









# 最終試験結果報告書

| 報告番号  | 北里大 乙 第 号 | 氏 名    | 村 上 学 |   |
|---|-----------|--------|-------|---|
| 論文審査担当者   | (主査)      | 北里大学教授 | 伊藤 智夫 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 竹内 正弘 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 鈴木 幸男 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 成川 衛  |  |
| <h2>成 績</h2><br><h2>合 格</h2><br><p>[試験結果の要旨]</p> <p>論文審査担当者は、平成28年6月14日に審査委員会を開催し、村上 学 氏に対して学位論文内容及び関連事項に関する試問を行った結果、十分な学力があるものと認め、合格と判定した。</p> <p style="text-align: right;">以 上</p> |           |        |       |   |

# 学位論文審査結果報告書

| 報告番号  | 北里大 乙 第 号 | 氏 名    | 村 上 学 |   |
|---|-----------|--------|-------|---|
| 論文審査担当者   | (主査)      | 北里大学教授 | 伊藤 智夫 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 竹内 正弘 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 鈴木 幸男 |  |
|   | (副査)      | 北里大学教授 | 成川 衛  |  |
| 〔論文題目〕  |           |        |       |   |
| Analysis of the current status of orphan drug development and consideration of measures for its promotion<br>(希少疾病に対する医薬品の研究開発の現況分析とその促進策に関する研究)  |           |        |       |   |
| 〔論文審査結果の要旨〕   |           |        |       |   |
| <p>医薬品の研究開発には長い時間と多額の費用を要するが、中でも患者数が少ない疾病に対する医薬品（希少疾病用薬）の開発は、試験対象患者数等の観点から有効性・安全性を検証する試験が実施しにくく、また、研究開発に対する投資回収も容易でないため、企業による積極的な開発が行われてこなかった経緯がある。このため、米国、日本、欧州等において、国として希少疾病用薬の開発の後押しをする制度が導入されているが、制度の効果評価が必要とされる。他方、今後、希少疾病用薬の研究開発を促進させるためには、製薬企業のみならず、企業と規制当局、企業と研究者の連携がより重要となる。</p> <p>このような背景のもと、村上学氏は、希少疾病用薬の研究開発における産官学の協働プロセスの現況を明らかにするとともに、一層の協働促進のための施策を探ることを目的として、(1) 希少疾病用薬開発の世界的な現況分析と制度的側面からの検討（規制当局－企業連携）、(2) 希少疾病用薬の開発シーズの早期実用化という実務的側面からの検討（アカデミア－企業連携）を行った。</p> <p>村上氏の研究では、先ず、(1) 日米欧における希少疾病用薬の指定（以下「オーファン指定」）及び販売承認の状況を日米欧の全データのマッチングという手法により分析し、各国間の差異を明らかにするとともに、「産官連携」の視点／制度面からの促進策を追究した。その結果、日米欧</p> |           |        |       |   |

ともに、オーファン指定及び販売承認の件数は経時的に伸長してきており、これらの制度が機能していることが示される一方、日本においてはオーファン指定の全体件数や再生医療等製品の指定件数は欧米に比して限定的であることが明らかになった。従来指摘されてきた、欧米と比べた日本における新薬全般の開発・販売承認の遅れ（ドラッグラグ）の問題は、国際共同開発を推奨する施策等により改善が認められているが、本研究により見いだされた希少疾病用薬に関する米国と比較しての指定時期及び販売承認時期の差異（遅れ）は、日本におけるこれらの領域の研究開発環境の改善の余地を示すものであり、村上氏は、オーファン指定における日本特有の「開発可能性」及び「指定申請者が将来の製造販売業者であること」の基準改変をその対応策の一つとして提案した。また、(2) 近年の国内内資系製薬企業による医薬品の研究開発に関連する新規技術又は物質の導入／提携／共同研究案件に基づく「産学連携」の現況分析では、日本における再生医療等製品のオーファン指定が極めて限定的であることが示された。また、希少疾病用薬となりうる案件が相当程度存在する一方で、主たる導入／連携先は米国が大半であり、国内の先進的な研究が本邦での産業化に繋がっているとは言い難い状況にあることから、より早期の研究段階から産学連携を一層強化することの重要性が指摘された。

村上氏の研究成果は、希少疾病用薬に関する世界的な研究開発の状況を豊富かつ客観的なデータ分析に基づき提示するとともに、日本での産学連携の実務的な状況を明らかにするものである。村上氏は、オーファン指定の門戸を早期に広く開放し、開発初期から薬事的支援及び経済的支援を受けられるようにすることで、希少疾病用薬のシーズを増加させ、更にはアカデミアやベンチャー企業による希少疾病用薬開発が促進されるとの考えを示し、今後、我が国における希少疾病用薬の開発促進に資する、実際的かつ有益な研究として高く評価できる。本研究内容の主要部分は英文雑誌（Drug Discovery Today）に投稿され、掲載が受理されている。

以上の研究成果は、今後の希少疾病用薬の開発促進に貢献することが期待され、博士（医薬開発学）の学位授与に値すると判断し、学位審査を合格と判定した。

以上