

内閣総理大臣 安倍晋三 殿

内閣官房長官 菅義偉 殿

内閣官房副長官 加藤勝信 殿

内閣官房副長官 世耕弘成 殿

健康・医療戦略室長 和泉洋人 殿

医療分野の研究開発に関する専門調査会座長 永井良三 殿

日本版 NIH 構想に対する提言

2013 年 10 月 31 日

日本医療政策機構

R&D Head Club



現在、ヘルスケアサイエンスに関わる省庁は、厚生労働省、文部科学省、経済産業省等の複数にまたがっている。このたび議論されている新たな独立行政法人日本医療研究開発機構（仮称）（以下、新独法）が現行制度と異なり新たに一元化され機能するためには、「厚生労働省連携事業」、「文部科学省関連予算」などといった旧省庁の影響が無いような制度設計を期待する。例えば、新独法は中立的な内閣府に置くことを検討してはどうか。

さらに将来的には、ヘルスケアサイエンスの研究開発施策を国として一貫制のあるものとし、基礎研究と臨床研究の好循環を起こし、レギュラトリーサイエンスの推進、医療ビッグデータ解析を促進するためにも、散在する機能を集約した省庁の設立を目指すことが望ましい。新独法はその基盤のひとつとなることから、日本のヘルスケアサイエンスの将来のために必要な機能・役割とは何かを見定めることが重要である。

日本のヘルスケアサイエンスの将来を担う構想であることから、よりよいものとするためにも産官学が一緒になったオープンな場でこの新独法について議論することが望ましい。

このたび、新独法に関する法案が国会に提出されるにあたり、以下の提言を行う。

なお、R&D Head Club は研究開発志向型の国内および外資系製薬企業の研究開発部門の責任者より構成される団体である。

提言主旨：

- ▶ 新独法の組織長は、ヘルスケアサイエンスを熟知し、かつグローバルの研究機関や行政当局とも十分な議論が行える人材であるべきである。
- ▶ 主要ポストにはシーズの評価、選定等の十分な専門知識やスキルを有する人材が望ましく、国内の人材に制限することなく経験やスキルを十分に有する海外の人材の活用も考慮すべきである。
- ▶ ドラッグディスカバリー、臨床薬理学、毒性学、生物統計学、医工連携の専門家、プロジェクトマネージャーをしっかりと配置するべきである。
- ▶ 戦略的に研究の推進や実用化を行うための支援ができるよう、国際感覚やビジネスセンスが備わった人材が管理部門には必須である。
- ▶ 関係省庁のインハウス研究や科研費等の関連予算を全て合算した予算規模を新独法が持つべきである。そして、医薬基盤研究所本体、ナショナルセンターの研究所すべてを新独法が統括するべきである。
- ▶ 国際的に競争力を持つために国の予算だけではなく、マッチング制度等民間からの資金提供や個人の寄付の受け入れが可能な基金制度を導入すべきである。
- ▶ 新独法が将来的に果たすべき役割について、具体的な数値目標を持つなどの将来設計を明確に示すべきである。
- ▶ シーズに関する情報を一元管理し、かつアクセスができるような透明性と効率性を求める。
- ▶ バイオロジー研究や基礎研究のさらなる発展とその戦略的な活用、臨床への応用にも十分な予算づけも必要である。特に希少がん（適応拡大の開発も含む）、希少難病のようなアンメットメディカルニーズには十分な支援が必要である。
- ▶ 医療情報の電子データ化、パーソナルヘルスレコード（PHR）の構築およびそれらビッグデータの活用のインフラ整備におけるリーダーシップを期待する。総務省の予算も日本版 NIH に含めるべきである。
- ▶ 大学と PMDA、国立医薬品食品衛生研究所によるレギュラトリーサイエンス研究を推進し、早期薬事承認と市販後の有効性、安全性のビッグデータ評価の枠組みを整備するべきである。米国 FDA のように、PMDA、国立医薬品食品衛生研究所も将来的な統合を見据えて、体制と連携の強化も期待する。
- ▶ 新独法の研究費は、単なる助成にとどまらないよう、研究の進捗管理や具体的な成果をタイムリーに可視化する仕組みと、第三者も成果が理解し得る検証の仕組みが必須である。

I. 新独法の運営に関して

1. 人材確保について

新独法の組織長は新独法の適切な運営を行うのみならず、日本のヘルスケアサイエンス研究を振興させ、国際競争力を有すものに導く役割も担うものとなることが求められる。そのため、関連省庁や製薬企業等の単なる天下りではなく、ヘルスケアサイエンスを熟知し、かつグローバルの研究機関や行政当局とも十分に議論し、相互の信頼を構築できる人材であるべきである。特に日本のヘルスケアサイエンスの将来への舵取りを担うため、そのポジションは非常に重要であり、アカデミアにも精通しているなど適切な人物が組織長に就任することを望む。

主要ポストにはシーズの評価、選定等の十分な専門知識やスキルを有する人材が望ましく、国内の人材に制限することなく経験やスキルを十分に有する海外からの人材の活用も考慮して頂きたい。優秀な海外からの人材を登用するために、競争力のある報酬を出せるように給与体系の整備が必要である。ドラッグディスカバリー、臨床薬理学、毒性学、生物統計学、医工連携の専門家、プロジェクトマネージャーをしっかりと配置するべきである。また、積極的な人材交流も考慮してもらいたい。新独法とアカデミア、民間企業、規制当局とで人材交流が活発化することで、アカデミアに新独法等での業務を経験したスタッフが配置されることになり、さらなる日本の研究開発基盤の強化につながるものと考えられる。加えて、新独法には内部の人材育成はもちろんのこと、外部の人材の教育機会やキャリアパス支援を提供できるシステムも必要である。

新独法が機能するためには管理部門となる事務サイドの人材（事務局長など）も重要であり、ヘルスケアサイエンスに携わったことがない官僚の出向先となってはならない。研究者と産業界を橋渡しする窓口としての役割も担うため、単に業務を行うだけではなく、戦略的に研究の推進や実用化を行うための支援ができるよう国際感覚やビジネスセンスが備わった人材が管理部門には必須である。

2. 予算について

現在、新独法の予算に関しては1,000～2,000億円規模程度で議論されているが、かなり小さい。ヘルスケアサイエンスに関する予算を有している厚生労働省、文部科学省等のインハウス研究（医薬基盤研究所全体、国立がん研究センター、国立成育医療研究センター、国立循環器病研究センターなどすべてのナショナルセンターの研究所）や科研費（文科省、経産省、総務省等のヘルスケア研究を含む。）等の関連予算を全て合算し統括することで、大きな予算規模で新独法が運営されることを期待したい。

また、政府予算のみではその予算規模も限られてしまうことから、より大きな研究予算が確保できるように、マッチング制度等国内外を問わず産業界や個人からの資金提供が可能な仕組みを導入し、十分な国際競争力を持つような規模とすべきである。官民合

わせて、7,000 億円レベルの予算規模を期待する。さらには、米国の NIH 等海外の研究組織と共同研究できる仕組みも検討すべきである。

限られた予算規模の中で成果に結び付けていくには、メリハリのある予算付けをし、選択と集中を行う必要もある。

3. 運営評価について

新独法の運営評価については、官民対話等を活用し産業界と相談しつつ具体的な数値目標を持つなどの将来設計を明確に示すべきである。その上で、新独法の目指すべき姿を具体化するため数年毎のマイルストーンも示すべきである。それぞれの段階で、目標に対しての進捗が産業界も含めた評価委員により評価できる仕組みが重要である。

具体的数値目標としては、スキームから出てくる候補物質の臨床開発への移行した数、アカデミアやベンチャーが起源となる医薬品承認取得数や新独法が評価した医薬品等の売り上げなど、従来の論文数やインパクトファクターなどではなく、実用化に向けたマイルストーンの中で評価する仕組みとすべきである。

II. 研究プログラムについて

1. シーズについて

現在、各大学や研究機関が抱えるシーズに関する情報が散在しており、医薬品、医療機器、細胞医療、遺伝子治療、体外診断薬等として開発する上でこれらの十分な情報もないのが現状である。新独法ではシーズに関する情報を一元化し、企業が評価できるような仕組みを構築すべきである。それにより、企業と各大学や研究機関の協業の機会が増え、新独法の目指す日本発の創薬に貢献できる。また、企業としては特許等の知財に関する情報も重要であり、知財情報の管理もサポートできる仕組みの構築を期待したい。

より多くのシーズを創出するためにも、日本の基礎研究力のさらなる強化を期待したい。例えば新独法が重点としている疾患領域では、基礎研究にも十分な予算配分や研究支援が必要である。iPS 細胞に関する研究に代表される、世界に先駆けて日本から真のイノベーションが創出できるべきである。例えば、iPS 関連の事業で各省に別々に申請をさせたり、各省に別々の報告書を提出させるような煩雑さも解消するべきである。また、単に、シーズの創出に限らず、バイオマーカーや診断技術の開発、Modeling&Simulation や新たな統計手法の開発も行えるようにすべきである。

研究において国際的な競争力を持つ大学を増やすために、大学ごとに強い研究分野を集中させ特長を持たせ、より専門性を高める必要がある。現在のように各大学や研究機関でそれぞれに行うのではなく、中心となる施設を決め国内の研究を統括するような仕組みも検討すべきである。

また、研究成果が実際の医療として国民の健康増進に実用化されるためにも、医薬品・医療機器等の許認可や保険財政を主管している厚生労働省や承認審査の実務を担当している医薬品医療機器総合機構との連携は必須である。

2. 民間とのコラボレーションについて

製薬企業は、自社ビジネスに関連した研究のみならず、先進的な研究は積極的にサポートしていきたいと考えている。そのためには、欧州のIMI(Innovative Medicine Initiative)のように、製薬企業と各大学や研究機関がともに研究に参画できるよう、その仕組みを構築してもらいたい。

3. 医療情報の電子データ化およびその基盤整備について

治験データ、電子カルテ、レセプト情報や医薬品の副作用情報などさまざまな医療情報をより効率的に、かつ戦略的に活用できるよう基盤を整備することで日本の基礎、臨床研究の競合優位性を飛躍的に高める可能性があると考え。大学とPMDA、国立医薬品食品衛生研究所によるレギュラトリーサイエンス研究を推進し、早期薬事承認と市販後の有効性、安全性のビッグデータ評価の枠組みを整備すべきである。米国FDAのように、PMDA、国立医薬品食品衛生研究所も将来的な統合を見据えて、体制と連携の強化も期待する。新独法には、個人情報匿名化やインフォームドコンセントなど乗り越えるべき課題の整理とその解決に向けたルール整備(国会議員による議員立法もひとつの選択肢)など、医療情報の電子データ化、組織や細胞、遺伝子バンクとの臨床情報の連結、およびそれらビッグデータの活用のインフラ整備におけるリーダーシップも期待したい。ビッグデータを構築するためのデータベースの取りまとめの拠点を整備するとともに、それらを活用するための生物統計家やデータサイエンティストを十分に確保できるよう働きかけることも必要である。例えば、がん領域では国立がん研究センターを解析拠点に置くなど、重点領域別に解析拠点を整備する必要がある。

4. 成果、進捗の検証について

新独法に期待する機能は、単なる予算配分ではなく日本のヘルスケアサイエンス研究が確実に成果として結びつき、基礎研究と臨床研究(治験、疫学を含む)の好循環を生んでいく仕組みづくりである。したがって、助成を行った研究に関して、研究の進捗管理や具体的な成果をタイムリーに可視化する仕組みと、第三者も成果を理解し得る評価基準の策定が必要である。実用化という成果がでるまでに長期を要する研究においてもマイルストーンを明確にし、段階的に助成の継続の可否を評価しうる仕組みも必要である。これらに加え、シーズの実用化に向けての出口戦略を見据え、検証の中で個々の研究の強化や集約化を指導できる仕組みも必須である。

参考：特定非営利活動法人 日本医療政策機構

(Health and Global Policy Institute (HGPI))について

- 代表理事：黒川 清
- 設立：2004年4月
- ウェブサイト：<http://www.hgpi.org/>
- 設立趣旨等：

日本医療政策機構は、設立当初より「フェアで健やかな社会を実現するために、新しいアイデアや価値観を提供し、グローバルな視点で社会にインパクトを与え、変革を促す原動力となること」をミッションに掲げ、欧米の多くのシンクタンクが政府とのつながりを強く持つ一方、日本医療政策機構は中立性を堅持し、活動を行っているシンクタンクである。2013年1月にペンシルバニア大学が発表した「世界のシンクタンクランキング」健康政策部門において19位にランクインし、アジアでは第1位のシンクタンクとして位置づけられている。