

[政策研のページ](#)

PPPs (Public Private Partnerships) による 医療健康ビッグデータのプラットフォーム構築

～疾患治療法開発のための産学官連携の意義～

第4次産業革命といわれるIoTやビッグデータ、AIといった技術革新と活用が進みつつある中で、次世代医療のパラダイムシフトが本格化してきました。2000年代以降のゲノム解析技術の驚異的な進歩と相まって、データドリブンの健康・医療・医学の革新的進展が期待され、「情報ネットワークとビッグデータ分析・活用」の重要性はますます高まっています。そのような中で、創薬をはじめとする研究開発の取り組みにおいてもBig Data to Knowledgeの体制構築が必須となっていますが、この取り組みは個別企業や研究者だけでは到底成り立たず、産学官連携や異業種を含めた産産連携、そして医療者、患者、国民との協力体制をいかに構築していくかが問われています。医薬産業政策研究所ではビッグデータの医薬産業に関する課題を研究するために、所内に『医療健康分野のビッグデータ活用・研究会』を2015年7月に発足させました。今回の報告は、広島大学大学院医歯薬保健学研究科特任教授の山脇成人氏の講演等、『研究会』の調査研究に基づいてまとめたものです。2018年5月に『研究会』の3年目の報告書を発行していますが、PPPsの取り組みはその提言の一つでもあります。

はじめに

2016年9月に設置された内閣総理大臣を議長とする未来投資会議において、将来の経済成長に資する分野についての成長戦略と構造改革の加速化が図られつつありますが、医療健康分野においても第4次産業革命といわれるイノベーションの大きな変化が起こり、医療および関連産業のパラダイムシフトが進みつつあります。IoT／ビッグデータ (BD) ／人工知能 (AI) がそのパラダイムシフトに大きな影響を与えるとともに、『データ』『AI』の活用能力およびそのための『プラットフォーム』の構築が産業競争力の決定的な要素になりつつあります。

医療健康情報の『データ取得』については個人情報保護を前提として、国民の全面的な理解と協力のもとで、ビッグデータとしての情報収集と統合によるデータベース化を進め、AIによる多様な角度からの解析によって、新しい知見・エビデンスの創出等、医療や医学研究、医療健康産業に画期的な進展が期待されているところです。こうしたデータ・AI活用を進めるためには、大量・多種類のデータを収集する基盤としてのプラットフォーム構築が重要です。医療分野においては、産業界だけでなく、医療機関・アカデミア、国・行政や患者等関係するステークホルダーも多いため、各者が連携してプラットフォーム構築に臨む必要があります。

そのような中、古くからの手法ではありますが、PPPs (Public Private Partnerships) による産学官連携の取り組みが注目されています。

「政策研ニュース」ですでに1度報告している米国におけるAMP (Accelerating Medicines Partnership) [1] や欧州におけるIMI (Innovative Medicine Initiative) [2] の活動も、このPPPsの代表例であります。

このPPPsについての定義はさまざまですが、ここでは『『公共インフラの整備』等において、民間の投資や提案を活用するとともに、関係するステークホルダーが共同で取り組むことによりシナジー効果を高める事業』という意味で使っています。

今回、新たに国内で始まった精神・神経疾患領域でのPPPsの取り組みの紹介とともに、PPPsの重要性についてまとめてみました。

[1] 医薬産業政策研究所「米国のAccelerating Medicines Partnership」政策研ニュースNo.46 (2015年11月)

[2] 医薬産業政策研究所「欧州のBig Data for Better Outcomes」政策研ニュースNo.47 (2016年3月)

PPPsによる公共インフラの構築

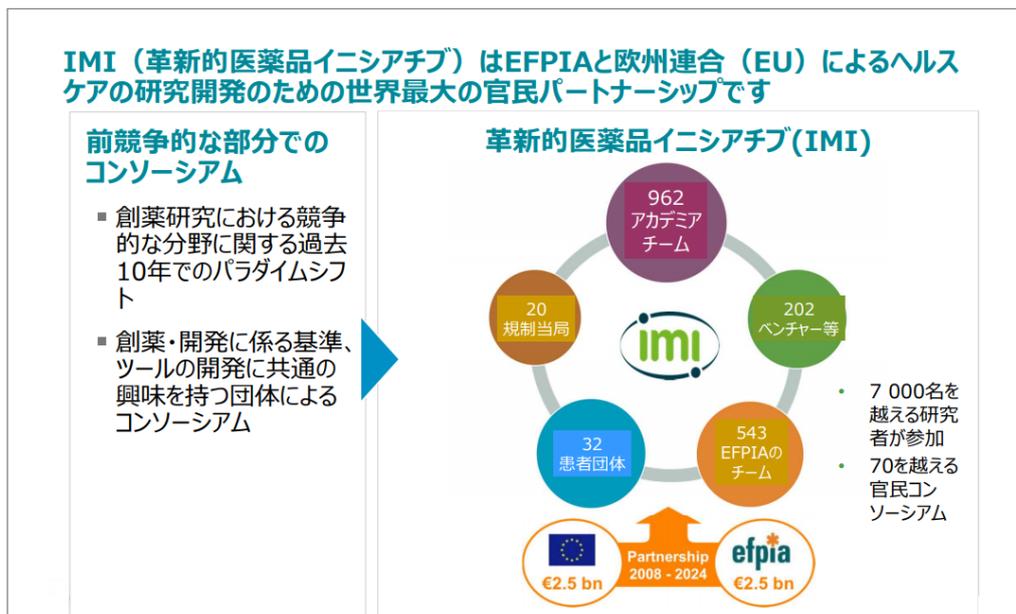
PPPsによる公共インフラ構築の手法は、欧米等の先進国で古くから実施されています。有名な例では1933年から4年をかけて建設されたゴールデンゲートブリッジの例があります。米国は今でもインフラプロジェクトに関して世界最大のPPPs市場をもっていて、重要な政策の柱となっています。

わが国でも新成長戦略等で内閣府に民間資金等活用事業推進会議が設置されて、「PPP/PFIの抜本改革に向けたアクションプラン」(2013年6月6日)が出されています。ちなみにこのPFI(Private Finance Initiative)は「民間資金等の活用による公共施設等の整備等の促進に関する法律」の規定に則って実施する事業を限定して指し、PPPsの一部です。そして未来投資会議では、まさに日本の未来を支える分野に官民が連携して投資を進めることがその主眼の一つになっています。

欧州IMIの取り組みと成果

欧州においてもこの仕組みを使ってインフラ整備を進めている分野が多くありますが、ライフサイエンス分野においては、製薬産業団体である欧州製薬団体連合会(EFPIA)とEU(当初はEC)が共同で行っているIMI(Innovative Medicine Initiative)という官民パートナーシップがあり、PPPsの代表的な取り組みです(図1)。IMIは欧州における新薬R&Dのプロセスをより効率的で革新的にして、この分野の欧州の競争力を向上させ、これからの大きな社会変化への対応を進めていく目的をもちます。2008年より開始されましたが、ライフサイエンス分野における世界最大級規模のPPPsといえます。

図1 IMI (Innovative Medicine Initiative)



出所：第一回 革新的医薬品創出のための官民対話資料

官民(EUとEFPIA)による資金拠出比率は1:1で、共同の意思決定により事業を進めています。ベンチャー企業、アカデミア、患者団体等も事業に参加しており、この活動にかかる費用はIMIを通じて主にEUからの資金で賄われています。製薬企業は主に人的リソース、化合物やデータ、研究施設等の現物出資の形で全体の事業を支えています。このIMIの枠組みにおいて、製薬企業の人材が各プロジェクトで直接活動することによって、アカデミアやベンチャー、患者団体等との連携が深まることが、プロジェクト成功のために非常に重要なポイントだとされています。

IMIは2期に分かれ、2008~2013年はIMI1、それから発展的にIMI2(2014~2020年)としての取り組みとなり、層別化医療、創薬、製品サイクル、さらに業界をまたがり広く先進医療の協働へビジョンを広げ、統合された医療のソリューション開発に向けた活動を行っています。延べ7000名を超える研究者が参画し、総出資額・予算は53億ユーロ(約6900億円) [3] に達し

[3] 内訳はIMI1: 20億ユーロ(約2600億円)、IMI2: 33億ユーロ(約4300億円)

ます。

70を超えるコンソーシアムが形成され、非常に多くのプロジェクトが進められています。これらの取り組みにより、さまざまな疾患に関して治療法開発に向けたバイオマーカー開発や患者層別化等の研究が実施され、成果も創出されています(表1)。

表1 IMIのプロジェクト例

プロジェクト名		概要
Pharma-Cog	Prediction of cognitive properties of new drug candidates for neurodegenerative diseases in early clinical development	アルツハイマー型認知症の新薬開発の早期段階で効果を予測するバイオマーカーの開発
DIRECT	Diabetes research on patient stratification	糖尿病患者の層別化と各サブタイプに対する治療方針の研究
EHR4CR	Electronic Health Records Systems for Clinical Research	臨床研究に活用するためのEHRの二次利用プラットフォーム構築
EMIF	European Medical Information Framework	データ活用のための欧州共通の医療情報フレームワークの開発

またデータ活用という分野でも、臨床研究のためのEHR (Electronic Health Record) の二次利用プラットフォームの構築や、診療データとバイオバンク等のデータ統合のための欧州共通の医療情報フォーマットの作成等、産学官の連携による基盤構築が行われています。

日本における医療健康分野のPPPsの取り組み

医療のパラダイムシフトを進めるためにはデジタル化された多様な医療健康ビッグデータの活用、IoT、AIといった第4次産業革命をけん引するイノベーションの活用が必須です。そのためには新しい社会インフラを構築し、多様なステークホルダーの理解と協力を進めていかなければなりません。重要な疾患に対するPPPsによる治療法開発等のプラットフォーム構築は、その目的を達成するための方策の一つであり、プレコンペティティブ領域での産学官連携をより加速させる必要があります。

日本においてはアカデミアからの動きでしたが、2017年7月28日に日本学術会議臨床医学委員会の「脳とこころ分科会(山脇成人委員長)」より、PPPsを活用した「精神・神経疾患の治療法開発」に対する提言[4]がされています。国際神経精神薬理学会(CINP)、日本神経精神薬理学会(JSNP)が連携し、製薬企業22社、13大学、4研究所が参画して、実践的な『向精神薬開発PPPsタスクフォース』を立ち上げ、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)等の研究資金を得て活動を開始しています。

PPPsを活用した「精神・神経疾患の治療法開発」

精神・神経疾患の多くは、いまだ病態解明が不十分で診断のファジーさが指摘されています。精神・神経疾患の診断は必ずしも本質的な病態を反映したものではなく、患者の表現型や症状の組み合わせを用いた操作的基準に基づくものといわれています。こうした点からも、精神・神経疾患の病態は異種性、多様性が高く、現在の診断基準を中心として診断された患者では、薬剤が奏功する患者とそうでない患者の層別化を行うことは、難しいといわれています。そのため、海外のメガファーマでもこの領域の開発を断念したところも多い状況です。新薬開発促進のためには「生物学的な病態に基づく疾患分類」や「治療反応性バイオマーカーの同定」が必要であるといわれているところです。

精神・神経疾患は遺伝子、環境、脳の変化等、複数の要因が関与して発症するため、発症機構の解明には、遺伝子、脳画像、臨床表現型、生理学的所見等、多様な項目に関する経時変化の情報が必要です。同様に、患者層別化やバイオマーカー探索には、ゲノム情報、画像情報、臨床情報がひもづいた大規模な多次元データが必要となります。

しかしながら、このような多面的なデータを日常診療のみから得ることは難しいため、対象疾患に対して前向きに目的データを集めるレジストリや、臨床研究/治験データのシェアリング、またそのような診療データとひもづけされたゲノム情報(バイオバンク等の協力)といった多面的な精度の高い情報が必要と考えられます。

[4] <http://www.scj.go.jp/ja/info/kohyo/pdf/kohyo-23-t247-4.pdf>

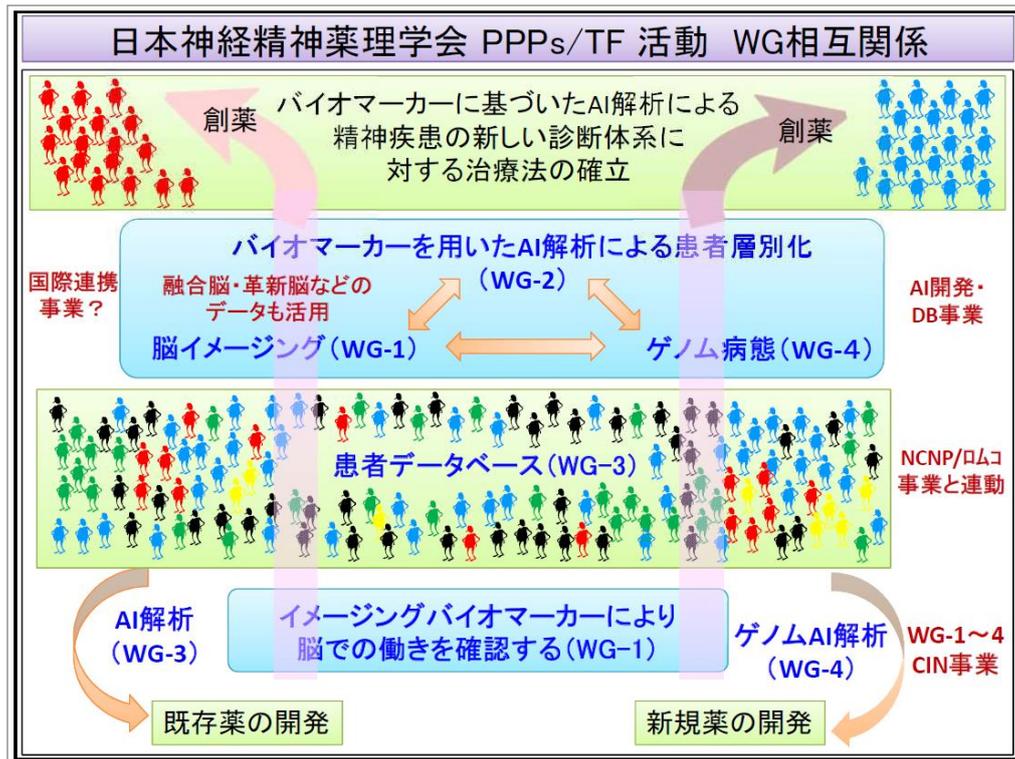
このような大規模な多次元データを集めるのは、企業1社あるいはアカデミア1組織では難しく、こうした課題に対して、プレコンペティティブな領域での産学官連携によって現状を打破しようという発想がPPPsによる治療法開発プラットフォーム構築の取り組みです。

このプロジェクトではレジストリの構築を中心に、診療データがひもづいたゲノム情報の収集、そして参加する医療機関や企業もつ臨床研究や治験のデータシェアリングを行うといった多彩なビッグデータの統合により、疾患治療法の研究開発を進めることが目的となっています。そして医療現場の診断や治療の改善を進めるとともに、製薬産業等の2次活用にも使えるプラットフォーム構築につなげることが目指されています。

この『向精神薬開発PPPsタスクフォース』では、以下の4つのワーキンググループ(WG)を中心に活動が進んでいます(図2)。

- WG-1 ニューロイメージングバイオマーカーと創薬開発
- WG-2 精神疾患の層別化技術開発
- WG-3 治験登録症例基本データベース化の構築
- WG-4 ゲノム変異に基づく創薬とバイオマーカー開発

図2 CINP/JSNP 合同向精神薬開発PPPsタスクフォースの活動



出所：広島大学 山脇成人氏

精神・神経疾患治療法向上のためには原因の解明や治療効果判定のためのバイオマーカーが必要なことは広く認識されており、欧米の先進各国で類似のPPPsが進められています(表2)。

表2 精神・神経疾患領域における世界の主なPPPs

国/地域	名称	参加者	目的	活動内容
EU	NewMeds	アカデミア、製薬企業等(上述のIMI)	うつ病、統合失調症	CNV(15q13.3、1q21.1、22q11.2)のモデルマウスを公開予定
米国	CMC	アカデミア、製薬企業	精神神経疾患の原因解明、治療法開発	死後脳のRNAseqデータ公開
米国	BC	FDA、NIH、製薬企業、FNIH	基礎・トランスレーショナル研究促進のためバイオマーカー開発(ADを含む9プロジェクト)	血液サンプルを研究者に配布
米国	ADNI	NIH、製薬企業、非営利団体等	PET、髄液マーカー等の縦断解析	データシェアリング
米国	MATRICES	NIMH、製薬企業、アカデミア	認知機能障害を標的とした創薬	認知機能障害テスト作成
米国	BRAIN Initiative Program for Industry Partnerships	NIH、アカデミア、デバイス企業	ニューロモジュレーション用のヒト脳刺激/記録デバイスの開発	

出所：日本学術会議「精神・神経疾患の治療法開発のための産学官連携のあり方に関する提言」より作成

まとめ(期待されるPPPsによる疾患治療プラットフォームの構築)

日本においてもこのPPPsの取り組みは政策の重要な目標の一つとなっており、官民研究開発投資拡大プログラム「PRISM : Public/Private R&D Investment Strategic Expansion Program」^[5]も2018年度に創設されています。このような予算枠が今後、重要疾患の治療法開発等、革新的な医療・創薬技術の実用化にかかわる分野にどのように活用されていくか、注目されます。

一方AMEDにおいては、新規のCIN(クリニカル・イノベーション・ネットワーク)推進支援事業として、「企業ニーズを踏まえたレジストリの改修および活用」という産学官共同レジストリ活用プロジェクトも開始されています。このプロジェクトは、開発が進んでいない領域(小児領域、希少疾病領域等)のレジストリを保有している機関と、そのレジストリを活用したい企業をマッチングし、企業ニーズに応じてレジストリを改修し活用を進めることを目的とするものです。

これからの医療情報の活用を考えたとき、疾患レジストリの位置づけは極めて重要と考えます。AMEDではCINのさまざまな検討の中で、アカデミアの中で構築されつつある疾患レジストリを産学官連携による取り組みとして発展させ、「産学が利活用可能なレジストリ」の整備と実用的な治療法開発を進めようとしています。しかし、今回の事業における対象疾患は、小児疾患や希少疾病に限定されています。この事業を契機として、より多くの重要疾患領域において、レジストリ研究と産業研究を結び付け、PPPsによる疾患治療法開発プラットフォームの構築が進むことが期待されます。

こういった医療領域でのPPPsの目的の中心となるのは、疾患の診断(層別化)や治療法といった「医学研究の推進」になります。そのために、重要な疾患ごとにプレコンペティティブな領域で3つのプラットフォームの構築が期待されます。1つは、企業あるいはアカデミアが保有している臨床研究や治験のデータのシェアリングを行い、データベース化することです。これにより患者の薬剤反応性等による層別化やバイオマーカー開発につなげる取り組みの促進が期待されます。大規模な多次元の医療データの収集・解析等に、プレコンペティティブな共同体としてのPPPsの意義があります。

2つ目のプラットフォームは、その疾患レジストリの構築です。どの疾患を対象とするのか、どのようなデータ項目を収集するのか等を決めていくうえで、企業ニーズと医療現場の声、さらに規制当局の意見を反映させるための協議の場を構築することで、広く活用できるレジストリの構築につなげることが期待されます。PPPsの概念の通り、従来の産学官連携以上に、民間事業者の参画およびコミットメントを高め、社会基盤構築に貢献し、2次活用にも使える基盤を構築することが期待されます。

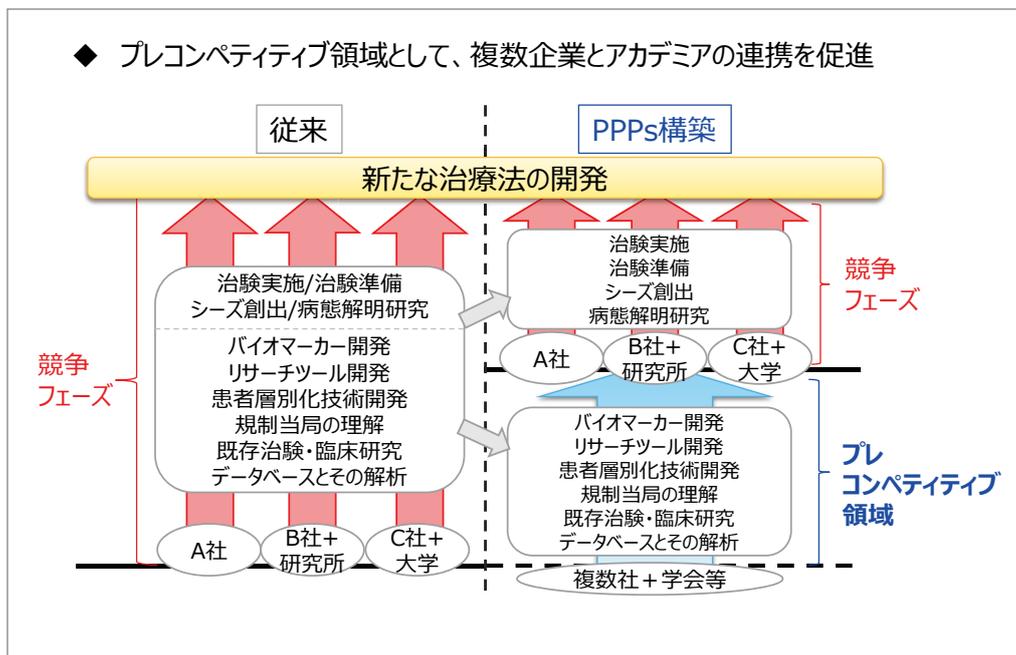
さらに3つ目のプラットフォームは、疾患横断的ゲノム情報のデータ構築です。レジストリ登録患者すべての「診療情報の伴ったゲノム情報」を取得することは、費用との関係もあり難しいかもしれませんが、一定割合でゲノム情報を取得したデータベースを構築することは、疾患治療法開発のプラットフォームとして極めて重要と考えます。

[5] <http://www8.cao.go.jp/cstp/prism/index.html>

産学官連携の一つの形として大きなインフラを構築するPPPsについて述べてきましたが、医療健康分野のデータ・AI活用を進めていくためには、関係するステークホルダーとして、複数の企業、複数のアカデミア、行政、そして患者や市民も連携する『産学官民』連携としてのPPPsの重要性が高まっています。医療や医学の発展に資する公共インフラ整備に向けて、行政・アカデミアだけでなく、民間企業の役割も大きくなります。このPPPsにおいては産業側も資金・人材・データ等を投入し、積極的に関与していく姿勢が必要です。

事例として述べた『精神・神経疾患領域におけるPPPs』が、この疾患領域でさらなる協力体制を進め、医学、医療実践に大きな貢献を行うことが強く期待されるところです。さらにこの取り組みを成功事例として、その他の重要疾患においても高いプライオリティをもって、PPPsによる疾患治療法開発プラットフォーム構築の取り組みが進むことを期待しています(図3)。

図3 重要疾患におけるPPPsの構築



出所：広島大学 山脇成人氏 提供資料より作成

(医薬産業政策研究所 統括研究員 森田 正実、主任研究員 杉浦 一輝、佐々木 隆之)