

## 科学研究費助成事業 研究成果報告書

平成 26 年 6 月 12 日現在

機関番号：12601

研究種目：基盤研究(C)

研究期間：2011～2013

課題番号：23590126

研究課題名(和文) 治験を視野に入れた海外ネットワーク構築による日本のバイオ技術支援の模索

研究課題名(英文) Developing strategies to obtain regulatory approval for therapies from Japanese universities and startups

研究代表者

Kneller Robert W (Kneller, Robert)

東京大学・先端科学技術研究センター・教授

研究者番号：20302797

交付決定額(研究期間全体)：(直接経費) 2,600,000円、(間接経費) 780,000円

研究成果の概要(和文)：研究代表者は、大学における研究成果から生まれたバイオベンチャーにとって、新薬承認のための臨床試験に際して効果的な戦略を調査するために、日米で50件以上の面談を行った。この面談は日米の新薬承認に際して必要とされる要件の相違が日本のバイオベンチャーに与える影響を明らかにする目的で行われた。この調査の結果は、大学等の研究機関、大企業、そしてバイオベンチャーが新薬の発見ならびに開発における戦略を焦点とした論文として公表された。研究代表者は、研究成果の公表の一環として、米国、ヨーロッパ、日本の様々な場において、数十回の講演を行った。

研究成果の概要(英文)：This project has focused on the development of appropriate strategies for Japanese bio-ventures to commercialize their technologies. It has involved extensive discussions with biomedical scientists, early stage companies and larger companies who might become alliance partners. Obtaining regulatory approval of these technologies from PMDA, FDA or EMA, is a key goal of these strategies. Much case by case data has been collected through these strategy development activities. We are in the process of putting these findings to practical use and generalizing results so that we can benefit other scientists and policy makers.

研究分野：医歯薬学

科研費の分科・細目：薬学・創薬化学

キーワード：新薬発見 レギュラトリーサイエンス バイオベンチャー 臨床試験 新薬開発 産学連携 医療機器  
開発 知的財産

## 1. 研究開始当初の背景

研究代表者は、2007年の著書 *Bridging Islands: Venture Companies and the Future of Japanese and American Industry* や他の論文で、日本のバイオベンチャーの環境改善が急務であることを示唆し、革新的な新薬の開発においてベンチャー企業がより重要な役割を担っていることを示した (Kneller 2005a, 2005b, 2007)。創薬におけるバイオベンチャーの貢献に関しては、過去10年間にFDAによって承認された新薬に関するデータを基に詳細な分析を行なったものが、*Nature Reviews Drug Discovery* 誌に2010年11月号に掲載された (Kneller 2010)。したがって、日本のバイオベンチャーが海外の研究者及びバイオベンチャーとネットワークを構築することによって、米国のバイオベンチャーが享受した有益な環境を最大限に活用できることを示唆してきたわけだが、その実践的な側面は検証されていなかった。

バイオベンチャーが海外に学術ネットワークを展開することの利点の一つは、治験プロセスの効率化である。研究代表者は、医学の知識と自身が医学研究に携わった研究者としての知見を生かして、日米の研究室の研究内容を理解し、その連携によって双方が恩恵を被る可能性を効率的に判断することができる。また、NIHにおいて弁護士として治験共同契約文書作成を実際に行った経験を生かして、米国における治験が日本のバイオベンチャーが開発中の技術に対応可能かどうかを判断し、有効であれば、バイオベンチャーと米国の学術ネットワークを連携する。医薬機器に対するFDAによる承認は、ヒトの体内で使用されず、人体に影響を与える可能性が極めて低い機器に対する「510(k)承認」と呼ばれる臨床試験を回避できるプロセスと、「PMA (Premarketing approval)」と呼ばれる承認プロセスがある。後者の場合は、医薬品承認と同様に煩雑で長期にわたる可能性

もある。また、生物学的製剤に関しても「BLA (Biologics license approval)」という手続きを経なければならない。

医療バイオ分野において、有益な研究成果がなされた場合の最終的な目的は、研究成果が安全かつ最適な形で商品化され、消費者に恩恵をもたらすことにある。日本のバイオベンチャーが海外のネットワーク構築によってもたらす恩恵は、この点を十分視野に入れなければならないため、日米の戦略の相違の調査が急務とされていた。

## 2. 研究の目的

本研究は、医薬産業における新しい研究開発型企業 (以下「バイオベンチャー」) を成長に導くために、海外ネットワークを発展させることにより、効率的なプロセスが期待できることを検証することを狙いとした。そのために、海外に既に重要なネットワークを持つバイオベンチャーが関わる研究開発状況の実態を調査し、その効率性を分析した。次に、研究協力のパートナーシップを持つ日本と海外の学術研究者が、バイオベンチャーの起業につながるような協力体制を維持するために重要な要件についての検討を行った。

本研究で対象としたのは、医薬機器や再生医療の分野で治験を軸とする開発プロセスである。米国の大学を中心とする学術的ネットワークは、治験を中心とする米国食品医薬品局 (FDA) の承認を得るプロセスにおいて極めて重要な役割を担っている。近年の日本の医薬品医薬機器承認における国際化の動きに鑑みれば、日本の研究者やバイオベンチャーが米国におけるネットワークを最大限に利用することが望まれる。本研究は国内外の政策立案者に知見を提供し、更には企業成長を促す海外提携を行いながら優良なバイオベンチャーを設立する方法について、研究者やバイオベンチャー関係者へ向けて実用的指針を示すことが期待できる。

### 3. 研究の方法

研究代表者は、米国におけるバイオベンチャーのネットワーク構築や臨床試験に向けての戦略に関する調査・考察を面談によって行った。また、メール等による連携によって、考察を続けた。日本では、連携研究者を始めとする日本の大学のバイオ研究者との討議を頻繁に行った。バイオベンチャーと初期段階の主要出資者であるベンチャーキャピタルへの面談を実施し、海外にネットワークを構築することによる多大な恩恵が見込めそうなバイオベンチャーを選定した。

研究代表者は、日本のバイオベンチャーの海外ネットワークの構築のための支援を行った。具体的には、米国における治験に関する共同契約等の手続きに関する助言を行い、支援を行った。

### 4. 研究成果

#### 【2011 年度】

研究代表者は、2010 年 7 月から 2011 年 8 月まで米国スタンフォード大学医学部に客員教授として滞在し、調査を進めた。医療機器、バイオマテリアル、バイオ工学、再生医療など、日本が得意とする分野の研究のシリコンバレーにおける同行の調査を行った。研究開発のインキュベーターにあたる研究室としては「QB3」と呼ばれるカリフォルニア大学サンフランシスコ校（主に医学研究に特化したキャンパス）の中にあるインキュベーターと緊密に連携を行った。また、研究代表者は数多くのバイオベンチャー企業を訪問し、日本のバイオベンチャー企業のパートナーとしての可能性を探り、バイオベンチャーのマーケット戦略等に関する考察を行った。

研究代表者は、様々な場で研究成果を公表したが、主なものとして、2011 年 9 月 24 日に第 84 回日本生化学大会（京都）において、「日本の大学とシリコンバレーをつなぐた

めに」と題する講演を行った。また、2012 年 2 月 14 日には東京大学知的資産経営研究プロジェクト・新ビジネス塾において、「研究成果商業化のために米国・シリコンバレー活用を考える」と題する講演を行い、他の研究者との研究討議を行った。

#### 【2012 年度】

研究代表者は、2012 年度は大学における研究成果から生まれたバイオベンチャーによる新薬承認プロセスにおける戦略に関する調査を行った。新薬や医療機器に関して面談を日米で 20 件以上行った。この面談は日米の新薬承認に際して必要とされる要件の相違が日本のバイオベンチャーにどのような影響を与えるかを明らかにする目的で行われた。

この調査の結果は、合計 4 本の論文として公表される予定である。そのうち 2 本は既に出版されている。論文の内容は、大学等の研究機関、大企業、そしてバイオベンチャーが新薬の発見ならびに開発を扱ったもので、新薬承認にむけて、どのような戦略がとられたのが焦点になっている。

2012 年 8 月と 9 月には米国国立衛生研究所（NIH）とジョンズホプキンス大学において、新薬承認に関する面談を行った。また、米国のスタンフォード大学および慶應大学で、製薬やその周辺領域における大学と企業の共同研究に関する論文に関して講演を行った。上述の調査の結果を公表するための論文 2 本が既に公表された。

博士課程の大学院生と薬品の副作用報告に関する共同研究を実施した。

#### 【2013 年度】

研究代表者は、大学における研究成果から生まれたバイオベンチャーによる新薬承認プロセスにおける戦略に関する調査を行った。新薬や医療機器に関しての面談を日米で

行い、新薬承認に際して必要とされる要件の日米の相違が日本のバイオベンチャーに与える影響を考察した。この考察を参考に、新薬承認に向けて日本のバイオベンチャーに必要な実務的方略を構築した。具体的には、日本のバイオベンチャーが米国食品医薬品局の承認のために提出する前臨床試験や臨床試験の開発計画書を作成した。調査の結果は2本の論文として公表された。

## 5. 主な発表論文等

(研究代表者、研究分担者及び連携研究者には下線)

[雑誌論文](計6件)

Kneller, Robert, Marcel Mongeon, Jeff Cope, Cathy Garner, Philip Ternouth. 2014. Industry-university collaborations in Canada, Japan, the UK and USA – with emphasis on publication freedom and managing the intellectual property lock-up problem. PLOS ONE 9 (3) (e90302). 査読有

Kneller, Robert. 2013. Commercializing promising but dormant Japanese industry-university joint discoveries via independent, venture capital funded spin-offs. In Hishida, K (Ed.). *Fulfilling the Promise of Technology Transfer: Fostering Innovation for the Benefit of Society*. Springer. pp. 23-33. 査読有

Kneller, Robert. 2013. Umemura, *The Japanese Pharmaceutical Industry: Its Evolution and Current Challenges* (Review). Journal of Japanese Studies 39 (no. 1, winter 2013) pp. 235-240. 査読無

ロバート・ケネラー 2011 「イノベーションにおけるベンチャー企業の役割—ア

ントレプレナーシップの環境改善に向けて—」渡部俊也(編) 『イノベーションシステムとしての大学と人材』第3章 (東京大学知的資産経営総括寄付講座シリーズ第3巻)。白桃書房 pp. 173-200. 査読無

Kneller, Robert. 2011. The importance of new companies for innovation, and ways to improve Japan's environment for science based entrepreneurship. Chapter 3 in Watanabe, Toshiya (ed). *University and Human Resource Development in Innovation Systems*. Tokyo: Hakuto-Shobo Publishing Co. pp. 173-200. 査読無

Kneller, Robert. 2011. Invention Management in Japanese Universities and its Implications for Innovation: Insights from the University of Tokyo. Chapter 3 in Wong PK (ed). *Academic Entrepreneurship in Asia: The Role and Impact of Universities in National Innovation Systems*. Cheltenham UK: Elgar. pp. 69-85. 査読無

[学会発表](計 件)

[図書](計 件)

[産業財産権]

○出願状況(計 件)

名称:

発明者:

権利者:

種類:

番号:

出願年月日:

国内外の別:

○取得状況(計 件)

名称：  
発明者：  
権利者：  
種類：  
番号：  
取得年月日：  
国内外の別：

〔その他〕

ホームページ等

## 6．研究組織

### (1)研究代表者

ケネラー ロバート (Kneller, Robert)

東京大学・先端科学技術研究センター・教授

研究者番号：20302797

### (2)研究分担者

### (3)連携研究者

木村 廣道 (Kimura, Hiromichi)

東京大学・薬学系研究科生命薬学専攻・教授

研究者番号：080396845

鄭 雄一 (Chung, Ung-il)

東京大学・工学系研究科バイオエンジニアリ  
ング専攻・教授

研究者番号：030345053