

労働省と文部科学省が共同で実施するプロジェクト「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」*7に同社も参画している。

iPS細胞は、病気になった臓器や組織そのものを作って移植する再生医療だけでなく、患者の病態を再現した細胞を作り、疾患の原因解明や新しい医薬品の開発に生かすこともできる。同社が力を入れる難病・希少疾患は、患者数が少なく、その臨床検体の入手が難しいが、患者由来のiPS細胞(疾患特異的iPS細胞)を作製し培養することにより、継続的に研究開発で使用できるようになる。

「iPS細胞は、創薬の効率化を推し進める上で欠かせない、大切な技術になります。当社が本格的に取り組み始めたいと考えていたところ、このプロジェクトが始まったのです」と松浦さんは参画のきっかけを話す。同プロジェクトでは、得意とする血液分野に参画し、同社研究員が京都大学iPS細胞研究所(CiRA)で新薬候補物質を見つけるべく研究を続けている。

プロジェクト参画の目的は、候補物質を見つけ出すことに加え、iPS細胞に関するノウハウや技術を取得することでもある。将来的には、薬の安全性や有効性を見極められる細胞を自社内で活用したいと考えている。

新薬は開発から市場への投入まで9年から17年かかると言われている中、「患者さんの病態を反映したiPS細胞なら、薬の安全性や有効性を高い確度で確認できるはず。その結果、開発途中でドロップアウトするものが減り、成功率が大幅に向上すると予想されます。研究開発のスピードアップにより、新薬開発にかかるコストも削減できると思います」と森さんは期待を寄せる。

*6 iPS細胞(人工多能性幹細胞):神経や筋肉などさまざまな細胞に成長できる万能細胞の一つ。皮膚細胞等に特定の遺伝子を導入して作るため、同じく万能細胞で、受精卵から作るES細胞(胚性幹細胞)と比べて、生命倫理の問題がない。京都大学の山中伸弥教授が2006年にマウス、2007年にヒトiPS細胞の作製成功を発表し、2012年にノーベル生理学・医学賞を受賞した。

*7 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究:iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究までの一貫した研究体制の構築などを目的とした研究。大学などがiPS細胞を大量に調製し、製薬企業などがそのiPS細胞を用いて新薬の候補となる物質のスクリーニングを行う。

日本が誇るものづくり力で 医療イノベーションを起こす

同社は、これらの研究を行う施設等に対し税制支援を受けており、「特区のメリットの一つである税制支援は、新たな挑戦を積極的に行う当社のような企業にとって、設備投資の後押しになり、非常にありがたい制度だと感じています。また、規制緩和も大切です。例えば、先行する2、3の核酸医薬品の安全性が確認された場合、それ以降に開発するものについては配列は異なるものの、物性が同じであるため、臨床試験の一部の簡略化が認められれば、安全性を確保しつつ、開発期間をさらに短縮することもできるのではないかと考えます」と同社経営企画部経営企画課長の山手幸さんは話す。

今後の医療分野における鍵は、日本が誇るものづくり力だと松浦さんは言う。「日本は医薬品が輸入超過の状態であり、抗体医薬*8やゲノム創薬*9でも海外が主導権を握っているのが現状です。iPS細胞という創薬を革新的に変える技術が日本で生まれたのだから、海外に負けるわけにはいかない。iPS細胞を基盤技術としてうまく使って、核酸医薬や、さらには低分子医薬で革

新的な医薬品を生み出し、病気に苦しむ患者さんのもとに、よりよい薬を、より早く届けていきたい」と松浦さんは締めくくった。



核酸医薬などの研究が行われている創薬研究所1号館

*8 抗体医薬:低分子医薬に代わり、近年急速に市場を拡大している医薬品。核酸医薬と同じく、選択性が高いため理想外の副作用が少ない。

*9 ゲノム創薬:解読されたヒトのゲノム情報を活用し、効果があり副作用の少ない医薬品を効率よく作り出すこと。

京都市内地区

京都市内地区では、国内トップレベルの研究機関を中心に、ライフ分野でイノベティブなプロジェクトが進んでいる。

研究機関が主体となるプロジェクトでは、京都大学のほかに、京都府立医科大学も、ウシオ電機株式会社や大成化工株式会社などの企業と共同で、手術室内でリンパ節がん転移の迅速判断を可能にするシステムの開発に取り組むなど、画期的なプロジェクトを進めている。

企業主体のプロジェクトでは、日本新薬に加えて、株式会社エイアンドティーが医薬品の薬効予測などのためのバイオマーカー開発を進めており、海外と比べて拡充が求められる日本の治験実施体制の強化に資すると期待されている。

iPS細胞の誕生で、ますます勢いづく日本のライフイノベーション。iPS細胞の発信拠点でもある同地区における産学官が一体となった取組みに、今までにない新たな成果が期待できる。



関西国際戦略総合特別区域地域協議会事務局

〒530-0005 大阪市北区中之島5丁目3番51号 大阪国際会議場(グランキューブ大阪)11階
http://kansai-tokku.jp/

京都市内地区

関西イノベーション国際戦略総合特区

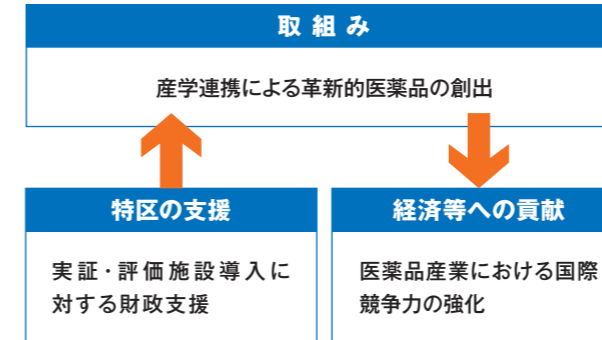
革新的医薬品の研究などを加速し さらなるライフイノベーションを起こす

京都大学など世界屈指のライフサイエンス系研究機関が立地する京都市内地区。2012年に京都大学の山中伸弥教授がiPS細胞の作製でノーベル賞を受賞したことにより、さまざまな研究開発がさらに加速している。iPS細胞や新しい形の産学連携などによって、革新的医薬品をはじめ、医療機器や再生医療でのイノベーション実現に期待が寄せられている。



事例① 京都大学大学院医学研究科メディカルイノベーションセンター

事例概要



医薬品は知識集約型産業で、本来日本が最も得意とするジャンルであるにもかかわらず、日本の医薬品産業は今のところ、世界で高いシェアを占めているとは言い難い。一方、医学研究に関しては、日本は世界トップ3に入る実力を持つという。研究レベルの高さが創薬に結びつかない理由は何か。この課題を解決するために、同センターが設立された。

「創薬においては、産学連携で役割分担することが決定的に重要です。アカデミアの研究成果を製薬企業が引き継ぎ、大病院で治験を進める。一貫通貫の体制があつて初めて、物事がスムーズに運ぶ。この理想を実現する施設としてMICを立ち上げました」と寺西さん。2007年から文部科学省の先端融合領域イノベーション創出拠点の形成事業で、京大がアステラス製薬株式会社と進めてきた革新的免疫制御薬の開発プロジェクト(AKプロジェクト)を水平展開させる形で、新たな産学連携モデルであるMICが設立された。



メディカルイノベーションセンター

日本の医薬品産業が世界で勝つためには

2013年7月、京都大学吉田キャンパス内に、メディカルイノベーションセンター(MIC・京都市)棟が開所した。創薬に特化したオープンイノベーション拠点施設である。京大と製薬企業、さらに京都市が一体となり、京大の最先端医学研究を革新的医薬品の創出へと結びつける事業が進められている。

「MICのミッションは、京大の基礎・臨床医学の研究から得られる学術的成果と製薬企業の最先端創薬技術を結集して革新的医薬品の創出を行うことです」と語るのは、メディカルイノベーションセンター 副センター長で、京都大学大学院医学研究科特任教授の寺西豊さんだ。



メディカルイノベーションセンター 副センター長 寺西豊さん

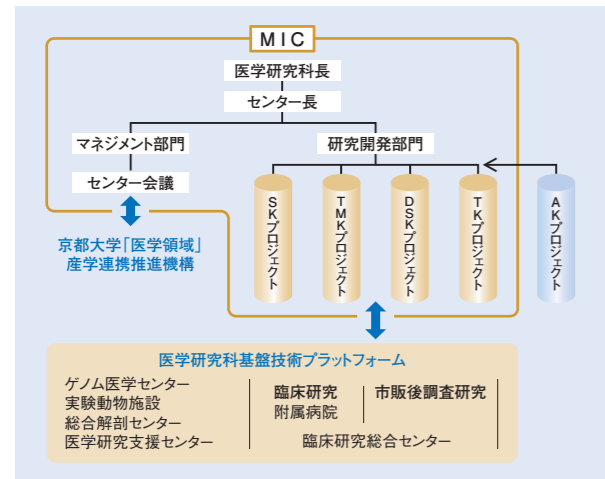
産学連携の課題を解消し 革新的医薬品の開発研究モデルを構築

創薬において産学連携をスムーズに進めるための鍵は、コミュニケーションの深さにある。単純なことだが産学が別の場所で動いているだけで情報共有におけるロスが生まれるのだ。「とにかく一緒にやろうということです。産学が文字通り一つ屋根の下で研究開発に取り組むことで、情報交換がリアルタイム

ムに行われ、両者に蓄積された成果・知恵・スキルが相互活用される。臨床医学と基礎医学、創薬開発の研究者が合同でチームを組めば概念検証※1も早くなる」と寺西さんは話す。従来なかった取組みは大きなメリットをもたらすようだ。

現在MICでは、TKプロジェクト(武田薬品工業株式会社)、DSKプロジェクト(大日本住友製薬株式会社)、TMKプロジェクト(田辺三菱製薬株式会社)、SKプロジェクト(塩野義製薬株式会社)として、大手製薬企業4社と京大が組んだ4つのプロジェクトが走っている。

■ MICの組織図



※1 概念検証: 新しい概念やアイデアに関する本格的な研究を開始する前に、その実現可能性を示す簡単なデモンストレーションなどを行うこと。

疾患ごとに企業と一対一で取り組み 同時に複数のアプローチを持つ

各プロジェクトは、疾患ごとに切り分けられている。オープンイノベーションとはいえ、各プロジェクトの情報は厳重に秘匿されているのだ。

一つのプロジェクト内で複数のアプローチが同時並行で進められているのもMICの大きな特長だ。一つの疾患に対して最良と考えられるアプローチを一つに絞って開発を進めるよりも、成功確率が高まるのが期待できる。

「大学では一つの疾患に対して、何人もの研究者が独自の視点から研究に取り組んでいます。例えばTKプロジェクトは中枢神経系の制御薬開発を狙っています。ここからは肥満症と統合失調症に対する新薬創製の可能性があります」と寺西さんはMICならではの創薬プロセスを語る。同プロジェクトでは3人のチームリーダーの下に、さらに9人の小チームリーダーが付き、総数60名近くの研究者が関わっている。

DSKプロジェクトは、悪性腫瘍に対してコンセプトの異なる複数のアプローチによる治療薬の開発に取り組んでいる。TMKプロジェクトが推進しているのは、慢性腎臓病に関する治療薬の創出だ。SKプロジェクトでは、アルツハイマー病に対して従来とはまったく異なるアプローチが採用された。

「複数のアプローチによる同時進行はトータルで製薬コストの削減も期待できます。とはいえMICで薬を作るわけではない。あくまで創薬につながる化合物の探索に集中します。その後の工程は企業が引き受ける。医学研究の成果が新薬開発につながるものが産学連携の理想的な形です」と寺西さんは語る。

先発したAKプロジェクトは2014年度からはいよいよ最初の臨床試験に入る予定だ。後を追う4つのプロジェクトも、これまでのところ順調に進んでいる。



企業内で研究開発を行う研究者とはテレビ会議などでコミュニケーションを図る

特区を利用してさらなる機能強化を

各プロジェクトを支援するため、特区の財政支援を受けて、治験候補品のヒトでの安全性や有効性を実証・評価するための施設整備などを行っている。そして、さらなる課題解決のために、特区の力が必要だと寺西さんは言う。

一つ目の課題はコーディネーターの育成である。真のイノベーションは大学と企業そしてベンチャーの3者が知的創造サイクルを回したときに生まれる。とはいえ3者がただ集まっただけでサイクルが起動するわけではない。3者を有機的に結びつけて創発を促す存在、コーディネーターが不可欠である。「MICでは、不足しているコーディネーター職育成のための人材教育にも取り組んでいるので、支援してほしいとも考えています」と(寺西さん)

■ 知的創造サイクル



産学連携により、知的創造サイクルを活性化させ、イノベーションを創出する。MICはこれまで埋もれていたアカデミアの知恵を活用し、事業に結びつけるサポートをする

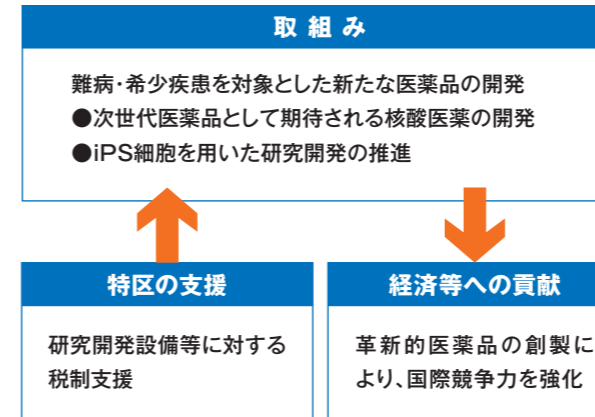
ほかに、創薬標的探索機能の強化、ヒューマンティッシュリサーチセンター※2の設立、治験専門病棟の新設を目指している。

特に創薬の基礎研究を推進するには、ヒューマンティッシュリサーチセンターの早期設立により、臨床情報が明確なヒトサンプルの収集と効率的な研究利用に関する体制整備は欠かせない。さらには、日本初となる治験専門病棟の新設も急ぎたいという。「どれも創薬に対して非常に有効なパワーになるものなので、特区などによる財政支援や規制緩和が望まれます。ぜひとも特区で後押ししていただきたい。その成果が日本の医薬品産業の国際競争力強化につながるのです」と特区への期待を語った。

※2 ヒューマンティッシュリサーチセンター: ティッシュとは、人の体の組織のこと。医薬品などの研究開発を進める上で必要な人体組織を保存する施設。

事例② 日本新薬株式会社

事例概要



難病・希少疾患の医薬品を開発して 病気に苦しむ患者さんに福音を

これだけ医学が進歩した現在でも、まだ有効な医薬品がない難病や、既存の医薬品では望んでいる効果が出にくい疾患がある。患者数はたとえ少なくとも、そうした疾患の一つ一つ向き合うこと。それが日本新薬株式会社(京都市)の使命だという。

最先端の技術を生かして創薬研究を行っている同社において、なかでも、近年、次世代医薬品として世界中で注目を集める核酸医薬開発の歴史は長く、世界でも数社しか持っていない高度な核酸合成技術を有している。核酸医薬とは、病気の原因となる遺伝子を直接ターゲットとする薬で、現在、最も広く使われている低分子医薬※3では治療が難しいとされる疾患に対しても、高い治療効果が期待できる。

「核酸医薬というのは、難病・希少疾患※4に対して、非常に有効なアプローチなのです。薬として認められたものはまだ世界に2つしかありませんが、これまでの薬と比べて、開発スピードが速いという特長もあり、もうすぐ核酸医薬の時代がくるはずですよ」と、同社取締役で研究開発部長の松浦明さんは話す。

核酸医薬と従来から強みを持つ低分子医薬の開発を連携させることで、それぞれで革新的医薬品を作り出すことを目指している。



日本新薬
取締役・研究開発部長 松浦明さん

※3 低分子医薬: 核酸医薬と比べて製造コストは低く薬効も多様であるが、ターゲットに対する結合力や選択性が劣り、思わぬ副作用が出るリスクが相対的に高い。

※4 希少疾患: 患者数が極めて少ないまれな疾患。

長年の経験から得たノウハウを生かして 核酸医薬で革新的な医薬品を作る

同社は長年のノウハウを生かし、国産初の核酸医薬の開発に向けて、デュシェンヌ型筋ジストロフィー※5を対象に、2009年

から、独立行政法人国立精神・神経医療研究センターとの共同研究に取り組んでいる。

「筋ジストロフィーとは遺伝子の異常により起こる疾患で、だからこそ核酸医薬に期待できます。この医薬品に用いられている核酸は、合成が非常に難しく、世界でも作れるところはほとんどない。しかし、われわれには長年にわたる合成技術の蓄積があったので、わずか数カ月で合成に成功しました」と、同社研究開発本部 東部創薬研究所長の森和哉さんは語る。さらに新薬候補の核酸化合物をふるい分けするスクリーニングも短期間で行い、共同研究開始から約4年後の2013年7月に臨床試験を開始。2018年の市場への投入を目指している。「低分子医薬と比べると、非常に速いスピードで進んでいます。核酸医薬の基盤技術から、合成やスクリーニングの技術まで、総合的に力がある当社の強みを生かした結果だと言えます」と(森さん)

しかし、核酸医薬には解決すべき課題もあると森さんは言う。「核酸を目的の細胞に効率的かつ安全に届ける技術は、まだまだ改善が必要とされています。われわれも今後、その改善に取り組む、『次世代の核酸』と呼ばれるようなものを作っていきたい。さらには実際の薬を作る段階を想定し、製造面での改良も重ねていきたいですね」



細胞に電流を流し、
薬効を探る装置



核酸医薬を
自動合成する装置



核酸医薬を
効率よく精製する装置

※5 デュシェンヌ型筋ジストロフィー: 筋ジストロフィーの中で最も代表的なタイプで、筋力の低下により、最終的には死に至る重篤な疾患。男児3500人に1人の割合で発症する。現在のところ、わずかに進行を遅らせるステロイド剤以外に有効な治療法は存在しない。

iPS細胞を使って効果的な開発の実現へ

最先端の技術を生かしたもう一つの創薬研究として、iPS細胞※6を用いた医薬品の開発がある。2013年から始まった厚生