

Welcome !

厚労省(大津班) ・ 文科省 (矢守班)
第2回がん新薬開発合同シンポジウム

**“わが国からの新薬開発を目指して：
医療イノベーションをどう実現するか”**

開会の言葉

国立がん研究センター東病院
大津 敦

2012年11月16日 東京

第1回 合同シンポジウム： “わが国における新規抗がん剤開発の諸問題”

合同シンポジウム

主催：がん研究開発費
「がん治療の早期開発試験およびその研究体制確立に関する研究」班
文部科学省 科学研究費
「がん支援・化学療法基盤支援活動」班
後援：抗悪性腫瘍薬開発フォーラム

産官学連携をどう進めるか

わが国における 新規抗がん剤開発の諸問題

日時：平成23(2011)年11月18日(金) 9:00~16:40
会場：東京ステーションカンファレンス 6F 602 A-D
(<http://www.tstc.jp/>)

● 特典にわり次開録め切りとさせていただきます。
抗悪性腫瘍薬開発フォーラム ホームページ
(<http://atdd-frm.umin.jp/>) より

プログラム

<p>1 非臨床試験における諸問題 (9:05~11:05)</p> <p>1 がん支援・化学療法基盤支援活動の取り組み がん研究会 がん化学療法センター 矢守 隆夫</p> <p>2 創薬基盤となる化合物リソースの整備と活用 理化学研究所 薬研研究所 黒田 勉之</p> <p>3 がんの基礎研究から創薬への展開 慶應大学 先端薬科学研究所 佐谷 秀行</p> <p>4 アカデミアの知財を強くなるために 京大 最先端創薬研究センター 内海 潤</p> <p>5 NCI/NIHにおける医薬品開発 熊本大学大学院 生命科学研究所 湯原 純明</p> <p>6 医療イノベーションへ向けた国の取り組み 内閣官房 医療イノベーション推進室 岡本 光弘</p>	<p>2 First-in-human (FIH) 試験をめぐる諸問題 (11:20~13:20)</p> <p>1 規制当局のFIH試験に対する考え方 医薬品医療機器総合機構 井口 豊彦</p> <p>2 わが国におけるFIH試験推進への課題と克服 国立がんセンター 中央病室 藤原 康弘</p> <p>3 企業でのFIH試験導入の考え方：日本での規制前・実施施設での問題点 ● 豊和製薬キリン株式会社 秋友 士朗 ● ヤンセンファーマ株式会社 坂本 貴次</p> <p>4 産官学からみたわが国におけるFIH試験の問題点と解決策 国立がん研究センター 薬研室 土井 慎彦</p> <p>5 抗悪性腫瘍薬開発フォーラムでの取り組み 医薬品医療機器総合機構 森 和彦</p>	<p>3 研究者主導未承認薬臨床試験 (14:30~16:30)</p> <p>1 NCI-CTEP試験の現状と問題点 米籍NCI-CTEP 武部 喜子</p> <p>2 わが国における早期開発試験のフレームワークをどう構築するか？ 厚生労働省 審査管理課 富田 俊男</p> <p>3 研究者主導未承認薬臨床試験に対する企業の考え方 ● エーザイ株式会社 中村 直雄 ● ファイザー株式会社 廣橋 朋子</p> <p>4 研究者主導未承認薬試験のサポート体制 国立がん研究センター 薬研室 臨床開発センター 佐藤 晴彦</p> <p>追加発言 研究者主導未承認薬試験実施施設での諸問題 西康がんセンター 仁科 賢祐</p>
<p>● コーヒーブレイク 11:05~11:20</p>	<p>● 昼食 13:20~14:30</p>	<p>● 閉会の言葉 矢守 隆夫</p>

2011年11月18日 (金)

場所: 東京ステーションカンファレンス

参加者：アカデミア 128
企業開発担当者 189、
PMDA, NCI他 18
合計335名の参加

- 1 非臨床試験
- 2 First-in-human試験
- 3 未承認薬研究者主導試験
について国家的討論

第1回シンポジウムの論点

- アカデミアから企業への受け渡しに際しての問題点
=どの段階で受け渡すのか？
非臨床試験の壁をどう克服するのか？
- FIH試験を実施する上で日本で必要な体制整備は？
- IIT試験体制構築および企業との連携をどう進めるか？
- 問題点解決に向けた産官学それぞれでの今後の取り組み
- すべてを日本で行わなければならないのか？

次世代がん研究戦略推進プロジェクト: 文科省 (2011)

次世代がん研究戦略推進プロジェクト

平成23年度予算案: 36億円
【新規】

背景・課題

- がんは日本国民の最大の死亡原因。現在では3人に1人、近い将来国民の半数が、がんにより死亡すると予測。
- 国内の基礎的がん研究の優れた成果が、バイオベンチャーの不在等により、次世代がん医療の開発に生かされないため、①日本発の医薬品が上市されず欧米企業の医薬品が世界市場を席卷し、②日米の基礎研究に対する公的投資の格差が拡大しており、研究開発の失速、研究人材の散逸、国際競争力の低下、がん克服に向けた展望の途絶などが懸念。

対応

- 限られた資源を社会的なニーズの高い、膵がん・肺がん・肝がんをはじめとする難治がんに集約し、世界をリードする研究領域・研究者へ戦略的に重点配分
- 革新的な基礎研究の成果(有望シーズ)を厳選、戦略的に育成し、臨床研究へと研究を加速。

目標

簡便、高精度かつ非侵襲な早期診断法の開発
再発・転移を抑える画期的な治療法の開発
革新的ながん根治療法の開発

次世代がん医療の実現

概要・実施体制

次世代がん研究戦略的育成プログラム

次世代がん医療創生研究HQ

- ・研究方針の決定
- ・プログラム全体のマネジメント
- ・国内外のがん研究動向調査
- ・ステークホルダーを含めた会議の開催
- ・各チームが共有する研究支援基盤の整備

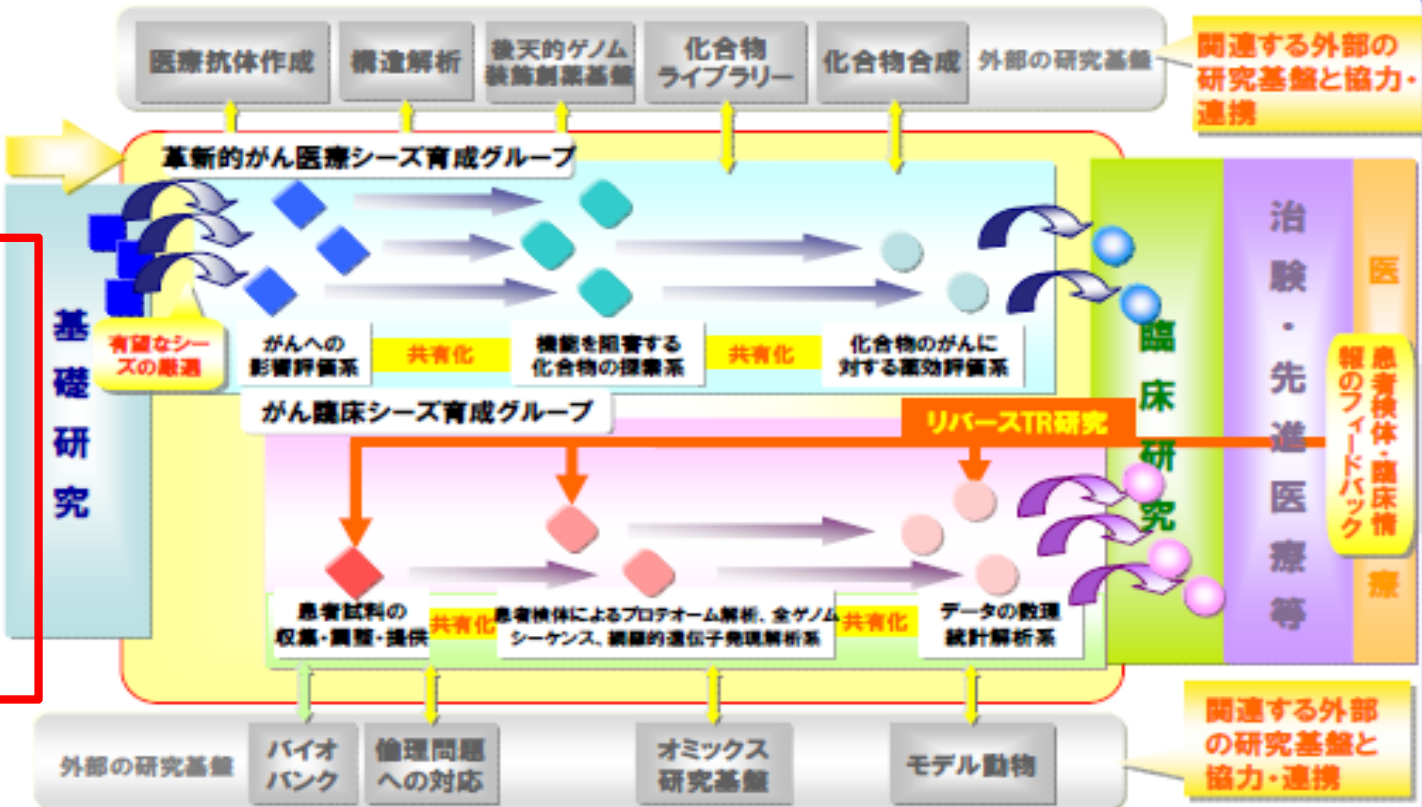
革新的がん医療シーズ育成グループ

ex. 革新的な新規分子標的
→ 分子標的としての有用性の確認、これに対する阻害剤等の化合物の探索、実験動物の機能解析系における検証等の一連のプロセスを一体的に推進する複数のチームを結成

がん臨床シーズ育成グループ

ex. 新規バイオマーカー
→ ヒトがん発生・進展の分子機構に対する深い洞察に基づき設定される幾つかの研究テーマの下に、国内の臨床研究者を結集した複数のチームが、リバースTR研究を推進

がん薬物療法の個別適正化プログラム
ファーマコゲノミクスの成果の臨床応用に向けた取組を推進



早期探索的臨床試験拠点整備事業：厚労省（2011）

Ministry of Health, Labour and Welfare



平成23年度 早期・探索的臨床試験拠点の整備について(2)

（世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業

平成23年度予算額 26億円(新規)

（難病、がん、肝炎等の疾患の克服(うち 臨床試験)

平成23年度予算額 7億円(新規)

特定分野の早期・探索的臨床試験拠点病院

ヒトに初めての臨床試験を
可能とするインフラを整備



（重点分野の例）

- ・がん
- ・神経・精神疾患
- ・脳心血管領域

- ・研究者・臨床研究コーディネーター等の人材
- ・診断機器等設備 等の体制整備（整備費26億円）

○医師主導治験を実施
する場合

- 以下の費用を補助
- ・治験薬の製造(GMP対応)
 - ・プロトコール作成
 - ・データ管理業務
 - ・治験相談費用 等

整備費と研究費の連動
（研究費 7億円）



世界に先駆けた日本発の革
新的新薬・医療機器を創出

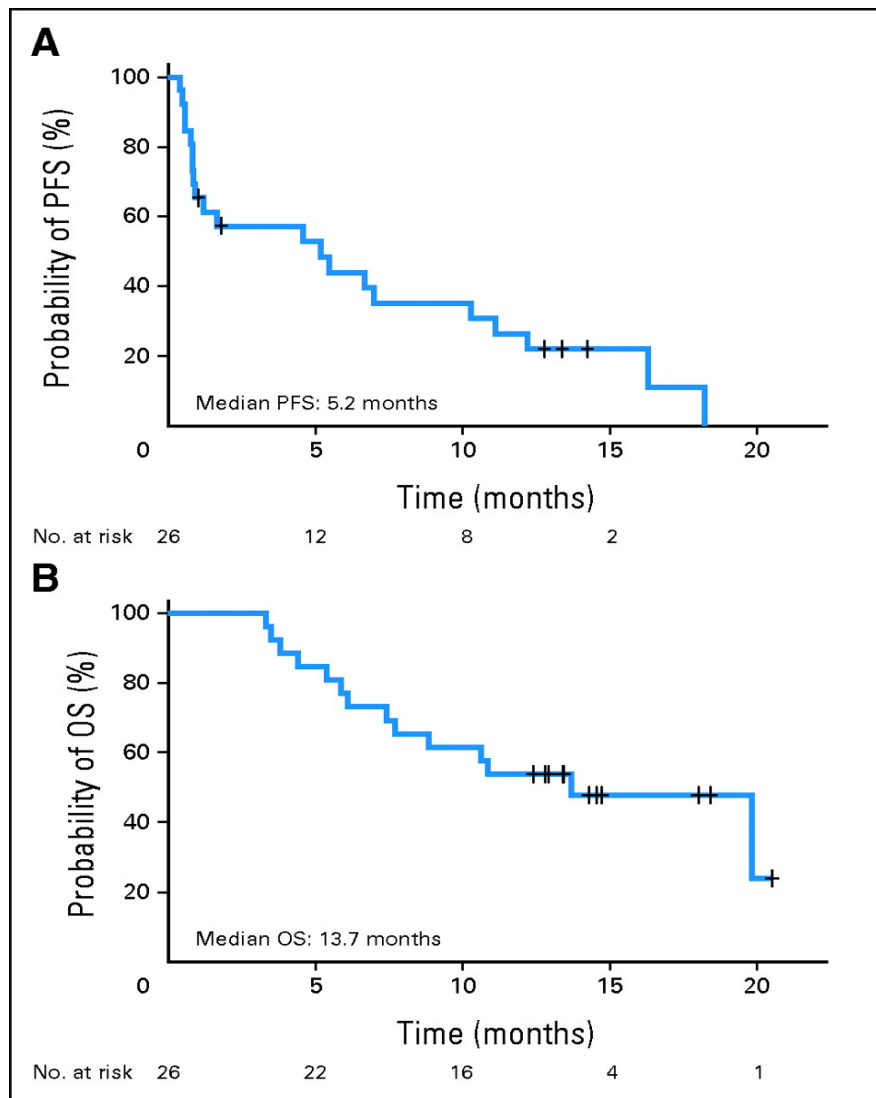
目標： 新規薬物・機器について、世界に先駆けて承認又は日本での開発段階
が世界中で最も進んでいる状況を実現すること。

がん新薬開発試験のための基盤整備進捗(2012)

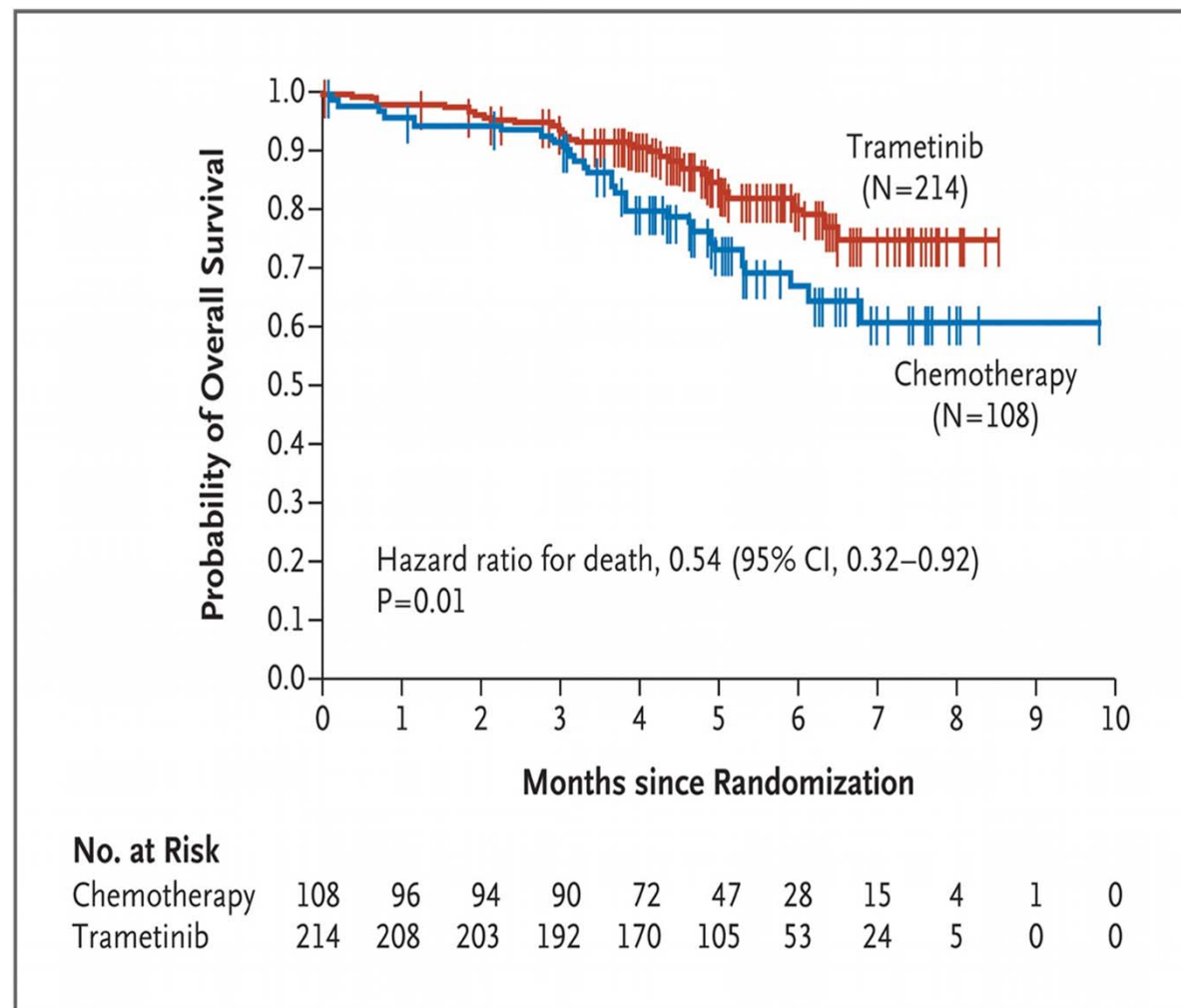
	目標	現状	評価
創薬支援ネットワーク (最適化、非臨床試験)	基盤研を中心にNW構築 開始?	まだ研究者レベル?	×
アカデミア開発シーズ支援基盤	知財、薬事、開発戦略に 関する公的支援システム	PMDA薬事戦略相談 NCC内に構築開始	△
First-in-human study	企業・医師主導治験での 実施(GCPLレベル)	すでに開始	○
国際共同phase I	実施体制構築	すでに開始	○
未承認薬医師主導治験(IIT)	実施体制構築	すでに開始	○
国際共同IIT	実施体制構築	まもなく開始(2013 1Q)	△
コンパニオン診断薬開発 (アカデミア)	薬事承認に耐える診断薬 の開発	RETで開発・企業へ受け 渡し中	△

わが国のアカデミア開発-企業への受け渡し成功例 (2012)

Anti-CCR4 Ab for ATL



trametinib for BRAF mutant melanoma



Flaherty KT et al. N Engl J Med 2012;367:107-114.

医療イノベーション5か年戦略:内閣府 (2012)

医療イノベーション5か年戦略の主な施策(医薬品)

【医薬品】



野田首相、米大統領にTPP交渉参加を表明(2011)

[読売新聞](#) 11月13日(日)9時43分配信

【ホノルル（米ハワイ州）＝川上修】野田首相は12日昼（日本時間13日朝）、ホノルル市内のホテルで、オバマ米大統領と約1時間会談し、環太平洋経済連携協定（TPP）交渉への参加方針を表明した。

会談で首相は、「日本政府としてTPP交渉参加に向けて関係国との協議に入ることにした。（国内には）慎重論も強かったが、日本を再生し、豊かで安定したアジア太平洋地域の未来を切り開くため自分自身が判断した」と述べた。大統領は「日本の決断を歓迎する。今後の協議で、日本側と協力していきたい」と応じた。

首脳会談は、冒頭約10分間、両首脳のみで行った。
最終更新:11月13日(日)12時44分

- ・ 1年経過しても進展なく、本日衆議院解散
 - = 政治は混迷&先行き不透明
 - = 新しい道は自力で切り開く

“Post-genome era”

Whole-genome analysis informs breast cancer response to aromatase inhibition

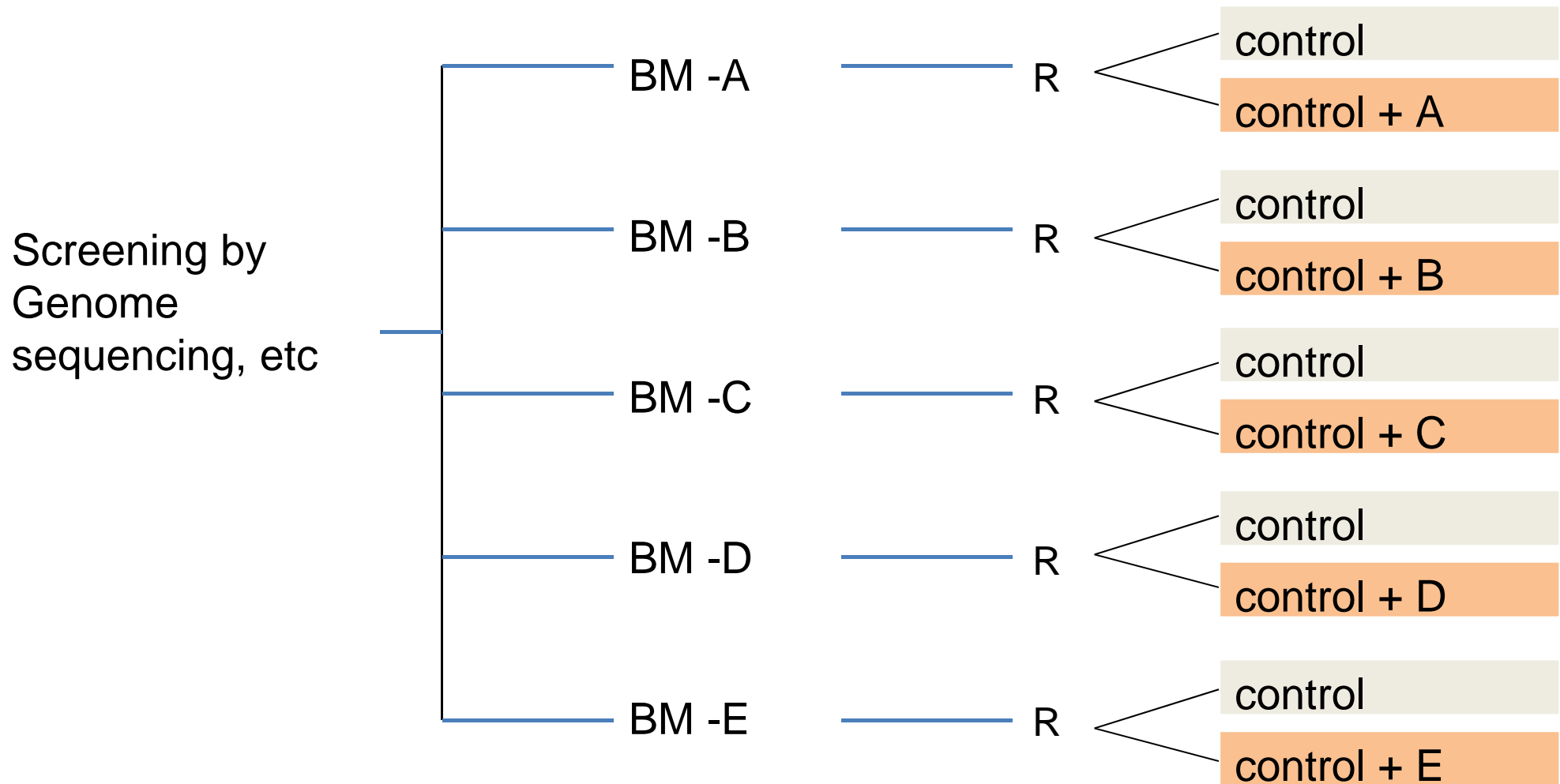
Matthew J. Ellis^{1,2,3*}, Li Ding^{4,5*}, Dong Shen^{4,5*}, Jingqin Luo^{3,6}, Vera J. Suman⁷, John W. Wallis^{4,5}, Brian A. Van Tine¹, Jeremy Hoog¹, Reece J. Goiffon^{8,9,10}, Theodore C. Goldstein¹¹, Sam Ng¹¹, Li Lin¹, Robert Crowder¹, Jacqueline Snider¹, Karla Ballman⁷, Jason Weber^{1,8,12}, Ken Chen¹³, Daniel C. Koboldt^{4,5}, Cyriac Kandoth^{4,5}, William S. Schierding^{4,5}, Joshua F. McMichael^{4,5}, Christopher A. Miller^{4,5}, Charles Lu^{4,5}, Christopher C. Harris^{4,5}, Michael D. McLellan^{4,5}, Michael C. Wendl^{4,5}, Katherine DeSchryver¹, D. Craig Allred^{3,14}, Laura Esserman¹⁵, Gary Unzeitig¹⁶, Julie Margenthaler², G. V. Babiera¹³, P. Kelly Marcom¹⁷, J. M. Guenther¹⁸, Marilyn Leitch¹⁹, Kelly Hunt¹³, John Olson¹⁷, Yu Tao⁶, Christopher A. Maher^{1,4}, Lucinda L. Fulton^{4,5}, Robert S. Fulton^{4,5}, Michelle Harrison^{4,5}, Ben Oberkfell^{4,5}, Feiyu Du^{4,5}, Ryan Demeter^{4,5}, Tammi L. Vickery^{4,5}, Adnan Elhammali^{8,9,10}, Helen Piwnica-Worms^{8,12,20,21}, Sandra McDonald^{2,22}, Mark Watson^{6,14,22}, David J. Dooling^{4,5}, David Ota²³, Li-Wei Chang^{3,14}, Ron Bose^{2,3}, Timothy J. Ley^{1,2,4}, David Piwnica-Worms^{8,9,10,12,24}, Joshua M. Stuart¹¹, Richard K. Wilson^{2,4,5} & Elaine R. Mardis^{2,4,5}

To correlate the variable clinical features of oestrogen-receptor-positive breast cancer with somatic alterations, we studied pretreatment tumour biopsies accrued from patients in two studies of neoadjuvant aromatase inhibitor therapy by massively parallel sequencing and analysis. Eighteen significantly mutated genes were identified, including five genes (*RUNX1*, *CBFB*, *MYH9*, *MLL3* and *SF3B1*) previously linked to haematopoietic disorders. Mutant MAP3K1 was associated with luminal A status, low-grade histology and low proliferation rates, whereas mutant TP53 was associated with the opposite pattern. Moreover, mutant *GATA3* correlated with suppression of proliferation upon aromatase inhibitor treatment. Pathway analysis demonstrated that mutations in *MAP2K4*, a MAP3K1 substrate, produced similar perturbations as MAP3K1 loss. Distinct phenotypes in oestrogen-receptor-positive breast cancer are associated with specific patterns of somatic mutations that map into cellular pathways linked to tumour biology, but most recurrent mutations are relatively infrequent. Prospective clinical trials based on these findings will require comprehensive genome sequencing.

\$ 1,000 genome coming soon !

Nature 2012

ポストゲノム時代を迎え開発治験デザインが大きく変わる？



企業間の連携・グループ化？

Moon Shot Project ?? : MDACC (2012/09)

The screenshot shows the MD Anderson Cancer Center website. At the top left is the logo for 'THE UNIVERSITY OF TEXAS MD Anderson Cancer Center' with the tagline 'Making Cancer History'. To the right of the logo are links for 'Cancer Types & Topics', 'mdanderson.org', and a 'DONATE' button. Below the logo is a navigation menu with 'HOME', 'ABOUT', 'MOON SHOTS', 'NEWS', and 'TAKE ACTION', along with social media icons for YouTube, Facebook, and Twitter. The main heading reads 'THE TIME IS NOW. TOGETHER, WE WILL END CANCER.' Below this is a paragraph: 'Inspired by America's drive generations ago to put a man on the moon, The University of Texas MD Anderson Cancer Center has launched an ambitious and comprehensive action plan, called the Moon Shots Program, to make a giant leap for patients – to dramatically accelerate the pace of converting scientific discoveries into clinical advances that reduce cancer deaths.' Another paragraph follows: 'The nation's No. 1 hospital for cancer care, with its unparalleled resources and capabilities, is uniquely positioned to accelerate the end of cancer. It's closer than you think. What's learned from these initial cancer "moon shots" will ultimately lead to cures for all types of the disease.' Below the text are six red buttons with white text: 'BREAST & OVARIAN', 'LEUKEMIA (CLL)', 'MELANOMA', 'LEUKEMIA (AML/MDS)', 'LUNG', and 'PROSTATE'. At the bottom is a video player with the title 'Beyond the boundaries: The moon shots to cure c...' and a play button. The video thumbnail shows a woman with the name 'Norma' and 'OVARIAN CANCER' overlaid.

壮大なゲノム医療計画：
世界先端アカデミア施設の
のNW形成？

神の誘い？

悪魔の誘い？

2012年のテーマ：「次のステップへの模索」

第2回がん新薬開発合同シンポジウム

わが国からの新薬開発を目指して

医療イノベーションをどう実現するか

日時：平成24(2012)年11月16日(金) 9:00-16:50
会場：東京ステーションコンファレンス 5F 503A-D会議室
<http://www.tato.jp/access/>

主催：厚労省 がん研究開発推進委員会
共催：製薬企業研究開発フォーラム

ホームページにて9月中旬より受付
<http://tadd-fm.umin.jp/>

お問い合わせ先
tato@ctrd.mhlw.go.jp

主催：厚生労働省(大津班)・文科省(矢守班)
共催：製薬企業研究開発フォーラム

プログラム

開会式
大津 健 国立がん研究センター 副総長 藤田 隆雄 厚労省 副大臣
矢守 隆夫 国立がん研究センター 副総長 藤田 隆雄 厚労省 副大臣
開会式 司会 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

1 わが国における新薬開発の国家戦略
(9:45-10:00)

1 医療イノベーションの国家戦略
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

2 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

3 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

4 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

5 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

6 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

7 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

2 オストゲノム時代の新薬開発を考える
(10:45-11:00)

1 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

2 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

3 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

4 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

5 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

6 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

7 がん研究における最新シーズ開発の現状と課題
藤田 隆雄 厚労省 副大臣 藤田 隆雄 厚労省 副大臣

閉会式

厚労省(大津班)・文科省(矢守班)
第2回新薬開発合同シンポジウム

“わが国からの新薬開発を目指して：
医療イノベーションをどう実現するか”

- 1 わが国の新薬開発国家戦略
- 2 ポストゲノム時代の開発試験のあり方

参加者：アカデミア研究者、企業
開発担当者、厚労省/PMDA、NCI
など（定員350名）

Funded by the grants from
MHLW/MEXT

本日も議論いただきたいこと

- アカデミアシーズ開発の問題点と改善の方向性
- 創薬支援ネットワークをどう構築するのか
- 薬事・開発戦略などの公的支援体制の構築
- シーケンス解析技術の進歩で個別化治療は実現するのか？
- ポストゲノム時代の開発治験デザインと規制ガイドラインはどう変わるのか？
- 施設でのgenome-guided 個別化治療実現への方策

Key wordはネットワーク構築 ？

- アカデミアネットワーク
- 企業間ネットワーク
- 省庁間のネットワーク
- 産官学ネットワーク

わが国から世界に向けた新薬開発を！
＝活発かつ前向きな討論をお願いいたします