

新薬展望 2015

第 I 部 新薬創出における日本医療研究開発機構 (AMED) の役割

2. 研究者の立場から

1) 医学系研究者

～日本医療研究開発機構の 果たす役割と医学研究者への期待～

宮田 俊男*・黒川 清**

アベノミクス第3の矢の目玉の一つである日本版 NIH (National Institutes of Health) 構想であるが、2015年4月に日本医療研究開発機構 (AMED) が設立されることになり、国内外から大きな役割が期待されている。トップダウンで実用化の出口を見据えつつ、基礎研究の有望な成果について実用化まで一貫したマネジメントのもと、研究支援がなされるだろうという期待である。これまで、基礎研究は文部科学省の、実用化は厚生労働省と経済産業省の所管であり、縦割り行政に横串を通すことはなかなかできなかった。日本版 NIH 構想が、これまで長年要望されながらも実現が難しかったのは、臨床研究予算の増額が基礎研究予算の減額につながり、基礎研究力が低下する可能性のあることがアカデミアから懸念されていたことと、予算権限を手放すことになる各省の官僚からの抵抗が強かったためである。今回も基礎研究者から懸念する意見があったが、基礎研究の予算を減額することはないと政府は説明し、引き続き、基礎研究の推進を進めることを前提とすることにより、基礎研究者の理解を得て、さらに政府の強いリーダーシップの下、各省との調整がなされた結果、2014年2月12日に国会に提出され、5月23日に新しい法律が成立した。健康医療戦略推進法とAMEDについて解説を行い、残された課題についても言及する。

■キーワード：健康医療戦略推進法，日本医療研究開発機構，臨床研究，レギュラトリーサイエンス，人材の流動化

1 はじめに

アベノミクス第3の矢の目玉の一つである日本版 NIH (National Institutes of Health) 構想であるが、2015年4月に日本医療研究開発機構 (AMED: Japan Agency for Medical Research

and Development) が設立されることになり、国内外から大きな役割が期待されている。トップダウンで実用化の出口を見据えつつ、基礎研究の有望な成果について実用化まで一貫したマネジメントのもと、研究支援がなされるだろうという期待である。

*日本医療政策機構・エグゼクティブディレクター (みやた・としお)

**政策研究大学院大学・客員教授 (くろかわ・きよし)

2 AMED 設立の背景

従来、基礎研究は文部科学省の、実用化は厚生労働省と経済産業省の所管であり、縦割り行政に横串を通すことはなかなかできなかった。基礎研究のアウトカムは論文数であり、大学においては実用化マインドは、臨床研究が多額な予算と人材リソースおよび長い研究期間を要することもあって高いとは言えず、論文の投稿に留まっていた。一方、経済産業省の事業のアウトカムは特許申請数であるため、実際には実用化に役に立たない特許が多くとられ、特許維持の無駄なコストがアカデミアに重くのしかかっていた。さらに厚生労働省は規制官庁であり、新しいイノベーションに対する評価方法を現場とともに講じることもなく、有望な基礎研究の成果は日本国内ではなく、主に米国で実用化されてきたのが現状である。

もともと民主党政権の際に健康・医療戦略室の前身である医療イノベーション推進室が設置され、文部科学省の橋渡し事業、厚生労働省の早期探索的臨床試験拠点事業、臨床研究中核病院事業、レギュラトリーサイエンスの補助事業や経済産業省の医療機器の課題解決型事業など、少しずつ実用化志向の事業が増えてきたことも、安倍政権にとっては良いタイミングであったであろうと考える。省庁横断的組織の設立が、これまで長年要望されながらも実現が難しかったのは、臨床研究予算の増額が基礎研究予算の減額につながり、基礎研究力の低下を招く可能性があることをアカデミアが懸念していたことと、予算権限を手放すこととなる各省の官僚からの抵抗が強かったためである。

今回も基礎研究者から懸念する意見があったが、基礎研究の予算を減額することはないと政府が説明し、引き続き、基礎研究の推進を進めることを前提とすることにより、基礎研究者の理解を得た。さらに政府の強いリーダーシップの下、各省との調整がなされた結果、2014年2月12日に国会に提出され、5月23日に新しい法律が成立した。

3 健康医療戦略推進法と AMED

健康医療戦略推進法の基本的施策（第10～16条）において、国は医療分野の研究開発、環境整備、成果の普及と新たな産業活動の創出、活性化に関し、以下の基本的施策を講ずるとされている。

- ・医療分野の研究開発の推進およびその環境の整備
- ・医療分野の研究開発の公正かつ適正な実施の確保
- ・医療分野の研究開発成果の迅速かつ安全な実用化のための医薬品等の審査体制の充実、安全性等の評価に関する科学の振興
- ・新産業の創出および海外展開の促進、教育の振興、人材の確保

これまでの文部科学省、厚生労働省、経済産業省の縦割り行政を打破し、基礎研究の成果を医療の質の向上や産業化へつなげていくために、日本が弱かった基礎研究の研究成果の展開に関するマネジメント、臨床研究のデータ管理、知財、倫理等の研究支援体制への研究費の拡大、企業への橋渡し機能を果たしていくことになっている。そして、健康・医療戦略の推進を図るため、内閣に、健康・医療戦略推進本部（内閣総理大臣を本部長とし、全閣僚を構成員とする）を置くこととなった。なお、政府が2013年6月に閣議決定した「日本再興戦略」では、米国NIHを参考に、医療分野の研究開発の司令塔機能を有する「日本版NIH」を創設すると謳われていたが、日本版NIHという用語は、米国NIHとの予算規模や仕組み（予算のパーセントエフォート管理）が異なるほか、米国NIHは多数のインハウスの研究所を有することから誤解を招くおそれがあるため、政府内では現在は使われないことになっている。

まずは米国NIHのミッションと同様に、基礎研究を健康・医療の質の向上や産業化に活かすというミッションを持たせ、日本の基礎研究の強みを活かし、研究プロジェクトの選定にはピア・レ

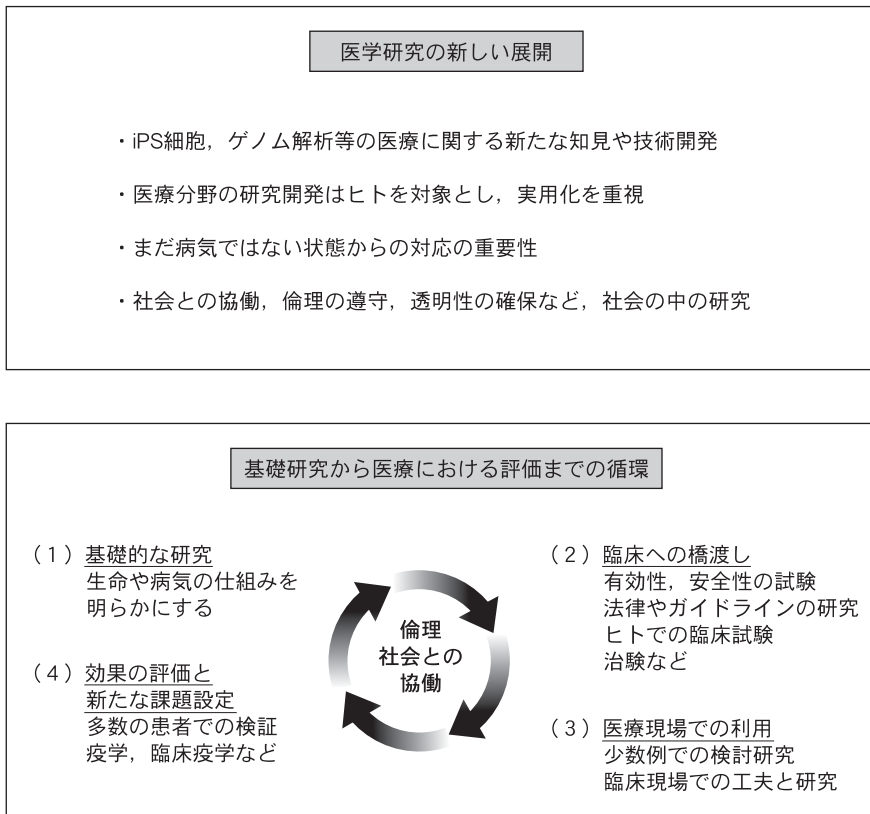


図1 医療分野の研究開発に関する総合戦略

医学研究は近年、長足の進歩を遂げているが、医学は本来、ヒトに応用されることを前提にしたサイエンスであり、予防医学の成果も踏まえ、社会へと開かれた研究であることが望まれる。そのためには、基礎から臨床までの一貫した研究サイクルの確立が不可欠であり、日本医療研究開発機構 (AMED) の貢献すべきフィールドは幅広い。

(筆者ら作成)

ビュー方式を取り入れている。そして選定した後は、プログラム・ディレクター、プログラム・オフィサーにより出口を見据えつつ、PDCA (Plan-Do-Check-Act) 管理していく方針である。これまで長年、文部科学省の予算は基礎研究に投じられ、その成果についての多くは出口戦略が描かれず、厚生労働省の臨床研究を支援するプロジェクトにはなかなか乗れなかった。今回の新しい独立行政法人であるAMEDの所管省庁は、文部科学省ではなく、厚生労働省でも経済産業省でもなく、内閣府に置かれることになっている。

基礎研究の成果は、医療の質の向上や産業化に資するよう各省の予算が統合化され、プロジェクト管理されるようになる。同時にレギュラトリーサイエンスも推進され、新薬や医療機器、再生医療、遺伝子治療を含む新しい医療技術の審査ガイドライン作りも進むだろう。またiPS細胞(人工多能性幹細胞)については、網膜や心筋、神経などの再生医療だけではなく、難病・希少疾患などのドラッグ・ディスカバリーの効率化やiPS細胞由来の心筋細胞による毒性試験のようなレギュラトリーサイエンス領域でも期待されており、この

2. 研究者の立場から 1) 医学系研究者～日本医療研究開発機構の果たす役割と医学研究者への期待～

ような日本の強みを活かした支援も AMED の特徴となることは間違いないと思われる。

AMED に統合される予定の医薬基盤研究所の創薬支援戦略室には、既に製薬企業から開発の経験などを有する有能な民間の人材が 30 人程度雇用されており、これらの人材が AMED に参加することで、出口を見据えたプロジェクト・マネージングが期待される。アカデミアにとっては、PMDA (医薬品医療機器総合機構) の薬事戦略相談を活用し、AMED の支援も得つつ、効率的かつ着実に進められるようになることが期待される。今回の構想によって、ライフサイエンスの基礎研究者にとっても、自身の研究成果が臨床研究を通じて実用化されることはモチベーション向上につながるだけでなく、臨床研究によって生じる新たな医学的疑問は基礎研究の新しい対象になり得る。臨床研究と基礎研究の好循環システムが構築されることが期待される。(図 1)。

4 おわりに～今後の課題～

今回の国会審議の過程で、AMED とナショナルセンターは連携を強化すべきと付帯決議もなされている。健康医療戦略参与会合でもナショナルセンター研究所および医薬基盤研究所を AMED の下、統合すべきとの意見もあった。

AMED とナショナルセンターとの連携が強化されれば、実用化へのドライビング力がさらに増すようになるだろう。国立がん研究センター、国立循環器病研究センターなどのナショナルセンター、医薬基盤研究所の活性化が同時に進めば、がん、循環器病、認知症、小児疾患などの疾患別

のプロジェクトの促進も期待される。がん登録法、難病対策に係る法律も成立したところであり、各種疾患の疫学研究も進めることが重要である。

また 2014 年の通常国会で医療法も同時的に改正され、法的に臨床研究中核病院が指定されることになり、臨床研究を重点的に実施する病院の選択と集中、ネットワーク化も進んでいこう。特に臨床研究を支援する生物統計家、臨床研究コーディネーター (CRC) やデータマネージャーは極めて不足しており、医療法に基づく臨床研究中核病院の要件に具体的に盛り込まれることが期待される。

今後、さらに政府の健康・医療戦略を後押しするために IT (情報技術)、ビッグデータの活用やベンチャー企業へのファンディング改革、臨床研究の法規制のあり方の検討などが検討されていく予定である。認知症は今後ますます世界的な重点課題となっていくが、健康・医療・介護 IT の分野は総務省も加えて縦割り行政の弊害が強く、新設された健康医療戦略担当大臣の下、より一層のリーダーシップが期待される。一方、医学系研究者サイドにおいても、人材が大学内のみに留まるだけでなく、AMED、PMDA、政府機関、民間企業、シンクタンクを含めた人材の流動性を活性化させていく意識改革が重要となるだろう。

AMED の予算額はまだまだ十分とは言えず、国費の増加だけでなく、今後は民間資金や個人寄付も加えた官民ファンドの構築の検討も必要だろう。アベノミクス第 3 の矢の改革は、まだまだ多くのやるべきことを残している。

