

# 北大阪地区



## 革新的な医薬品・医療機器・再生医療の実用化を目指すバイオクラスター

彩都ライフサイエンスパークを中心にバイオ関連企業や研究機関が集積する北大阪地区では、その特長を生かして革新的な医薬品や医療機器、再生医療の研究開発が進められている。

### 事例 ① 株式会社ジーンデザイン

#### 事例概要

##### 取り組み

次世代医薬品として期待される  
核酸医薬の開発

##### 特区の支援

研究開発設備等に  
対する税制支援、  
金融支援

##### 経済等への貢献

日本の医薬品市場  
シェアの拡大

#### 治療効果の高い 核酸医薬を開発

次世代医薬品として注目を集める核酸医薬の研究開発に取り組む同社。核酸医薬の原料の製造や高機能化をはじめ、核酸医薬の診断薬の素材や製法などを開発し、国内外の製薬企業やベンチャー企業に提供している。

核酸医薬は、治療薬として広く使われている低分子医薬と異なり、病気の原因となる遺伝子に直接作用する。そのため、有効な治療薬がない病気において治療効果が期待されている。

2000年に創業し、いち早く核酸医薬に着目した。「近年市場を拡大している抗体医薬も、核酸医薬と同じく大きな治療効果があります。ただ大規模な設備が必要で製造コストが膨大にかかる。一方、核酸医薬は低分子医薬と同じく大量生産が可能で、研究が進めば製造コストが下がる可能性が大きい。とても将来性のある医薬品です」と代表取締役の湯山和彦さんは語る。

#### 開発・製造拠点を次々整備 大量製造を可能に

2010年、国内最大級の核酸治験薬製造設備を開発し、その後、核酸医薬の医薬品製造許可を国内で初めて取得。さらに第1回特区計画の認定を受け、国内初の核酸医薬に関する研究センター「核酸医薬CMC研究センター」を彩都ライフサイエンスパーク内に建設した。ここでは、同地区内に立地する独立行政法人医薬基盤研究所や大阪大学の研究機関と共同で、核酸医薬原料の製造プロセス



核酸医薬CMC研究センターと代表取締役の湯山和彦さん

や製造技術の開発、原料や製品の品質保証を行っている。

2016年、以前から共同研究を進めていた味の素グループと合併。核酸医薬原料の一つであるオリゴ核酸の製造において、ジーンデザインが有する「固相合成法」による少量多品種生産から、味の素が有する「液相合成法」による大量生産まで、さまざまなニーズに応えられるようになった。

そして2019年には、オリゴ核酸の開発・生産拠点として「核酸医薬API開発センター」を開設する予定だ。新拠点の生産能力は国内最大規模で、日本で初めて1ロット当たりの生産量がキログラム単位に拡大。今の約100倍にもなるという。

「核酸医薬開発の研究段階で必要なのは数マイクログラムから数十ミリグラム。ヒトへの臨床試験でも数百グラム。ところが商品製造ではキログラム、トン単位が必要となります。現在、わが社は国内最大の核酸医薬製造機関ですが、世界的に見ると欧米の規模には及ばない。でも、新拠点が誕生すると世界最大規模の製造機関となり、今後増えると予想される



需要に応えることができます」と湯山さんは期待を込める。

一方、核酸医薬にも課題はある。コストがまだ高いこと、体内で分解されや

核酸医薬CMC研究センターにある核酸合成装置



核酸医薬API開発センターのイメージ図

すく病原の遺伝子に届ける技術が十分に確立されていないことなどにより、まだ世界でも6種類ほどしか実用化されていない。「コスト削減は我々の使命だと考えています。また、薬を患部に届ける技術も着々と開発されています。これらの課題が解決すれば、あっという間に核酸医薬は広がるでしょう」

#### 特区による支援で グローバル化に対応

同社の事業は特区計画に認定されたことにより、これまでに補助金や税金の一部免除など多くの金融支援を受けている。「創業から約20年でここまで成長できたのも資金面の補助があったからこそ。医薬品関係は研究開発に長い時間がかかります。行政の支援は非常にありがたいですね」と湯山さん。

立地面でのメリットも大きいという。彩都周辺には国の研究機関や大学の研究施設が集積しており、これまでに共同開発を実施してきた。「産学官共同のプロジェクトであれば予算的措置が取られるので、人が雇えるし、開発も加速できます」

大阪には製薬企業が多いが、核酸医薬は製造技術が高度化しており、同社のような専門性の高い原料開発メーカーとの共同開発が不可欠となる。「われわれの役割は核酸の性能を高め、コストダウンにつなげること。核酸医薬を普及させるための縁の下の力持ちとして頑張っていきたい」と湯山さん。今後、核酸医薬のマーケットは全世界に広がり、需要も一層拡大すると見られている。同社の取り組みは医薬品市場において日本の国際競争力を高める一翼も担う。

## 事例概要

## 取り組み

PET薬剤等の新規診断薬の  
研究開発および供給

## 特区の支援

研究開発施設・  
機器等に対する  
税制支援

## 経済等への貢献

医薬品市場の  
拡大と  
国民医療への貢献

2mの厚さのサイクロترون室の遮断扉

新たな研究開発拠点で  
アルツハイマーの薬剤開発

PET検査とは病気を診断する画像検査法の一つで、特殊な検査薬を注射して細胞に目印をつけ、体の外から目印を検出する。単に目印の体内分布を画像化するだけでなく、生体機能の動きが分かるので、がんなどの診断に広く活用されている。近年は、高齢化に伴い大きな課題となっているアルツハイマー型認知症の診断にも役立つことが期待されている。

同社は、PET検査用医薬品(PET薬剤)市場に参入するため、彩都の西部地区に研究開発拠点「茨木PETラボ」を設け、新しいPET薬剤の研究開発・供給に取り組んでいる。

同ラボでまず目指したのは、アルツハイマー型認知症を診断するためのPET薬剤開発とオーダーメイド医療に対応できる調製・供給体制の確立だった。

「アルツハイマー病は脳内の神経細胞が壊れることで脳の機能が衰えていく疾患ですが、脳内にアミロイドβというタンパク質が蓄積することから始まると言われていました。そこで、アミロイドβに結合する物質に放射線で目印をつけた薬剤を使ったPET検査で、脳内アミロイ



茨木PETラボ

ドベータブランクを可視化できるのです」

そう語るののは執行役員生産本部長でPETセンター長を務める山本卓男さんだ。アミロイドβの蓄積は発症する約20年前から始まっていると見られており、早期診断により早期に治療を開始できる。特にアルツハイマー病の発症予防や進行抑制を目指した新しい治療薬の開発に、アミロイドイメージングPETが大いに役立つものと期待されている。

同社は、米国系の大手製薬企業と脳内アミロイドベータブランクの可視化を目的とするPET薬剤「アミヴィッド®静注」の共同開発を進め、2016年に製造販売が承認された。さらに、がんや虚血性心疾患、てんかんの診断を目的とする「フルデオキシングルコース(18F)静注(FRI)」を開発し、「アミヴィッド®静注」に続く二つ目のPET薬剤として製造販売承認を得た。

個々の患者に合わせて  
最適の検査薬を調剤し提供

PET検査は、フッ素-18など陽電子を放出する元素で目印を付けた薬剤を注射し、体内から放出される放射線を画像診断装置のPETカメラで画像化する。フッ素-18は半減期が2時間弱と短く、時間とともに放射能が減っていくため、PET薬剤は規定の時刻(検定時間という)に一定の放射能となるように調製されて医療機関に供給される。

PET薬剤を検定時刻より早い時間に投与してしまうと、必要以上の無用の放射能を投与することとなり、逆に検定時間より遅く投与すると必要な放射能が不足するため検査の精度が得られなくなる。そこで、同社が開発したPET薬剤については、患者さんごとの個別の

検査時間に合わせて必要な放射能となるよう調剤して医療機関に供給する「フレキシブルドーズ製剤」という方式を採用している。

「今は医療現場でPET薬剤の投与量を調整していますので医療従事者の被ばくが増えています。私たちは患者さんに検査時間に合わせて最適なPET薬剤を届け、患者さんにも医療従事者にもやさしいPET薬剤とすることで、オーダーメイド医療への一歩を目指しました」と山本さんは言う。

特区制度を活用し  
オーダーメイド医療を実現

従来は、PET薬剤も全てのバイアルが一定の容量規格であったが、個々の患者さんの検査予定に合うようバイアルごとに異なる容量規格とすることが可能になり、個別医療を求める時代の要請が、同社の取り組みの追い風となった。

PET薬剤の調製施設の設置には医薬品GMP(製造管理、品質管理の基準)に適合するなどの条件を満たすため大きな投資が必要となるが、「医薬品研究開発の促進を掲げる特区の事業に認定されたことで取り組みが可能となった」と山本さんは強調する。

特区事業として実施できることで機器などへの投資税額が控除対象となり、企業の特区事業開始時の負担が軽減される。特区制度を活用して成果を挙げた成功例といえる。

「PET検査は感覚が非常に高いものの、PET薬剤の調製等における作業員の被ばくの問題がつきまといまいます。医療における役割は大きいので、安全性の面で特に気をつけながら業務に励んでいます」と山本さんは表情を引き締める。医療に大きく貢献する分野だけに、その進展に広く注目が集まっている。



品質試験室

## 北大阪地区

北大阪地区では、バイオクラスターの強みを生かし、ライフ分野を中心にさまざまなプロジェクトが進んでいる。

再生医療分野では、大阪大学が世界初の細胞シートによる心筋再生医療の開発に株式会社テルモと取り組んでいる。また、京都大学と大阪府立大学が共同で次世代がん治療法の

実用化に向けて治験を行っている。

さらに、独立行政法人国立循環器病研究センターや大阪商工会議所などを中心に、医療機器や技術をパッケージ化し、海外の医療従事者へのトレーニングを通じて医療機器を海外展開するという事業モデルの構築に向けて活動している。

