ発掘の課題

基本的には年一回の公募式発掘を実施してきた。しかしながら、HP およびメール案内を主とした公募では、シーズ発掘数に限度があった。また、シーズは医学部に限られ、拠点外シーズも少なかった。よって開発パイプラインの数が少なく、効率的なステージアップに繋がっていないと考えられた。

○シーズ選定・評価の課題

公募により発掘されたシーズを選定するプロセスにおいて、シーズ A は拠点内の臨床医、基礎医学研究者および iACT 開発担当者による書面審査を行い、シーズ BC は iACT 開発担当部門のみで審査を行っていた。シーズ A においては、実用化に程遠い基礎研究が採択されるケースが多く見受けられたこと、また特許性の審査が不十分であることが課題とされ、シーズ B については、審査の公平性と透明性に課題があった。

また、シーズ課題についての開発の Go/No Go の判断は、各開発部門により行われており、組入れシーズの評価・見直し時期・方法が不明瞭であることも課題であった。

○シーズ育成・導出の課題

京都大学には医療シーズの育成及び導出のための様々な支援組織が各々の特徴を持って活動している。しかしながら、これら支援組織においては、必ずしも融合的な支援形態にはなっておらず、効率的なシーズ育成・導出・支援が十分とは言えないと考えられた。

いずれも、病院のみで解決すべき課題ではなく、大学として一貫した開発戦略を持ち、支援体制を敷いていくことが共通の課題と考えられた。

2. 対策

研究開発戦略推進委員会の設置(2017 年度～)

第二期プログラムにおいて課題であった発掘・選定・評価・育成・導出を早期解決すべく、研究開発体制整備に向けて、2017 年に病院内に研究開発戦略推進委員会を新たに立ち上げた(図3)。本委員会は、病院長を委員長として、橋渡し研究に関わる様々な部門の関係者を委員に任命し、橋渡し研究の一元管理と推進および医学領域における研究開発・実用化戦略の強化のため、課題抽出や解決に向けた提言を全学的に行うことを目的とする。このように病院を中心とした全学的な研究戦略委員会は本学ではこれまでにない。また、本委員会の体制は大きく分けて、シーズ発掘/選定/評価と研究開発/実用化支援

の二体制である。下部組織としての各委員会や連絡会には、学内関連部門から委員を招集し、さらに企業目線での議論や高い専門性に基づく議論ができるよう、企業出身者や学外専門家などを広く委員として招聘することとした。そして、本委員会において第二期プログラムの課題分析を行い、講じた対策は以下の通りである。

○シーズ発掘の課題分析と対策

受け身の公募形式ではシーズ数の増加および研究領域の広がりは見込めないと考えられた。また iACT 単体での拠点内シーズ情報把握は非効率であり、かつ各大学の病院連携のみでは拠点外シーズの発掘に限界があると考えられた。よって、シーズ発掘委員会の構成員は、iACT を中心に、産官学連携本部・学術研究支援室（URA 室）・「医学領域」産学連携推進機構（KUMBL）・関西 TLO とし、拠点内における医療シーズ全体を把握できるよう体制を構築した。また拠点外には、iACT が構築した開花プロジェクト（国内 16 大学）と称する臨床研究支援機関（病院）ネットワークに加え URA の大学間ネットワークを活用することにより、大学本部へのアプローチに注力し、早期段階の医学以外シーズを発掘する体制を構築した。

○シーズ選定の課題分析と対策

“各開発ステージに適した選定”および“公平性・透明性のある選定”を実現するため、選定基準と選定プロセスの見直しを行った。シーズ A の審査結果と採択案件の分析から、現状の審査員では特許出願の可能性評価が困難であることが考えられた。またシーズ B に関しては、選定基準を明確にし、iACT 以外の有識者を含めた審査体制にする必要があると考えられた。

よって、シーズ選定委員会は、拠点内外の企業出身者や学外有識者を構成員とし、委員会が決定した選定基準および方針に従い、選定することとした。選定基準は、シーズ A に 5 項目、シーズ B に 11 項目、シーズ C に 12 項目をおき、スコア化を行った。特に、2 年以内に特許出願を目指すシーズ A については、拠点内の知財担当者（後述する知的財産・技術移転連絡会）により、特許出願および技術移転の可能性を別途審査することとした。

○シーズ評価の課題分析と対策

シーズ開発における Go/No Go の判断は各支援部門にて行われていたが、実態を分析すると、公的予算獲得の有無が開発継続可否を決定しているケースが多く見受けられた。また、開発の進捗状況が芳しくなくとも、研究開発者の希望が続く限りパイプラインへの組込みを継続するケースも多く見受けられた。よって、まずは現在のパイプラインの状況を確認し、評価基準を作成するところから取り組む必要があると考えられた。

○シーズ導出の課題分析と対策

京都大学には医学領域の産学連携体制を（図 4）に示す。本学では知的財産の管理（出願権利化業務含む）および特許等ベースの技術移転業務を子会社である関西 TLO へ委託している。但し関西 TLO が担う技術移転は、特許等ベース（臨床データは含まない）である。研究ベースおよびシーズベースの企業マッチングや共同研究、研究開発のサポートは部局の支援組織（KUMBL、iACT 等）が担っている。



図3 研究開発推進委員会の体制図

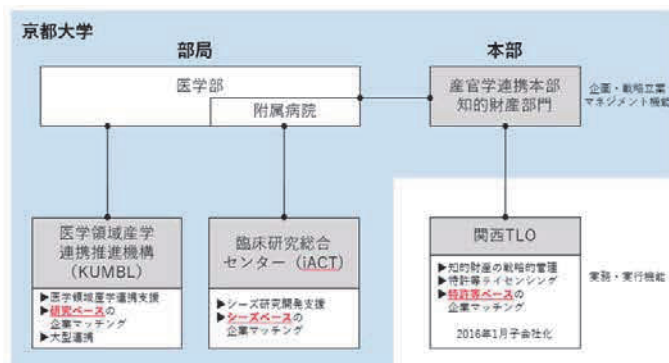


図4 医学領域の産学連携体制

よって、シーズ導出の効率化を考えた場合、少なくともこれら機関が連携することが重要である。そこで、これらの部門に加え、今後臨床研究シーズが増えると考えられる iPS 細胞研究所も含め、知的財産・技術移転連絡会を立上げ、シーズ導出にかかる課題共有と解決を行うべく連携体制を構築した。また、シーズ選定委員会と連動の上、シーズ A の特許出願および技術移転の可能性について、審査を行う体制を構築した。

3. 結果と考察

各委員会および連絡会による活動の結果として、シーズの発掘数は拠点内外で大幅に増加した（図 5）。2018 年度において、そのうち医学部以外のシーズ割合は、拠点内で 32 %（2016 年度は 4 %）、拠点外では 43 %（2016 年度は 0 %）となり、シーズ発掘の幅を広げるといふ点においては一定の効果が見られた。

しかしながら、依然として農学・工学からのシーズ発掘は不十分であり、今後更なる検討が必要と考えられる。

シーズ選定においては、選定基準の明確化と学外有識者の審査導入により、シーズ B は開発の優先順位付けが明確になり、その後の AMED 採択数がアップした。シーズ A においては、特許出願の見込みがないものは除外することが可能となったが、実用化に程遠い基礎研究シーズが一定の割合で選定される結果となった。要因として、特許出願および技術移転の可能性以外の項目については、専門性に大別しない審査体制を採用したため、結果として開発の可能性の審査にバラツキが生じたと考えられた。傾向としては、研究の革新性のスコアが高いものは、開発の可能性スコアも高くなる傾向にあり、今後更に専門性に特化した審査体制の検討が必要と考えられる。

シーズ評価においては、パイプラインの整理を行い、各開発ステージにおける評価項目の設定を検討した。シーズ A の出口評価はシーズ B の選定基準と重なり、シーズ B の出口評価はシーズ C の選定基準と重なることから、現時点ではシーズ選定の評価基準と運用を実施することを優先することとしたが、今後、研究開発戦略委員会の下部組織であるシーズ評価委員会を立ち上げて、評価基準を明確にしていく予定である。

シーズ育成・導出については、各支援組織連携により、シーズ開発状況と特許出願・権利化状況および企業マッチング状況を把握することが可能になった。企業マッチングについては、各支援組織が持つ既存ツールを活用することから開始した。今後はシーズ評価委員会でのシーズ評価を強化し、より精度の高い開発可能性および開発状況を共有していくことで、無駄のない戦略的な技術移転を拠点内全体で実施していく予定である。

4. おわりに

全国的に橋渡し研究基盤が整備され、橋渡し研究成果が出つつあるが、各拠点によって組織の規模・体制・人員が異なり、かつ研究開発領域の幅も異なるため、抱える課題はそれぞれ異なる。しかしながら、全ての支援機能が充実している拠点は存在しない。必ず補うべき点があり、如何にして工夫と拠点内外ネットワークで補強していくかが鍵になると考える。本学にもまだ多くの課題が残されているが、本取組みが橋渡し研究を実施するアカデミアにとって参考になればと考える。

参考文献

- 1) 日本医療研究開発機構 革新的医療技術創出拠点プロジェクト
<https://www.amed.go.jp/program/list/05/01/001.html>
- 2) 天野優子 「産学官連携イノベーションプラットフォームの整備および医療分野における社会貢献事例（革新的医療技術創出拠点プロジェクト）の報告」研究・技術計画学会 年次学術大会講演要旨集（2015 年）
- 3) 科学技術・学術審議会 橋渡し研究の強化に関する報告書（2016 年）
- 4) 早乙女周子 “医薬品・医療機器・再生医療” 開発におけるオープンイノベーションの取り組み 事例集（2018 年）

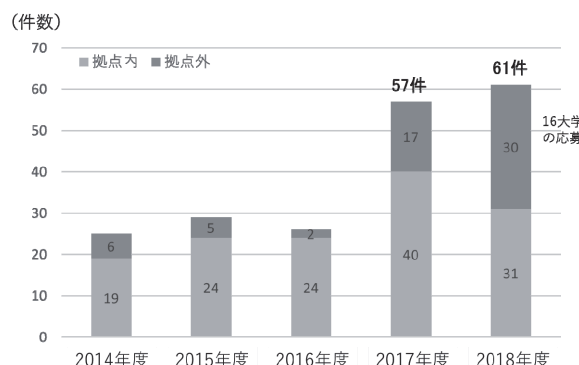


図 5 シーズ A 応募件数の推移