

「（２）アンメットメディカルニーズに応える新規
薬剤開発に関する研究」について

厚生労働省健康局
がん・疾病対策課

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

前半5年間での成果の例

- ① 治療法が確立していないEBウイルス関連白血病に対する世界初のプロドラッグ抗がん剤であるS-FMAUの開発を進めた。

「Epstein-BarrウイルスによるT/NK白血病・リンパ腫治療薬候補S-FMAUの前臨床試験(研究代表者:児玉栄一)

研究開発課題紹介リーフレット集〔平成30年度企業向け〕 65ページ

- ② 従来のCT、MRI、FDG-PETでは難しかった脳腫瘍における放射線治療後の再発診断や、神経膠腫の生検部位や手術範囲の決定に役立つ、炭素11標識メチオニン投与による画像診断技術の開発を進めた。

「Precision Medicine 時代を切り開くC-11標識メチオニンの脳腫瘍診断に関する研究－薬剤自動合成装置の医療機器承認取得を目指して－」(研究代表者:志賀哲)

平成29年度企業向け成果発表会「目指すはひとつ 命のために」(抄録集) 42ページ

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

委員から事前にご提出頂いたご意見

	現状と課題	後半5か年の研究の方向性
1	小児がん・希少がんにおいては、ドラッグラグが顕著であり、本邦では新規薬剤開発を行うことが困難であることから、今後もドラッグラグが継続することが課題である。分子標的薬やがん免疫薬剤が開発される中で取り残されることが大きな問題となっている。また、遺伝子プロファイリングの発展により、従来の古典的病理診断では同一の小児がん種でも、さらに予後の異なるいくつもの亜型に細分類される傾向にあり、臨床試験を行うにあたり、有意な結果を出すための症例数がより不足する懸念がある。	小児がん、希少がんに対して薬剤開発を目指す医師主導治験などを推進するとともに、新規薬剤開発においての小児がん・希少がんへの適応拡大を同時に目指す治験を推進する。 また、現状で治療薬が開発されていない小児がん疾患関連分子と、既存薬の薬剤標的分子をネットワークとして捉えた、既存薬のドラッグ・リポジショニング開発は、今後の薬剤開発で極めて重要な研究の方向性となると考える。
2	希少がんに関しては、様々な領域のがんがあるため、新規薬剤の開発等、肺がんなどの患者数の多いがんのように開発されていない。がん研究10か年に記載されている希少がんより、さらに患者数の少ない希少がんに対する新規薬剤の開発は極めて困難な状況である。血液がんでも、比較的患者数の多いものは新規薬剤の開発導入が、欧米と比べてもその遅れは軽度である。しかし、患者の少ない慢性リンパ性白血病(CLL)などは、新規薬剤が欧米で開発され、標準治療となっても使用できないものがある。海外では標準治療となっている治療が受けられないのは、患者にとって問題である。	国内では他疾患や他のがん腫の治療薬として使用されている薬剤をリポジショナル薬剤として使用できるように臨床試験が実施可能な体制をつくり、開発を進める。
3	アンメットメディカルニーズの代表である希少がんにおいては、研究開発材料も限定されている。また、患者数が少ない事をカバーするため、レジストリ研究によるデータベースの構築も始まっているが、新規薬剤開発に着手出来るだけのデータ蓄積には至っていない。また、市場性の観点から開発企業内での優先順位も低く、開発中の薬剤も少ない。	・希少がんの培養株の整備を進める。 ・2017年より開始されたMASTER KEYプロジェクト等のレジストリ研究で集積されつつある、診療情報、遺伝子情報等を活用し、海外施設との連携を深め、グローバルにがん種横断的にデータを蓄積する事で、症例の少なさを補い、薬剤標的を探索する。バスケット型のグローバル臨床開発を進め、優先審査制度の活用と合わせ、臨床開発のスピードアップをはかる。
4	ヒト遺伝子の大部分(約80%)が従来の創薬手法では制御できない(アンドラッグアブル標的)とされており、実際にかんシークエンス研究等により見いだされたドライバー変異のうち、薬剤開発が実施されているのはごく一部に留まっている。	従来の創薬手法では制御できないアンドラッグアブル標的および分子標的薬に抵抗性を獲得した標的に対して、ケミカルノックダウン(低・中分子による標的蛋白の分解誘導)による薬剤を開発する。このことで、効果的な治療薬が未だ存在しないがん種に対してプレジジョンメディシンを推進する。
5	未だ化学療法やその他のがん治療における患者の身体的苦痛は大きなものがあるが、治療に対する支持療法の進展を主たる目的とする研究課題の数が限られている。	患者や医療現場からのアンメットメディカルニーズの高いと考えられる症状の緩和を目的とする支持療法のニーズを把握するとともに、重点的な課題設定を行う。

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

第3期がん対策推進基本計画における(2)に関連した記載

- 新たな治療法の開発が期待できるゲノム医療や免疫療法について、重点的に研究を推進する。

厚労科研・藤原班の報告書において今後取り組むべきと提言されている研究課題

- 治療結果情報付きのバンク・コホート・臨床試験・治験の大規模化、及びバンクやデータベースの永続的維持体制の構築 [引き続き推進]