

# アカデミアシーズ開発に対する国の施策

平成28年11月25日  
厚生労働省医政局研究開発振興課  
森光 敬子

# 医療研究に関する閣議決定等

# 健康・医療戦略(平成26年7月22日閣議決定)

- 世界最先端の医療の実現に向けた取組  
再生医療、ゲノム医療の実現に向けた取組を推進する。
- 革新的医薬品、医療機器及び再生医療等製品の実用化の促進のための、革新的技術や評価法に精通する人材の交流・育成
- 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策  
基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発を推進し、その成果の円滑な実用化により、世界最高水準の医療の提供に資する。これにより、医薬品、医療機器等及び医療技術関連分野における産業競争力の向上を目指すとともに、医療の国際連携や国際貢献を進める。
- 臨床研究及び治験実施環境の抜本的向上  
革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点(以下「革新的医療技術創出拠点」という。)並びに国立高度専門医療研究センター(ナショナルセンター)といった拠点を総合的に活用し、それらを中心としたARO(Academic Research Organization)機能の構築による臨床研究及び治験を推進する。臨床研究及び治験を進めるため、各施設が連携して症例の集約化を図るとともに、今後も、これらの資源を有効に活用しつつ、更なる機能の向上を図り、国際水準の質の高い臨床研究や治験が確実に実施される仕組みを構築する。  
また、日本発の革新的医薬品、医療機器等及び医療技術の開発等に必要となる質の高い臨床研究や治験を推進するため、医療法上に位置付けられた国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院の要件について速やかに検討を進め、その実現を図る。

## 日本再興戦略 改訂2014－未来への挑戦－（平成26年6月24日閣議決定）

- 世界に先駆けて、革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、日本発の早期実用化を目指す。

## 日本再興戦略 改訂2015－未来への投資・生産性革命－（平成27年6月30日閣議決定）

- クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築（疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備）  
国立高度専門医療研究センター（NC）が構築する疾患登録システムなど各種疾患登録情報を活用して、NC、臨床研究中核病院、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）、国立研究開発法人日本医療研究開発機構などを中核とするネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアムを形成するとともに、併せてネットワーク内の病院とPMDAとの人材交流や臨床評価の手法に関するレギュラトリー・サイエンス研究を行うことを通じて、NC等が蓄積した疾患登録情報の企業による活用を推進する。

## 経済財政運営と改革の基本方針2015（平成27年6月30日閣議決定）

- 医療等分野のICT化の推進等  
国立高度専門医療研究センターが構築する疾患登録システム等を活用し、関係機関が連携して効率的な治験を実施できる臨床開発の環境を整備する。また、国際競争力・効率性の高い医療機器の開発を、重点分野を定めた上で、総合的に促進し、その果実を国民に還元する。

## 日本再興戦略2016 — 第4次産業革命に向けて — (平成28年6月2日閣議決定)

### ○ 医療分野の研究開発の推進

昨年4月1日に発足した国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)において、基礎研究から実用化まで切れ目ない研究管理・支援を一体的に行うことより、日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けた研究開発を推進する。具体的には、医薬品創出、医療機器開発、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、オーダーメイド・ゲノム医療、がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病等の領域ごとの取組の加速化・重点化を図る。新興・再興感染症に関しては、新たなワクチンや、新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発を推進する。また、臨床研究に関する法的枠組みを整備するとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)の体制強化等を図りつつ、国際水準の質の高い臨床研究・治験の推進を図る。

その際、アカデミア創薬の企業開発への移行を促進するため、企業の戦略等を踏まえた創薬の支援機能を強化していくことが必要である。具体的には、創薬シーズの開発局面に応じた官民共同の支援体制や、知財権利化のための戦略的な体制の構築を進める。

### ○ クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築等によるイノベーション推進

国立高度専門医療研究センター(NC)や学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行う「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。

## 背景

国民への良質な医薬品の安定供給

後発医薬品80%時代

医療費の効率化

産業の競争力強化

- 我が国は世界で数少ない**新薬創出国**であり、知識集約型産業である医薬品産業は、「日本再興戦略」や「健康・医療戦略」においても我が国の**成長産業**の柱の一つとして位置づけられている。
- 「**後発医薬品80%時代**」において、「国民への良質な医薬品の安定供給」・「医療費の効率化」・「産業の競争力強化」を**三位一体で実現**するため、医薬品産業の競争力強化に向けた緊急的・集中実施的な総合戦略を策定する。(2017年央に進捗状況を確認し総合戦略の見直しを行う。)

## I イノベーションの推進

### ①臨床研究・治験活性化等

- ・クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築
- ・ゲノム医療、iPS細胞等を用いた創薬、核酸医薬品、バイオ医薬品などを重点的に支援
- ・既存薬と希少疾病等を関連付けるためのエビデンス構築に係る研究を推進するなどドラッグ・リポジショニングを促進

### ②産学官の連携強化(大学発優れたシーズの実用化)

- ・産学官コンソーシアムによる疾患登録情報の共同活用
- ・実用化段階に移行する研究の薬事戦略相談の活用促進
- ・官民対話の拡充

### ③イノベーションの評価

- ・保険償還価格でイノベーションを適正に評価
- ・流通改善(単品単価取引の推進)

## II 質の高い効率的な医療の実現

### ①基礎的医薬品等の安定供給の確保

- ・「基礎的医薬品」の要件を明確にした上で、薬価上必要な措置などについて検討

### ②後発医薬品の使用の加速化(=長期収載品比率の減少)

- ・診療報酬・調剤報酬上の促進策の在り方について検討
- ・安定供給の確保と国民負担軽減の観点から薬価を検討
- ・規格揃え等の見直し
- ・品質確保対策の充実
- ・1成分に対し多くの後発品が薬価収載されることへの対応策を検討

### ③流通の安定化・近代化

- ・新規収載時の後発品の新バーコード表示を必須化
- ・新バーコード表示の必須化に向けた工程表の策定
- ・単品単価取引の推進

## III グローバルな視点での政策の再構築

### ①国際支援

- ・人口増等に伴い市場拡大する新興国等との協力・支援
- ・国際交渉等を通じて、各国で知的財産が高い水準で保護される制度が設けられることを目指す

### ②国際薬事規制調和戦略

- ・国際薬事規制調和戦略(本年6月策定)を推進
- ・日本のレギュラトリーサイエンスを世界へ発信
- ・PMDAに「アジア医薬品・医療機器薬事トレーニングセンター」を設置

### ③医薬品産業の将来像(論点)

- ・グローバルに展開できる新薬の創出
- ・M&A等による事業規模拡大
- ・バイオベンチャーの活用
- ・長期収載品比率が減少する中で、新薬創出が困難なメーカーは事業転換
- ・後発医薬品メーカーの集約化・大型化

# 臨床研究中核病院の整備

# 医療法に基づく臨床研究中核病院

○日本発の革新的医薬品・医療機器等の開発を推進するため、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院を「臨床研究中核病院」として医療法上に位置づけ（平成27年4月施行）。

○一定の基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認する。

※平成28年4月現在で、下記の8病院承認

- ・ 国立がん研究センター中央病院
- ・ 国立がん研究センター東病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 慶應義塾大学病院

<医療法に基づく臨床研究中核病院になることで期待されること>

○「臨床研究中核病院」の名称を掲げることで、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院として認知され、より質の高い最先端の臨床研究・治験が実施できるため、

- ①臨床研究・治験に参加したい被験者が集まり、症例が集積される
- ②臨床研究・治験を実施するための優れた研究者等の人材が集まってくる
- ③他の施設からの相談や研究の依頼が集まってくる

などの効果が期待される。





# クリニカル・イノベーション・ネットワーク

# クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築 (疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備)

平成29年度概算要求額 (平成28年度予算額)  
 全体 55.3億円 (30.6億円)  
 (内コア事業 22.5億円 (7.6億円))

## 【課題・背景】

- ・医薬品等の開発費用は、世界的に高騰し、特に我が国は諸外国と比べて開発コストが高い。
- ・近年、海外では疾患登録情報を活用した新たな臨床開発手法が注目を集めている。

## 【施策の概要】

- ・レギュラトリーサイエンスに基づき疾患登録情報を用いて効率的な治験が実施できる環境を整備することにより、国内外のメーカーによる国内臨床開発を加速し、新薬等の早期開発により国民の健康寿命を延伸する。
- ・また、日本発製品のアジア地域への国際展開を支援する。

### アジアの拠点

- ⑩ アジア薬事トレーニングセンター [PMDA] 2.4億円 (1.2億円)
- ⑬ 国際連携型グローバル臨床研究ネットワーク拠点形成(インハウス) [NCGM] 4.0億円 (新規)

## NC(国立高度専門医療研究センター) 臨床研究中核病院 等

- 疾患登録システムの構築
  - ① 難病患者登録データベースの構築 8.9億円 (1.1億円)
- 臨床研究・治験の推進等
  - ② 創薬 2.8億円 (2.8億円)
  - ③ 医療機器 2.5億円 (1.5億円)
  - ④ 臨床研究・医師主導治験 10.6億円 (4.8億円)
  - ⑤ 再生医療 4.1億円 (0.2億円)
  - ⑥ 疾患登録システムのワンストップサービス化 0.3億円 (新規)
- 治験・臨床研究の施設整備
  - ・ NCでの治験連携事務局の設置
  - ⑦ 臨床研究中核病院の実用化促進体制の充実等 16.0億円 (16.5億円)
- 治験コンソーシアムの形成
  - ⑧ 難病・希少疾病 [医薬基盤・健康・栄養研] 0.9億円 (2百万円)
  - ⑨ 再生医療 2.6億円 (2.3億円)

コンソーシアムへの参加

データ提供 (個人情報保護に配慮)

## 企業



- ・臨床開発に活用
- ・迅速かつ経済効率的な治験の実施

海外メーカーの国内開発呼び込み  
国内開発の活性化

- ⑫ 生物統計家の人材育成 (2百万円)

※ カリキュラム作成経費に充当。人材育成の方策研究は臨床研究・医師主導治験に含まれている

- ⑪ 疾患登録情報を臨床開発に活用する手法の研究(レギュラトリーサイエンス) 0.2億円 (0.2億円)

PMDA

所管: 厚生労働省

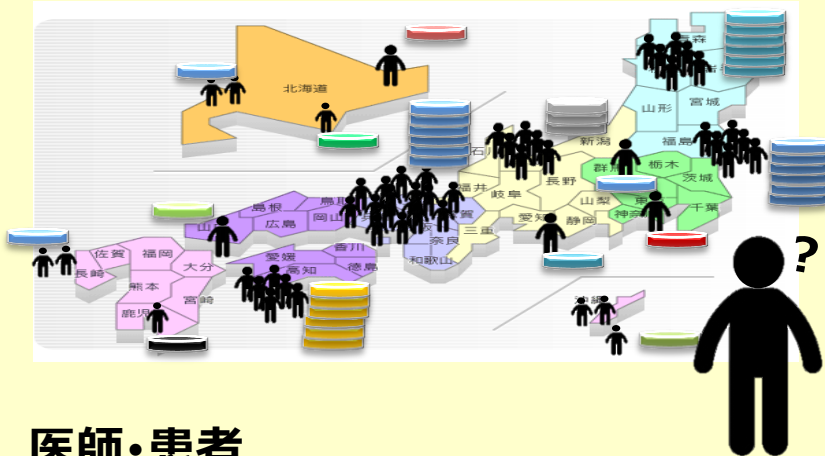
AMED

所管: 内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省

# 疾患登録システム

※疾患登録システム：患者が、どこに、何の疾患で、どのような状態で存在しているかを集めたデータベース

## 現状、疾患関連情報が全国に点在



### 医師・患者

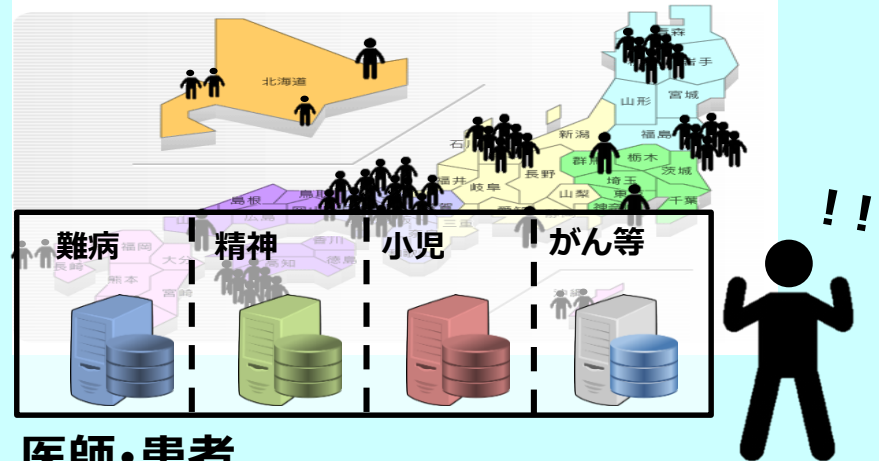
- ・病状から病名が診断できない
- ・治療機会がない
- ・どこの病院に行けば良いの？

### 製薬企業

- ・市場規模は？
- ・患者リクルートが困難
- ・調べるには、コストと手間がかかる

臨床研究開発を躊躇！！

## 疾患登録システムが整備されると



### 医師・患者

- ・患者数・分布等が把握できる
- ・専門的知見等を有する医療機関・医師が分かる
- ・どこの病院に行けば良いか分かる

### 製薬企業

- ・市場性がわかる
- ・患者リクルートが容易
- ・臨床研究開発コストが削減

希少疾患・難病であっても、  
臨床研究開発が進む！！

## 背景

「日本再興戦略(平成28年6月2日閣議決定)」において、「国立高度専門医療研究センター(NC)や学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行う「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。」と記載され、平成28年度より、クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築が進められている。

## 現状・課題

疾患登録レジストリは、患者の把握、治験・臨床研究へのエントリ、市販後安全対策等、様々な目的のために構築されており、医薬品等の治験・臨床研究の推進に貢献しているが、

- ① 利用目的に応じた必要な情報が収集されていないなど、必ずしも企業が活用しやすいものとなっていない
- ② 大学、NC、学会など様々な機関がその運用を独自に行っていることから、どこにどのような種類のレジストリーが構築されているのかが判然としない

との指摘がある。

## ※ 資金の流れ

厚生労働省



AMED

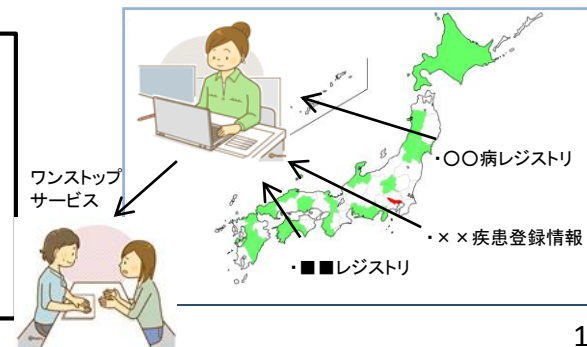


NC・大学等

## 対応方針

疾患登録レジストリの更なる活用を図り、CIN構想を加速させるため、

- ① 利用目的毎にレジストリ情報を収集し
- ② 治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービス化を推進する。



# 再生医療の実用化の促進

# 再生医療等の安全性の確保に関する法律制定の背景

## ● 再生医療等についての法規制が不在

- ・ 臨床研究については、大臣告示（ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針）で手続きを定めていたが、自由診療については国への手続きがないため、自由診療でどのような再生医療が行われているのか実態把握が困難

**再生医療等の迅速かつ安全な提供**を図るため、新

➡ たに適切な規制が必要

→ **再生医療等安全性確保法**・**医薬品医療機器法**の  
制定

# 再生医療の実用化を促進する制度的枠組み

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律【議員立法】平成25年5月10日公布・施行

自由診療

臨床研究

再生医療等安全性確保法  
【平成25年11月27日公布】  
【平成26年11月25日施行】

製造販売

医薬品医療機器法  
【平成25年11月27日公布】  
【平成26年11月25日施行】

迅速性

細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療等製品の特性に応じた早期承認制度の導入

安全性

リスクに応じた三段階の提供基準、細胞培養加工施設の基準 等

患者への説明と同意、記録・保存など市販後の安全対策

安全な再生医療を迅速かつ円滑に

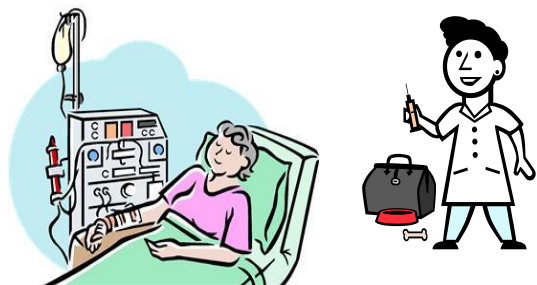
多くの製品を、より早く

# 再生医療等安全性確保法と医薬品医療機器等法

## 再生医療等

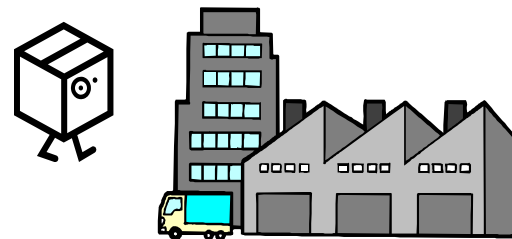
医療機関内で医療\*  
として提供される場合

(\*再生医療等製品や確立された医療技術を除く)



再生医療等安全性確保法

企業が再生医療等製品  
として製造する場合



医薬品医療機器法



# 再生医療等安全性確保法の施行状況について

(平成28年10月31日現在)

## (1) 認定再生医療等委員会

委員会の分類	認定再生医療等委員会の件数							合計
	北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
特定認定再生医療等委員会	2	1	20	3	10	3	2	41
認定再生医療等委員会※	2	4	53	10	18	3	10	100
合計	4	5	73	13	28	6	12	141

※第3種再生医療等提供計画のみに係る審査等業務を実施する委員会

## (2) 細胞培養加工施設

許可等の分類	細胞培養加工施設の件数							合計
	北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
許可	1	1	25	5	11	0	3	46
届出	81	109	1041	241	415	179	313	2,379
合計	82	110	1,066	246	426	179	316	2,425
認定	韓国(3)							3

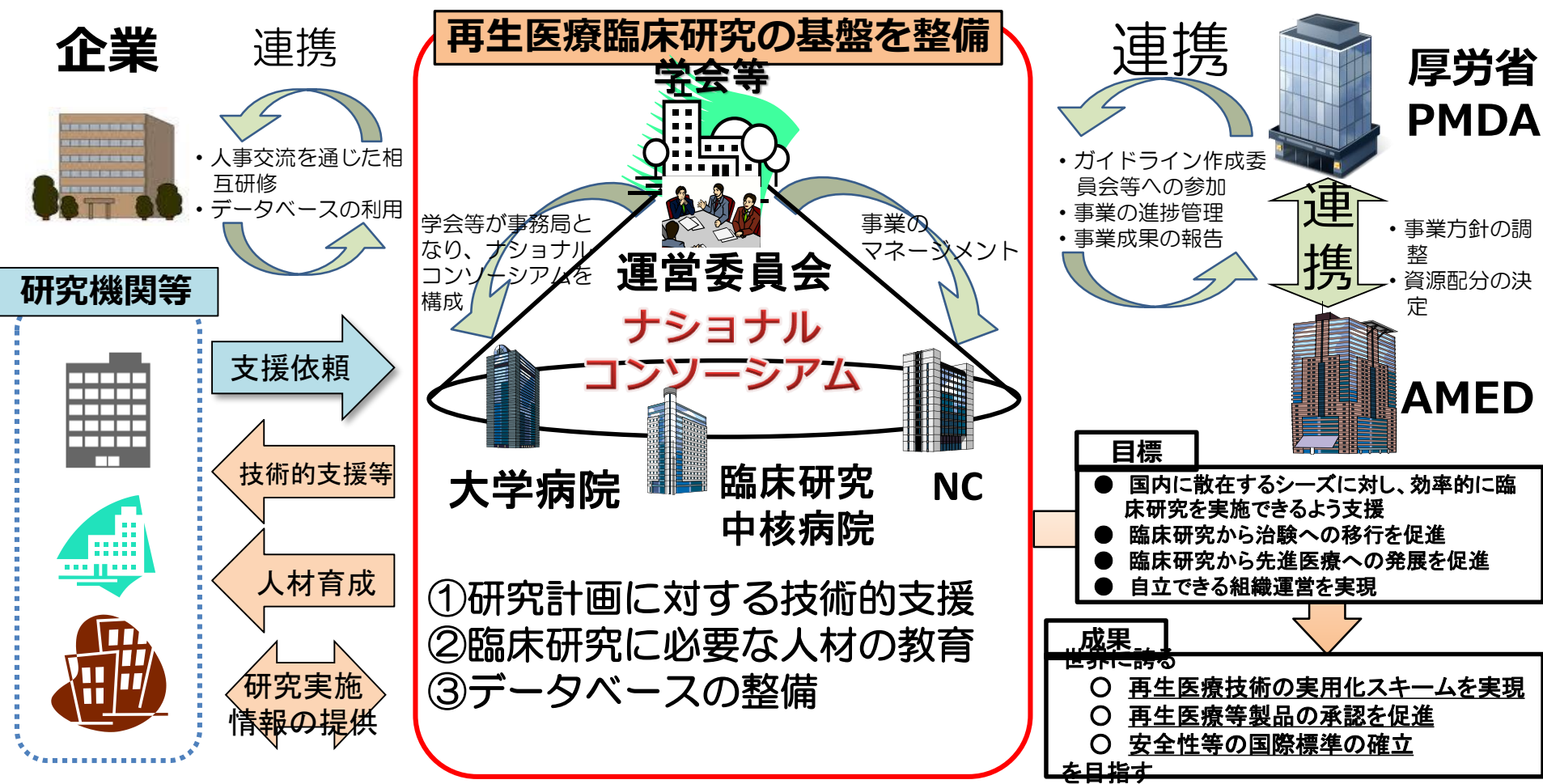
## (3) 再生医療等提供計画

再生医療等の分類	治療・研究の区分	再生医療等提供計画の件数							合計
		北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
第1種再生医療等提供計画	治療	0	0	0	0	0	0	0	0
	研究	0	1	8	3	3	1	1	17
第2種再生医療等提供計画	治療	7	0	37	4	19	0	8	75
	研究	0	0	11	5	13	4	4	37
第3種再生医療等提供計画	治療	119	169	1,365	384	588	245	394	3,264
	研究	0	1	34	4	4	2	5	50
合計	治療	126	169	1,402	388	607	245	402	3,339
	研究	0	2	53	12	20	7	10	104

# 再生医療臨床研究促進基盤整備事業

(平成28年度新規事業)

本事業においては、学会等が再生医療の知識・経験を有する医療機関と連携して行う、①研究計画に対する技術的支援、②臨床研究に必要な人材の教育、③データベースの整備等、に対して支援を行うことにより、再生医療臨床研究の基盤を整備し、研究の効率化・標準化、コストの削減等を図る。



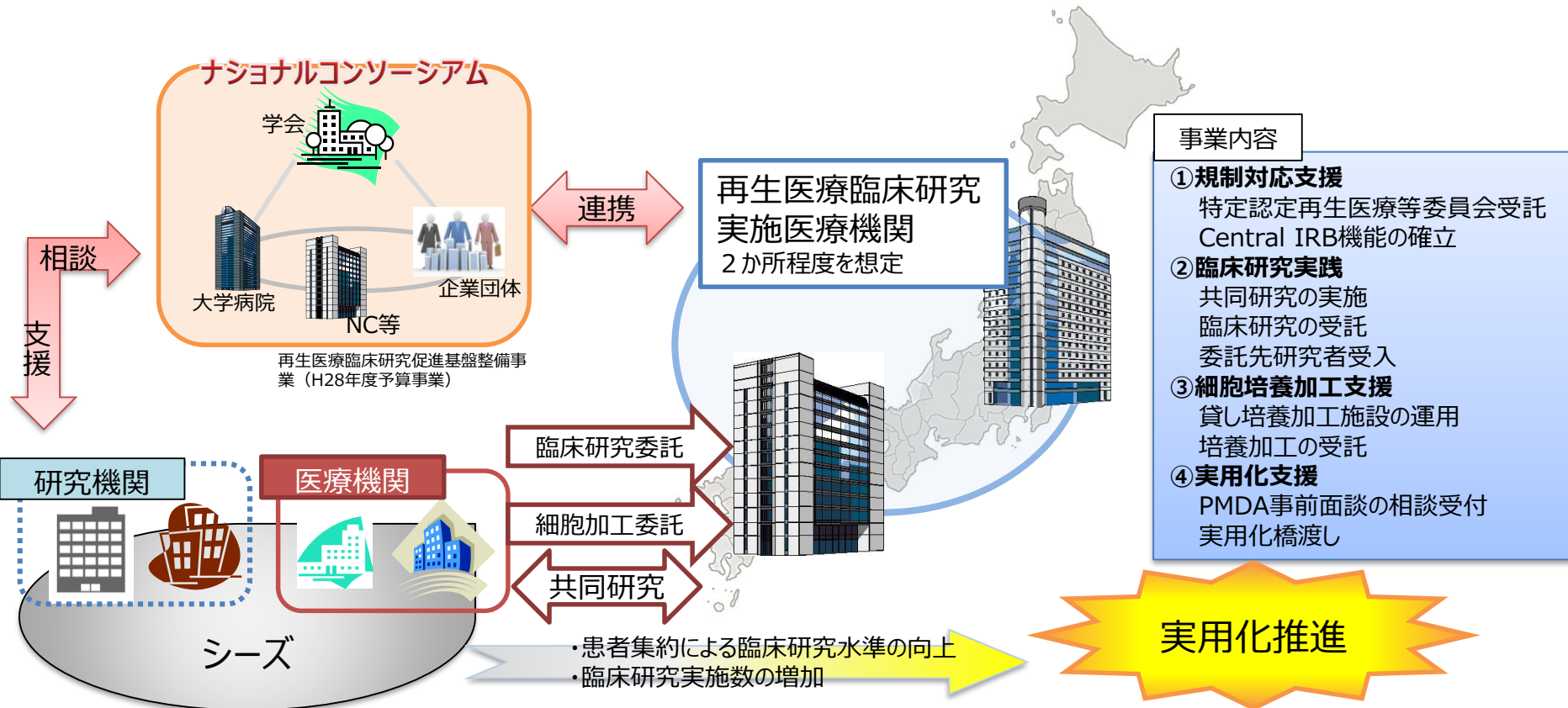
## 背景

再生医療については、細胞培養加工や品質管理等特殊技術を必要とし、患者集約も困難であるため、シーズがあっても実施できない医療機関、研究機関にとって実用化のハードルとなっている。

再生医療を推進する議員の会において基礎研究から産業化までを一貫して行う「再生医療センター」の設置を目指す決議がなされたが、その実現を支える基盤が未成熟であり、先行的にまず臨床研究の中核となりうる整備が必要である。

## 目的

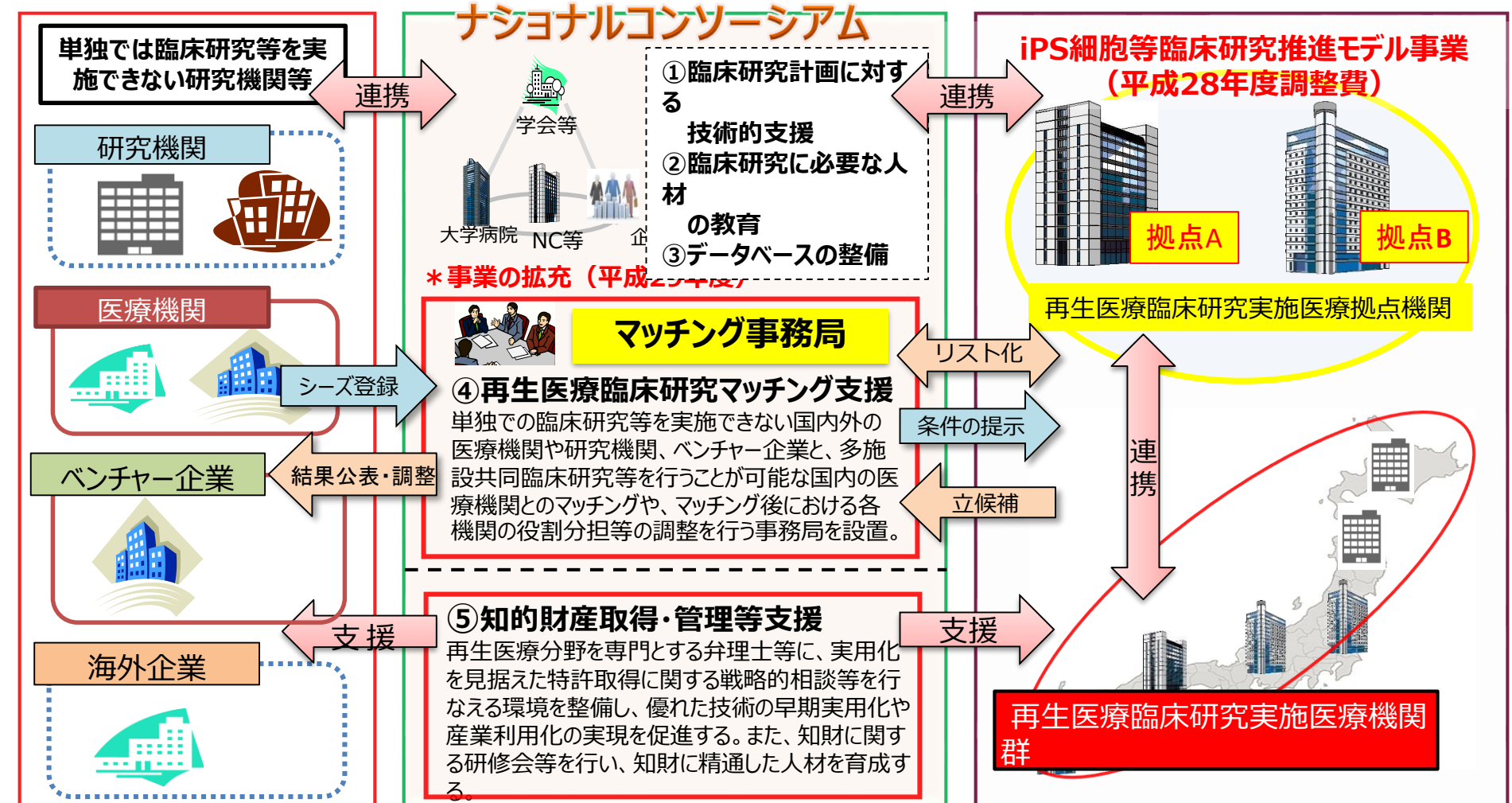
本事業では、多施設共同臨床研究や、他機関で基礎研究を終えた研究課題の臨床研究の受け入れを積極的に行える環境が整った医療機関を選定し、多施設共同臨床研究等に必要な医療機器等を整備し、臨床研究の促進を図る。



# 再生医療臨床研究促進基盤整備事業 平成29年度概算要求額：258,031千円（平成28年度：228,697千円）

本事業では、学会等が再生医療の知識・経験を有する医療機関と連携して行う、①研究計画に対する技術的支援、②臨床研究に必要な人材の教育、③データベースの整備等、に対して支援を行うことにより、再生医療臨床研究の基盤を整備し、研究の効率化・標準化、コストの削減等を図る。

平成29年度は、ナショナルコンソーシアムにマッチング事務局を設置し、iPS細胞等臨床研究推進モデル事業（H28年度調整費）で選定する拠点機関を中心に、全国の再生医療等臨床研究実施機関と連携を図り、④単独での臨床研究を実施できない国内外の研究機関や医療機関、ベンチャー企業等と、多施設共同臨床研究等を行うことが可能な国内の医療機関とのマッチングや、マッチング後における各機関の役割分担等の調整等の支援を行う。さらに、大学や企業等が保有する再生医療技術に関して、幅広い産業利用を可能とし、世界に先駆けた特許取得となるように⑤知的財産取得・管理等に関する戦略的助言等の支援を行う。



そ の 他