

(提言)「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」

## 1 現状及び問題点

認知症、うつ病などの精神・神経疾患は、健康・生活被害指標で見ると、がん、循環器疾患より上位に位置づけられ、介護負担、自殺、休職などによる社会保障費の増加、生産労働人口減少などによる社会経済的損失は甚大であり、国家基盤に関わる深刻な課題となっている。これら精神・神経疾患の根本的治療法の開発が強く望まれているが、むしろ欧米の巨大製薬企業（メガファーマ）は向精神薬開発から撤退している。その要因は、病態解明が不十分で、客観的診断法がなく、治療効果を反映するバイオマーカーが特定されていないため、薬剤開発の成功率が低く、投資した開発費が回収できないことにある。

## 2 提言の内容

増加の一途を辿る精神・神経疾患患者がむしろ研究開発対象から取り残されつつあるという世界的な危機を克服するために、日本学術会議臨床医学委員会脳とこころ分科会では、日本神経精神薬理学会や日本の製薬企業20社の協力を得て、開発の障壁課題とその克服戦略について議論を重ねるとともに、我が国の企業ニーズに関するアンケート調査を行った。その結果、企業単独では解決困難な共通課題（バイオマーカー開発、患者層別化技術開発、大規模患者データベース構築など）については、研究者間－企業間の壁を越えて競争前フェーズから連携する、Public Private Partnerships (PPPs)が必要であるとの認識に至った。

治療法開発の障壁課題を明確にし、企業共通のニーズに合わせた競争前連携フェーズをPPPsが担うことで、治療法開発のための共通のツールを重複せずに連携して開発することにより、競争フェーズの資金が有効に活用され、効率的、効果的に治療法が開発される。競争前連携フェーズは複数の企業とアカデミアにて構成され、ここで得られた成果は、関わる企業およびアカデミアが活用し、次の競争フェーズへと発展させることができる（図参照）。この実現には長期の活動を実現するための研究費の確保が必要になり、公的資金だけでなく企業の参加、経済的支援を含めた体制の構築が求められる。

具体的なPPPsとして、以下の6つを提言する。

- ① 病態・治療反応性予測に関連するイメージングバイオマーカーの開発  
イメージングバイオマーカーの開発によって早期のPOC (proof of concept) 試験が可能となり、その神経回路の機能に関わる分子基盤の解明から、患者サブタイプの層別化につながる。
- ② 臨床研究・治験データ症例と臨床研究症例の基本データベースの構築  
アカデミアの臨床研究、企業の治験データの包括的なビッグデータベースを構築する。

③ 神経回路障害を代償する Brain Machine Interface(BMI)技術の開発

人工知能 (AI) 技術を用いた、神経回路のマイクロ・マクロコネクティクスデータの統合、モデル動物からヒト脳機能へのトランスレーション指標の開発研究を推進する。

④ 薬物治療反応性予測に関する精神疾患の患者側因子の層別化技術開発

治験データを用いて、薬物治療効果を予測、修飾する患者側因子を同定し、その患者側因子を反映するバイオマーカーを特定する。

⑤ 神経疾患レジストリーとゲノム、血液、脳組織などのバイオリソース基盤構築

神経疾患の疾患レジストリーに基づく自然歴データベースの構築と鋭敏なバイオマーカー開発の基盤となるバイオリソース構築と産学研究者が広く利活用できる体制を整備する。

⑥ ゲノム創薬に関する脳疾患横断的な方向性—脳疾患ゲノム創薬イニシアチブ

大規模な臨床情報、ゲノム/オミックス情報、生体リソース情報 (iPS 細胞、脳組織、モデル動物) の解析結果から、疾患の分子病態・神経回路病態に直接ターゲットする真に有効な治療法開発のための大規模ゲノム解析システムを構築する。

