

我が国の創薬力向上に向けての 課題と今後の取り組み

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA)

理事長

藤原 康弘

COI開示: 開示すべきCOI関係にある企業などはありません

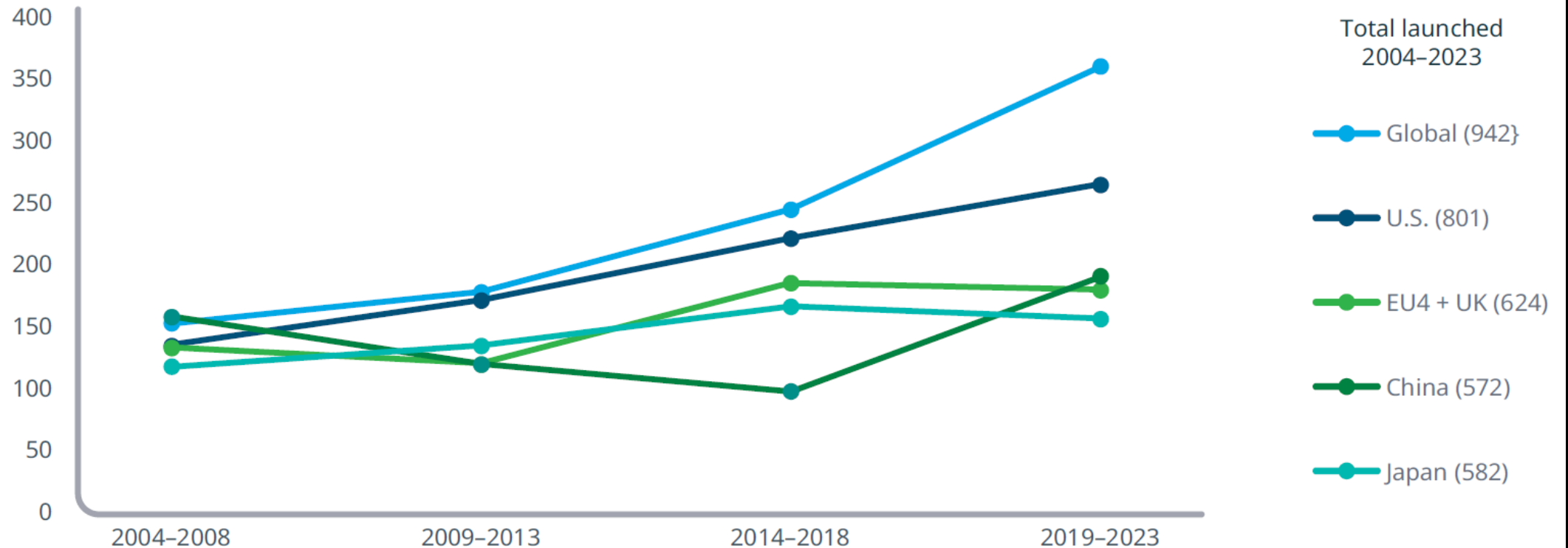
今日お話ししたいこと

- 1. 医薬品等の開発環境の変化**
- 2. 創薬力向上に向けた行政(厚労省、内閣府)の対応**
- 3. 革新的医薬品の開発強化に向けたPMDAの取り組み**
- 4. AI技術を用いた医療機器と薬事規制について**

世界で販売されている新有効成分医薬品のうちの 半分以下しか日本では販売されていない状況に



Exhibit 25: Number of novel active substances (NASs) launched globally and in selected countries, 2004–2023



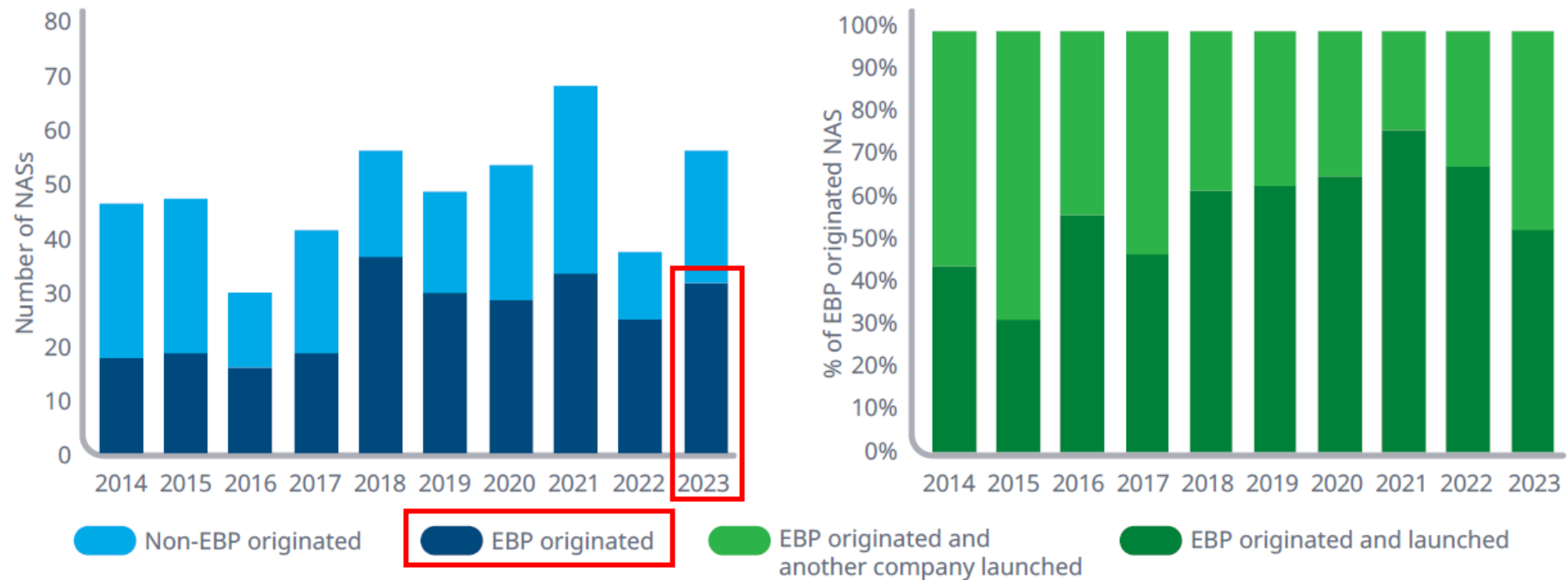
Source: IQVIA Institute, Jan 2024.

出典: IQVIA INSTITUTE , Global Trends in R&D 2024 (無断転用転載禁止)

新興バイオ企業起源の新薬が増えてきている

Emerging biopharma companies originated 56% of all new drugs in 2023 and launched 53% of them, less than in recent years

Exhibit 31: Companies originating and filing FDA regulatory submissions for NASs and percent of launches by NAS launch year, 2014–2023



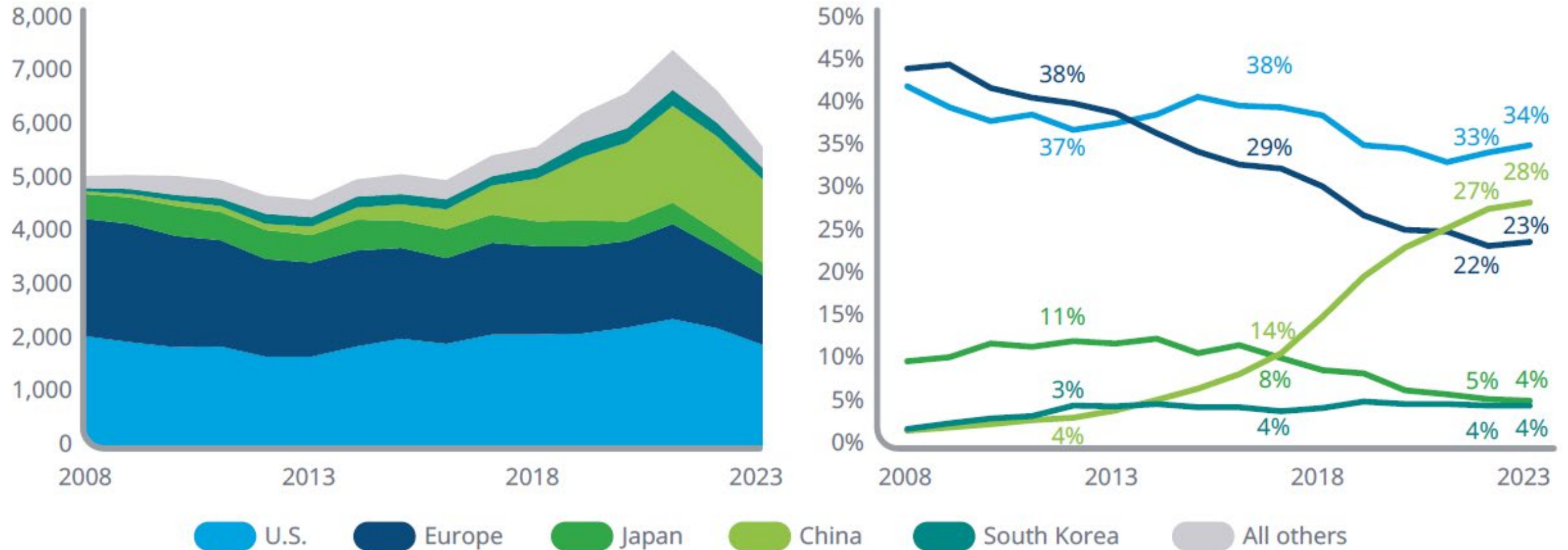
Source: IQVIA Institute, Jan 2024.

* Emerging biopharma (EBP):年間売上額5億ドル未満/年間研究開発費用2億ドル未満の企業

出典:IQVIA INSTITUTE , Global Trends in R&D 2024 (無断転用転載禁止)

日本に本社のある製薬企業が主導する臨床試験数は年々減少

Exhibit 11: Number of Phase I to III trial starts based on company headquarters location, 2008-2023



Source: Citeline Trialtrove, Jan 2024; IQVIA Institute, Jan 2024. 出典: IQVIA INSTITUTE , Global Trends in R&D 2024 (無断転用転載禁止)

アカデミア発の新医薬品は米国でも10%未満

2015年～2021年に米国FDAのCDERで承認された新医薬品のイノベーションの起源はどこか？
売上高世界トップ20のバイオ製薬企業について（138品目/全承認323品目）

Schuhmacher A et al. Nat Rev Drug Discov 22:781-782, 2023 (Oct)

News & analysis

From the analyst's couch <https://doi.org/10.1038/s41573-023-00102-z>

Investigating the origins of recent pharmaceutical innovation

Alexander Schuhmacher, Markus Hinder, Alexander Dodel, Oliver Gassmann & Dominik Hartl

[Check for updates](#)

Leading pharmaceutical companies have historically been engaged in all stages of the R&D pipeline, from target identification through to drug marketing, and thus have been termed fully integrated pharmaceutical companies (FIPCOs). In the post-2015 era, however, the pipeline has shifted through partnering or mergers and acquisitions (M&As) have become a prominent component of the pipelines of such companies. Given the long development cycles and the increasing level of collaboration between pharma companies and biotech companies, however, the precise origins of innovation are not obvious, in part as regulatory approvals for innovative drugs by agencies such as the FDA are granted to the company filing the application, which is not necessarily the company that discovered the active pharmaceutical ingredient.

Understanding the origins of innovation provides a deeper understanding of the pharma business model and could support strategic improvements. We therefore systematically assessed the origins of innovation for all new molecular entities (NMEs) and new therapeutic biologics (NTBs) approved between 2015 and 2021 by the Center of Drug Evaluation and Research (CDER) of the US Food and Drug Administration (FDA) for the top 20 biopharma companies globally by sales in 2020 (see Supplementary Information for details).

Origins of pharmaceutical innovation

The FDA approved 323 new drugs between 2015–2021, of which 138 were filed for approval by the top 20 biopharma companies (Supplementary Table 1). The majority (65%) of these new drugs originated from external sources, while 28% were invented internally, 5% were discovered collaboratively, and the remaining 2% included other special cases (Fig. 1, Table 1). Classifying companies as pharma or biotech based on their foundation date, the majority of the 138 drugs (47%) were invented by biotech companies founded after 1975, while 38% were invented by pharma companies founded earlier (Supplementary Figure 1, Supplementary

Table 2). Only a minority of new drugs originated from universities or other academic institutions (7%) or were the output of other third-party drug discovery collaborations (6%) (Supplementary Table 3). Notably, the majority (63%) of the 48 NTBs approved for the top 20 biopharma companies had their origin in biotech companies (founded after 1975), while 13 NTBs (27%) were invented in pharma companies (Fig. 1b). For the 90 approved small molecule drugs, 44% (40 NMEs) originated in pharma companies, 39% (35 NMEs) derived from biotech companies, 6% (5 NMEs) were developed in collaboration with other entities and 10% (9 NMEs) came from other sources, such as non-profit or governmental research organizations (Fig. 1c). Finally, analysing the group of 90 drugs (65%) that originated from external sources, 56 (43%) of these new drugs were gained through M&As and 34 (25%) were in licensed (Supplementary Table 4).

Discussion

Our analysis indicates that the business model of the top 20 biopharma companies in recent years has largely been built on external innovation, as only 28% of recently FDA approved drugs were invented and developed internally. Biotech companies were the most important origin of innovation (47% of new drugs) for the top 20 companies, even after having lost their focus on small molecule drugs, and they have accessed the majority of their recently launched biologics from biotech companies. Breaking down these analyses on a single company level (Supplementary Table 5), 15 of the evaluated 20 biopharma companies relied largely on external innovation, with Johnson & Johnson, Sanofi, Takeda and Biogen focusing fully on externally invented new drugs (Table 1). Among companies that leveraged external innovation, in licensing versus acquisition was further compared, revealing that Pfizer, Gilead, Takeda and Daiichi Sankyo accessed external innovation primarily by M&As, whereas Bayer, Amgen, Novo Nordisk and Biogen focused on licensing (Table 1). Although the top 20 biopharma companies in general cover the entire R&D pipeline, from drug discovery to commercialization, and thus are 'fully integrated' per se, the finding that the majority of new drugs launched by the

a Total (138 drugs)

Internal 28% External 65% Collaboration 5% Other 2%

b Biologics (48 drugs)

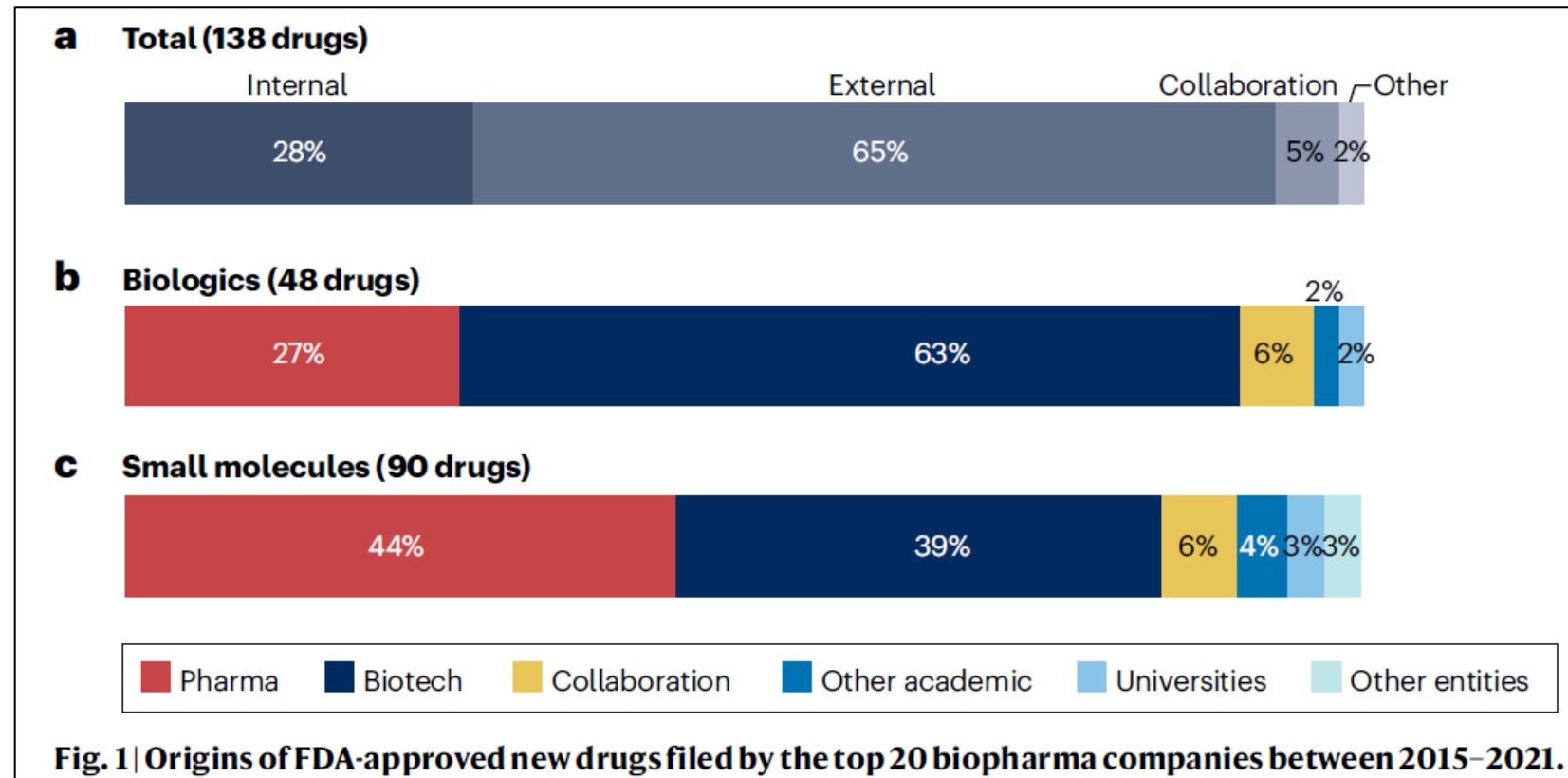
27% 63% 6% 2% 2%

c Small molecules (90 drugs)

44% 39% 6% 4% 3% 3%

Pharma Biotech Collaboration Other academic Universities Other entities

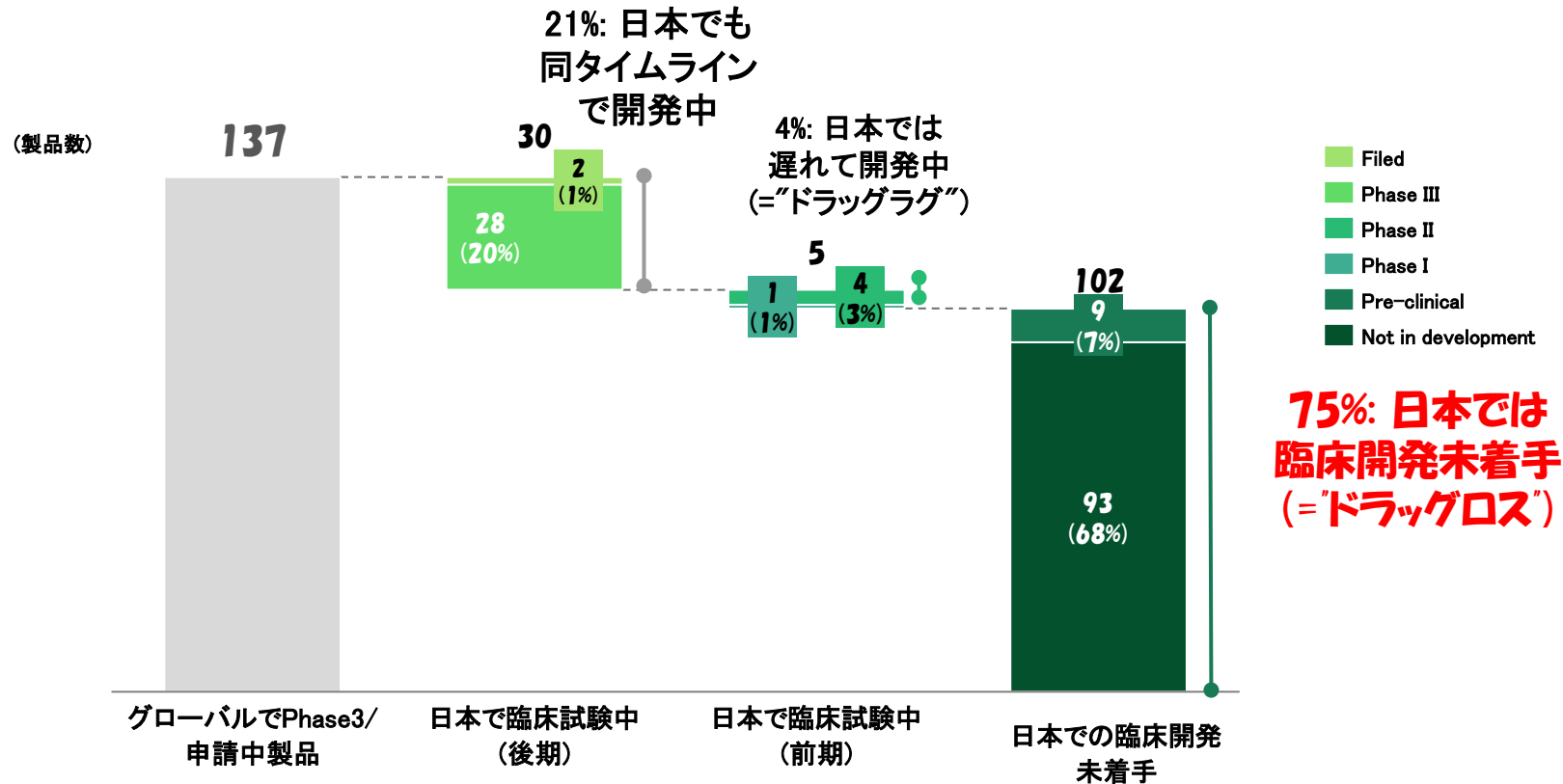
Fig. 1 | Origins of FDA-approved new drugs filed by the top 20 biopharma companies between 2015–2021. a, Over all, 65% of the new drugs originated from external sources. The majority of biologics (48%) originated in biotech companies (b), while the largest group of small molecule drugs (44%) originated by pharma companies (c). Other academic institutions include non-profit research organizations and governmental research institutions. For details of the data and analysis, see Supplementary Information.



将来のドラッグラグ・ロス

グローバルで開発後期段階の新規モダリティでは、
その75%で日本での臨床開発が未着手であり、
今後“ドラッグロス”はさらに悪化する懸念

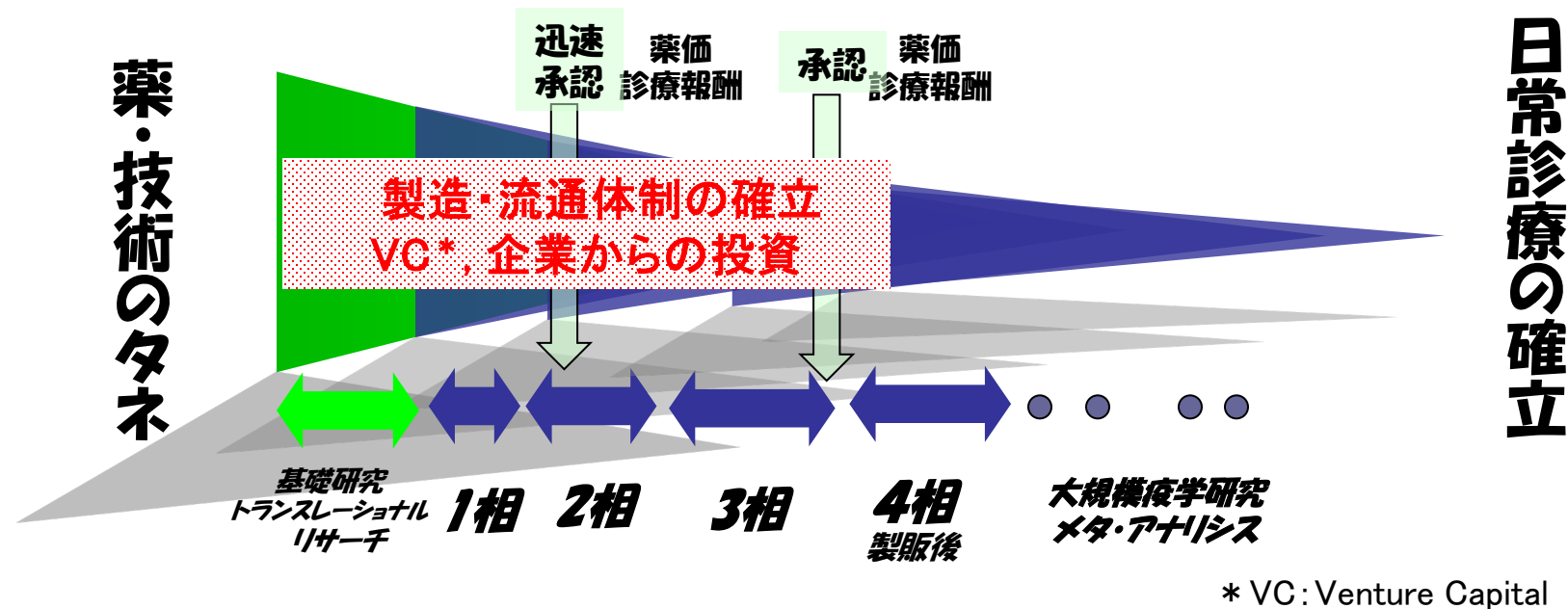
2023年7月時点での、グローバル(欧米)Phase3/申請中の 新規モダリティ137製品の日本での開発状況



Note: 集計は製品名単位; 複数Indicationを持つ場合は最初の承認年を参照;
Source: EvaluatePharma, BCG analysis;

薬や医療機器が診療で使われるまでには、長い時間と、たくさんの開発資金、
たくさんの人々の協力・参加・叡智が必要

今の日本の創薬力向上には、あらゆる段階の強化が必要



研究力、ベンチャー育成、臨床試験（治験）体制整備の全てが医療の改善・進歩に不可欠
これまで強化されてこなかったところに、まず着目し、
改善を試みていくことが必要

ドラッグロスの3つの主たる要因とその解決の方向性

薬事規制環境

正しい情報発信
供給面への配慮
積極的な実用化支援

厚労省 R5年6月9日 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 報告書

厚労省 R5年7月10日～
創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会

開発環境

創薬シーズ探索と応用研究
臨床試験を経る実用化
製造設備・サプライチェーン

R2年4月9日 健康医療戦略（一部変更）
同 医療分野研究開発推進計画（一部変更）

経産省 産業構造審議会 商務流通情報分科会
R5年6月19日第17回バイオ小委員会
バイオ政策の目指すべき将来像について

厚労省 医政局
医療用医薬品の安定確保策に関する関係者会議
医療用医薬品の流通改善に関する懇談会

経済環境

薬価制度
税制（研究開発・特許）
ベンチャー育成

経産省 バイオベンチャーの支援
創薬ベンチャーエコシステム強化事業、
伊藤レポート、MEDISO

R5年12月14日 R6年度税制改正大綱
イノベーションボックス税制の創設

R5年12月20日 中医協 R6年度薬価制度改革
迅速導入加算、収載後の外国平均価格調整

論点1 日本のアカデミア等の潜在化した有望なシーズが掘り起こせているか

論点2 いかにして海外のイノベーションを呼び込むか：

臨床開発の場の整備が不可欠ではないか

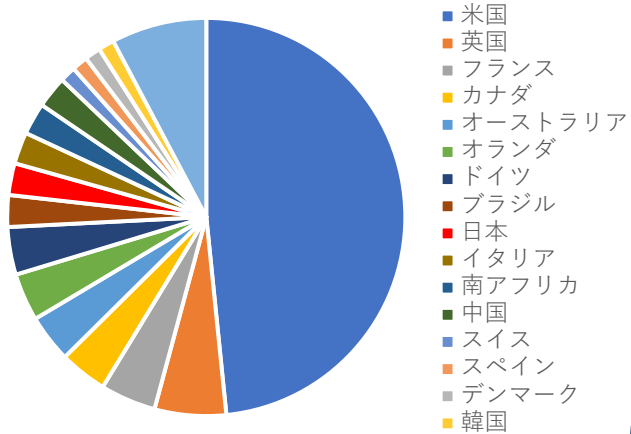
臨床試験を実施する力、
さらには“主導する力”が弱い

筆頭著者の所属機関の国籍 NEJM

2020

原著論文 n=211

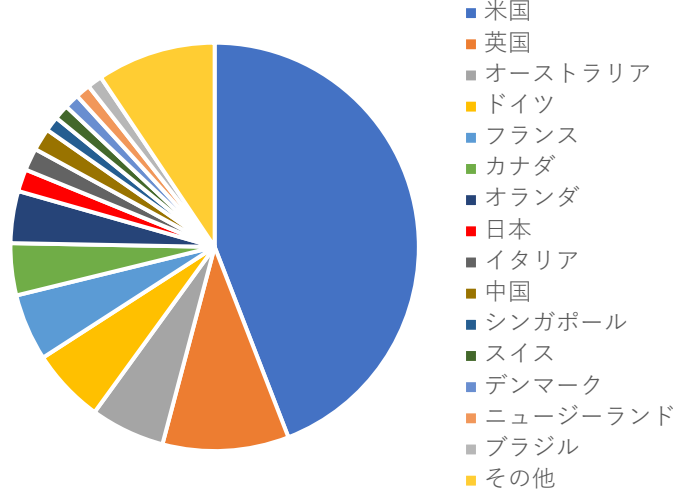
臨床試験結果論文 n=155



2019

原著論文 n=210

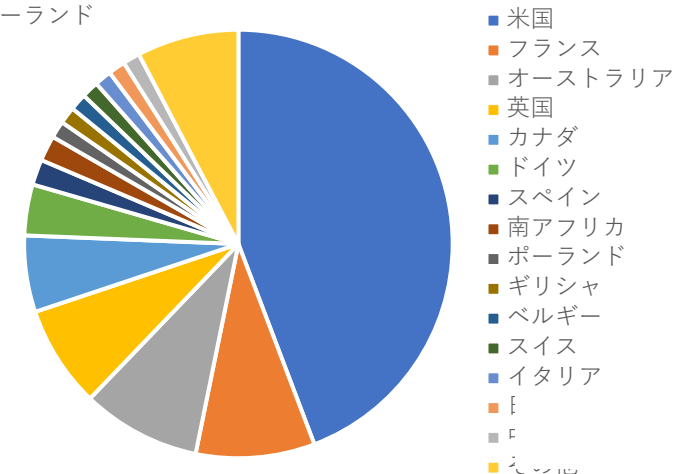
臨床試験結果論文 n=170



2018

原著論文 n=208

臨床試験結果論文 n=156



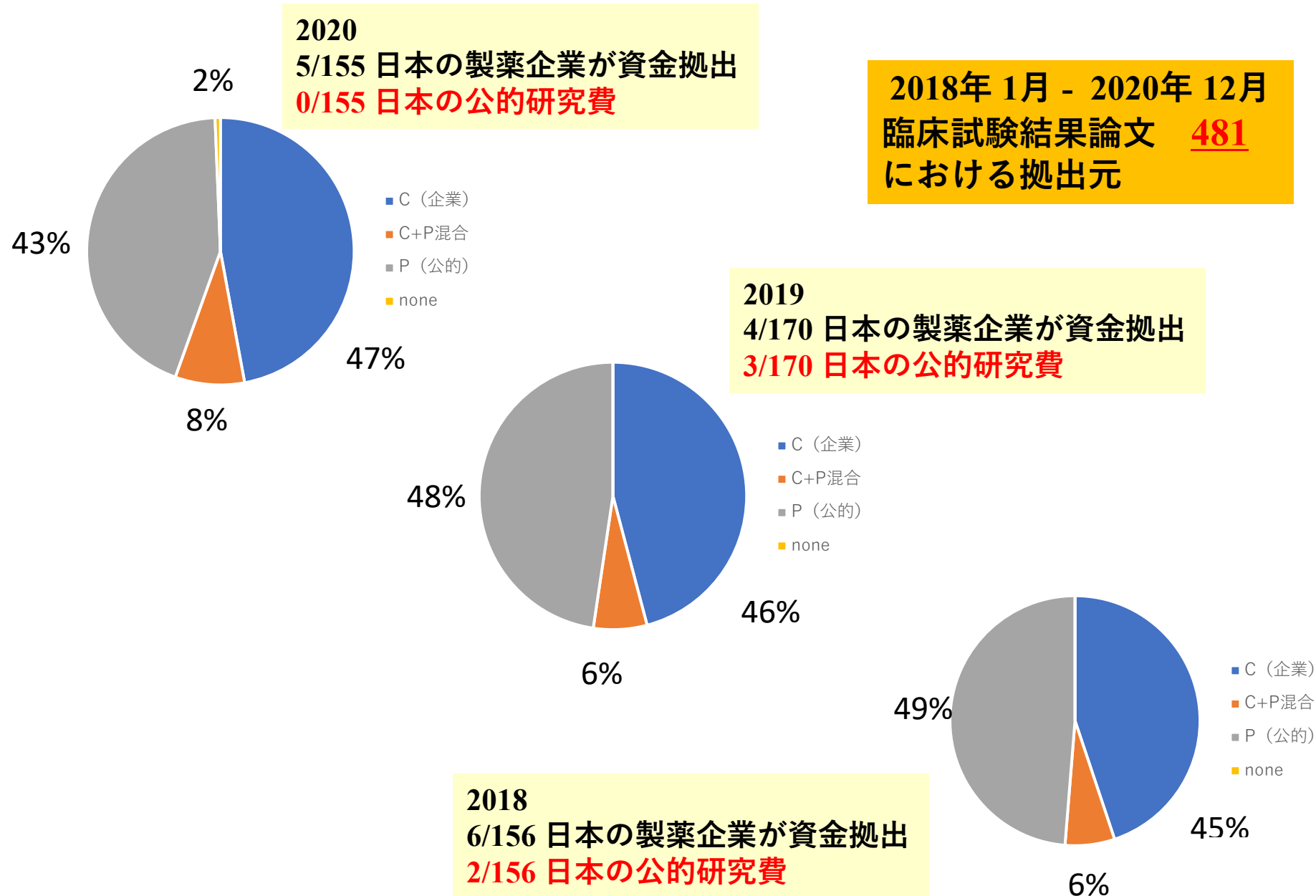
著者の中に
所属機関が日本の著者が
含まれている臨床試験論文

2020 23/155 (15%)

2019 18/170 (11%)

2018 21/156 (13%)

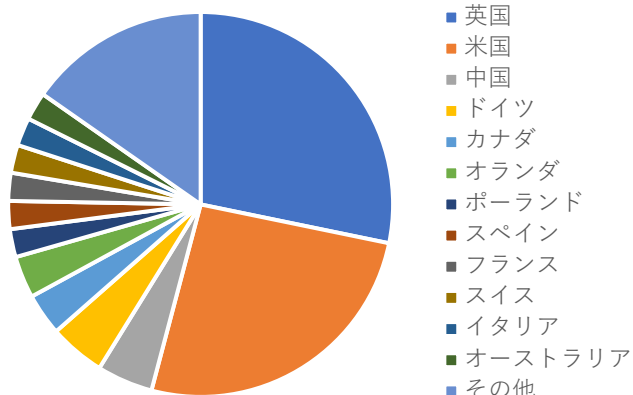
臨床試験の研究費拠出元 NEJM



筆頭著者の所属機関の国籍 Lancet

2020

原著論文 n=157
臨床試験結果論文 n=85



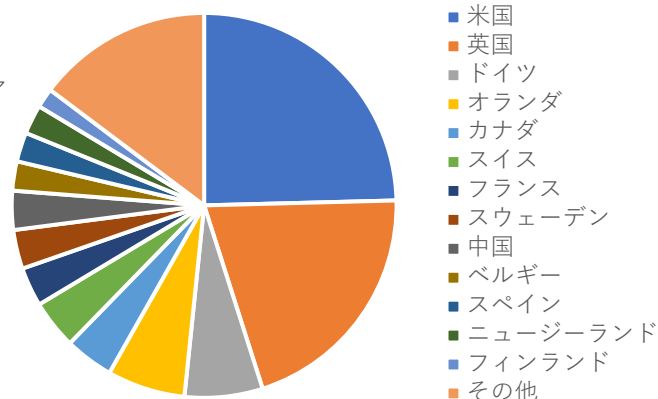
2018年 1月 - 2020年 12月

原著論文数 515

うち臨床試験結果論文 312

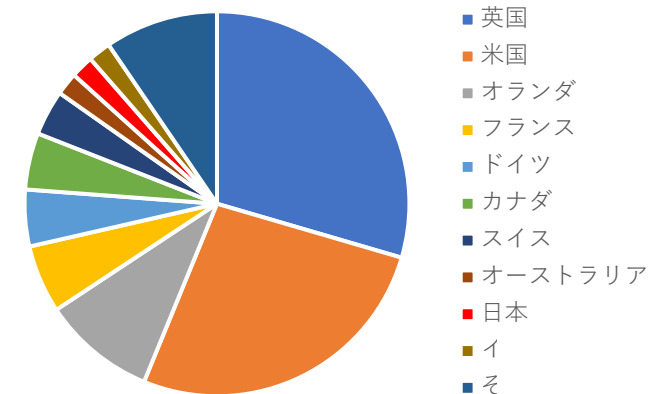
2019

原著論文 n=184
臨床試験結果論文 n=122



2018

原著論文 n=174
臨床試験結果論文 n=105



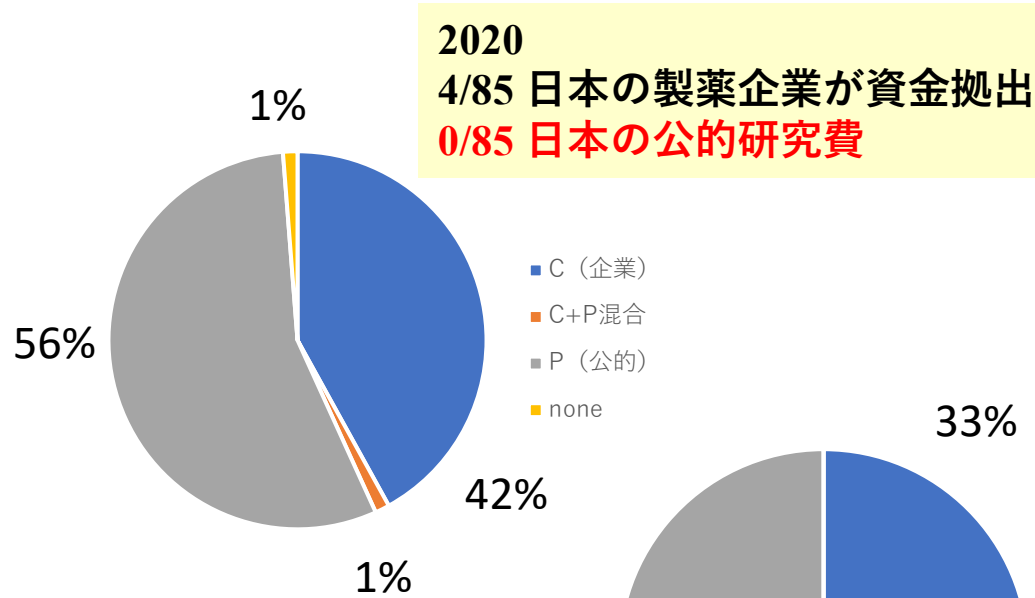
著者の中に
所属機関が日本の著者が
含まれている臨床試験論文

2020 5/85 (6%)

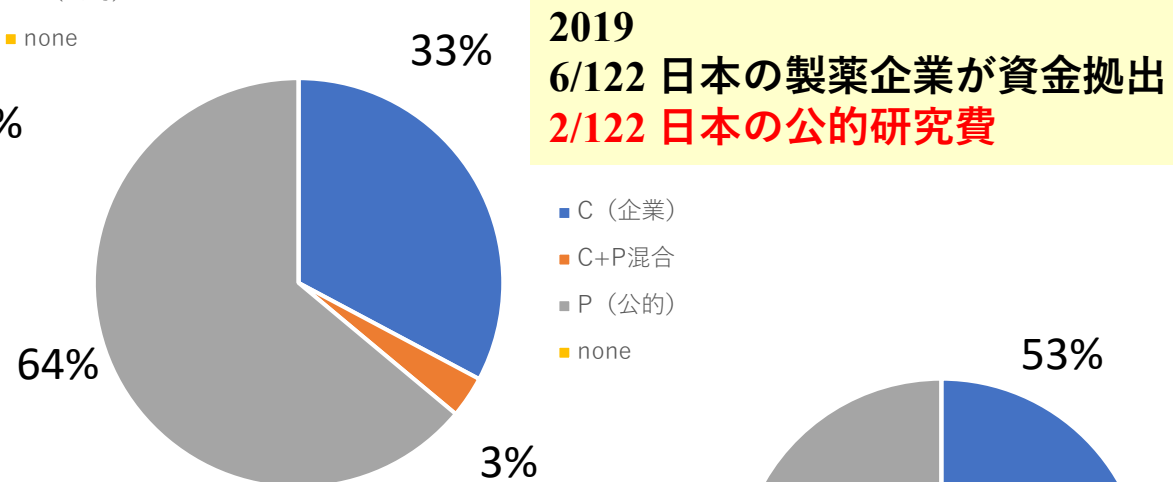
2019 10/122 (8%)

2018 8/105 (8%)

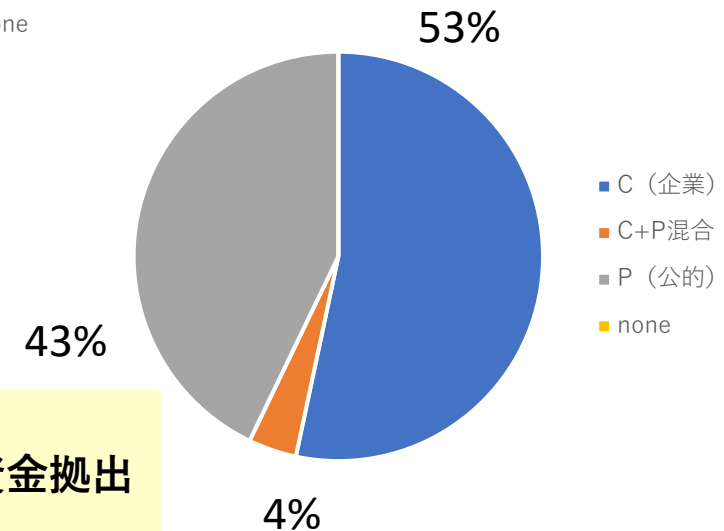
臨床試験の研究費拠出元 Lancet



2018年 1月 - 2020年 12月
臨床試験結果論文 **312**
における拠出元

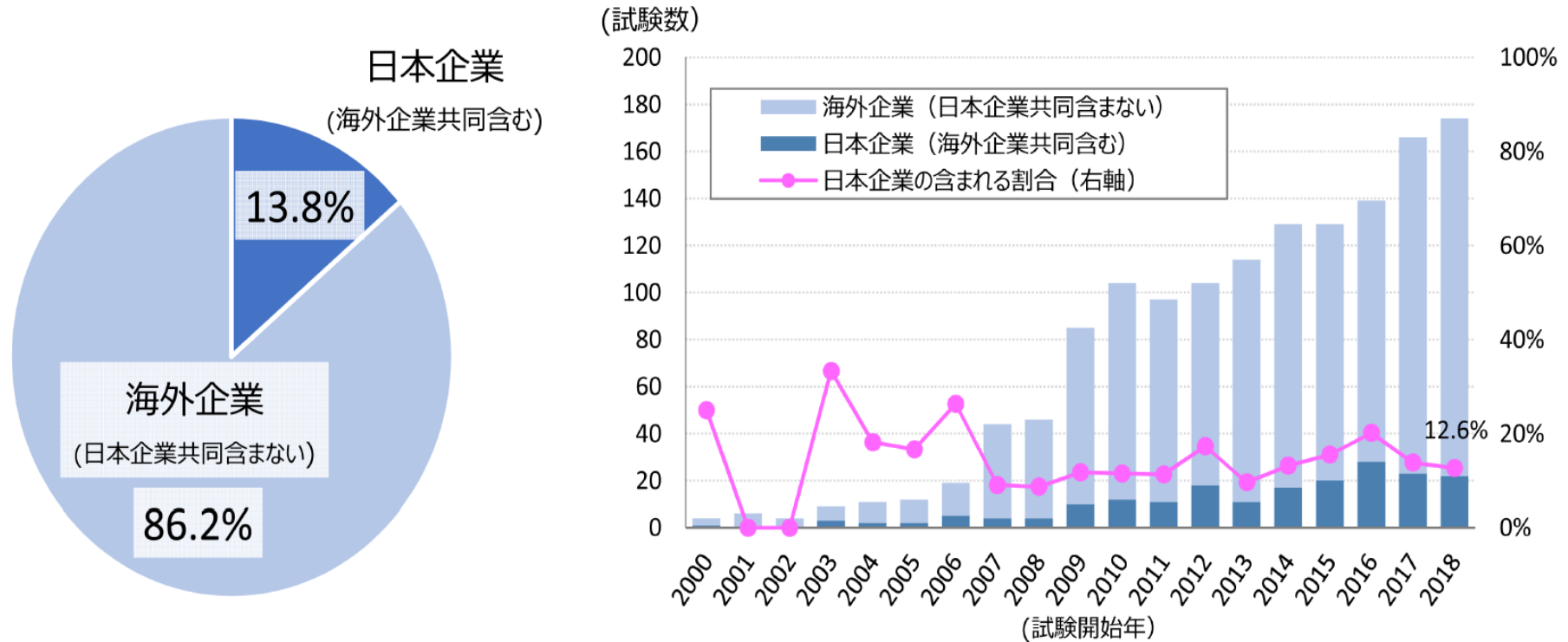


2018
2/105 日本の製薬企業が資金拠出
1/105 日本の公的研究費



日本企業が国際共同治験をけん引するのは困難？

図5 日本で実施される国際共同治験の Sponsor/ Collaborators の企業国籍



政策研ニュース No.58 2019年11月

<https://www.jpma.or.jp/opir/news/058/09.html>

* Clinical Trial.govをもとに医薬産業政策研究所で作成

日本主導の国際共同試験： 公的研究費の課題

- そもそも国際共同試験（介入研究）を想定した研究費枠がない
- 研究費の額が少なく、企業資金と併用しにくい
 - ✓ 国際共同試験は患者登録が劇的に早くなる一方で、研究費額は2-3倍となる（医師主導試験だとしばしば5億以上となり「革新がん」ですべてカバーすることは困難）
 - ✓ 一定のルールの下に企業資金と併用する仕組みがあれば、国際共同試験が促進されるのではないか
- AMEDルールは国際共同試験を想定していない
 - ✓ AMEDの研究費取扱要領はすべて日本語
 - 各々の研究代表者が独自に英語でAMEDルールのガイダンスを作り、契約書に漏れなく落とし込む必要あり
 - ✓ 現状AMEDは海外施設を研究分担施設とはしないという姿勢
 - 海外施設自らが設備備品を購入することは不可
 - ✓ 結果的に、研究代表者が海外研究者の研究費適正使用をモニタリングする義務を負うため本来の研究「以外」の業務に忙殺されることに

次の10年、
従来からやってきた基礎研究・トランスレーショナル・
リサーチ振興に加えて、
新しい治療薬・治療法を
保険医療の現場に出す（出口戦略とはココ）
研究や体制整備を振興する必要がある。

良いシーズが日本で生まれても、まずは海外で
販売・医療現場への展開が開始されてしまう。
最近の開発の主体である新興バイテック企業は
日本を臨床開発の場としてみてくれないからです。

今日お話ししたいこと

1. 医薬品等の開発環境の変化
- 2. 創薬力向上に向けた行政(厚労省、内閣府)の対応**
3. 革新的医薬品の開発強化に向けたPMDAの取り組み
4. AI技術を用いた医療機器と薬事規制について

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(厚生労働省・医薬局)
(令和6年4月24日報告書といまとめ)を踏まえた検討状況 (2023.7.10~2024.3.21)

検討テーマ		検討状況
開発促進	希少疾病用医薬品の指定のあり方	①いわゆる「輪切り」の要件に当たらない場合の明確化、②医療上の必要性が認められる範囲の明確化、③指定時期を非臨床段階まで早期化することなどが了承された。令和6年1月16日に改正通知を発出した。
	小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方	成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画の策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入することなどが了承された。令和6年1月12日及び3月29日に関連通知等を発出した。
臨床試験	我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理	海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験については、原則不要とすることが了承された。令和5年12月25日に通知・QAを発出した。 極めて患者数の少ない疾患に用いる薬剤であって、外国において検証的な臨床試験が完了しているなどの要件を満たす場合に日本人での臨床試験を不要とすることや、条件付き承認制度の活用を促進するため要件を明確化することなどが了承された。令和6年10月23日に通知を発出した。
	治験の更なる効率化(エコシステム)	中央IRBの活用が望ましいとする考え方の文書化、治験費用の算定方法の合理化、治験運用の更なる合理化について、今後、医療関係者の意見を聴いて行政・業界において検討を進めることとなった。
市販後安全対策	製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方 リアルワールドデータの活用のあり方	製造販売後調査のあり方について、リサーチクエストンに応じた適切な調査等を計画・実施するべきであって、単に治験の症例数が少ないこと等のみでは使用成績調査や全例調査を実施する根拠にはならないこと、調査等の実施計画については承認前ではなく市販後の適切な時期に検討できる場合があることなどが了承された。令和6年10月4日に通知を発出した。
品質	医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方	欧米と同様に、中リスクの変更カテゴリや年次報告の仕組みを試行的に導入することなどが了承された。令和6年9月27日に関連通知等を発出した。 医薬品製造業者等による不正事案への対応として、行政による薬事監視について議論し立入調査・検査の強化の方向性について了承された。
情報発信	我が国の薬事制度に関する海外への情報発信	我が国の薬事制度についてPMDAの米国事務所の設置などを通じて積極的・能動的に海外に情報発信していくことが重要であることなどが議論された。

オーファン指定の対象の明確化・早期化

医薬薬審発0116第1号 2024年1月16日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知
医薬機審発0116第1号 2024年1月16日付け厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知

医薬薬審発 0116 第 1 号
医薬機審発 0116 第 1 号
令和 6 年 1 月 16 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

2024年1月16日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡（Q&A）

事務連絡
令和 6 年 1 月 16 日

- ①いわゆる「輪切り」の要件に当たらない場合の明確化
- ②医療上の必要性が認められる範囲の明確化
- ③指定時期を非臨床段階まで早期化する

理課

「希少疾病用医薬品等の指定に関する取

希少疾病用医薬品の指定に関する取扱いについての質疑応答集（Q&A）について

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び

希少疾病用医薬品の指定に関する取扱いについては、「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」（令和2年8月31日薬生薬審発 0831 第7号厚生労働省医薬・生活衛生

「輪切り」とは
特定の疾患の患者数について、医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤な」等の接頭語あるいは、ただし書きを追加することで、患者数を5万人未満として計算すること

<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001285832.pdf>

<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001285834.pdf>

小児用医薬品の開発促進(開発計画の策定)

医薬薬審発0112第3号 2024年1月12日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知

医薬薬審発 0112 第 3 号

令和 6 年 1 月 12 日

[一部改正]令和 6 年 3 月 29 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

**成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用医薬品の開発計画を策定し、
PMDAの確認を受けられる仕組みを導入**

成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う
小児用医薬品の開発計画の策定について

小児を対象とした医薬品（以下「小児用医薬品」という。）については、医療ニーズが高いにもかかわらず、成人と比べて臨床開発が進みにくいところ、より効率的な開発が行われること等により成人から遅れることなく開発されることが望まれてきました。

<https://www.pmda.go.jp/files/000268596.pdf>

海外で開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人第1相試験の必要性について

【背景】

- 国際共同治験に日本が参加するにあたって、日本人での安全性に関する説明が十分でない場合は、日本人での第1相試験の実施が必要
- 日本人第1相試験を実施するには一定の時間と費用を要することから、第3相試験の開始の遅延を回避するために日本での開発を諦めるケースがあるとの指摘あり

【PMDAの考え方】

- 日本人と外国人との間に民族差がある場合、日本で医薬品を安全に使用するうえで、日本人データは重要という認識
- 従前より、国際共同治験に参加する前に日本人での第1相試験を一律には求めておらず、複数の観点などを考慮し総合的に判断
- 開発早期の段階から国際共同治験に日本が参加し、日本人データを収集されることが望ましい

新興バイオ医薬品企業が創製した医薬品の開発の流れ（例）

新興バイオ医薬品企業が実施

候補薬物の発見

非臨床試験

第1相試験（外国人のみ）

第2相試験（外国人のみ）

POCに基づき
ライセンスアウト

第3相試験
（大規模国際共同治験）

承認申請

製造販売

事前実施している
場合が多い

日本人
第1相試験

これにより第3相試験の
開始遅延や、日本の開発
不参加のおそれ

大手製薬企業が実施

海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の 日本人第1相試験実施に関する基本的考え方・Q&A

医薬薬審発1225第2号 2023年12月25日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知
2023年12月25日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡(Q&A)

別添 2

英語版通知も同時発出

海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の
日本人での第1相試験の実施に関する基本的考え方について

**利用可能なデータから日本人参加者の安全性・忍容性が説明でき、
かつ、安全性が臨床的に許容・管理可能であれば、
原則として、日本人での第1相試験を追加実施する必要がないことを明示**

国際共同治験への日
の成否に大きく影響
適用されることを想
するとともに、当該
最小化する観点から
の実施に関する基本
なお、一般的には

**Basic principles for conducting phase 1 studies in Japanese prior to initiating
multi-regional clinical trials including Japan for drugs in which early clinical
development is preceding outside Japan**

<https://www.pmda.go.jp/files/000266148.pdf>

<https://www.pmda.go.jp/files/000266147.pdf>

海外でのみ検証的臨床試験が実施されている場合の 日本人データに係る基本的考え方

- (1) ①～③のいずれにも該当する場合、日本人患者の臨床試験成績なしで承認申請が可能
- ① 海外で既に主たる評価の対象となる臨床試験が適切に実施されている場合
 - ② 極めて患者数が少ないこと等により、追加の臨床試験を新たに実施することが困難な場合
 - ③ 得られている有効性・安全性に係る情報等から、総合的に、日本人におけるベネフィットがリスクを上回ると見込まれる場合

(2)ただし、医薬品の特性、類薬の状況等から、外国人と日本人との間で臨床的に意義のある民族差があることが具体的に示唆され、安全性や用量の適切性について追加の情報が必要と判断される場合には、日本人における臨床試験（臨床薬理試験を含む）が必要と判断される場合がある。

令和6年度薬価制度改革における主な改革事項

イノベーションの評価、ドラッグ・ラグ・ロス解消に向けた対応

- 革新的新薬*の特許期間中の薬価維持(新薬創出等加算の見直し)

* 従来の品目より革新性・有用性が高いと評価されている品目

- 日本に迅速導入された新薬の評価(加算新設)

- 小児用医薬品の開発促進

(成人と同時開発する小児適応の評価、収載時・改定時加算充実等)

- 革新的新薬の有用性評価等の充実(収載時・改定時の加算充実等)

- 市場拡大再算定の見直し(一部領域における類似品の適用除外)

内閣官房について

会見・発表

政策・制度

<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/index.html>

[トップページ](#) > [各種本部・会議等の活動情報](#) > 創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議

ドラッグロスの
きるようにするた

創薬力の向上によ

▶ [開催要領／構成](#)

中間とりまとめ

▶ [中間とりまとめ概](#)

▶ [Interim Report](#)

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ

－世界の人々の健康に貢献するトップレベルの創薬の地を確立する－

総論

(現状認識)

- 我が国は、世界的に数少ない国の1つで、製薬企業を中心として現できたものであり

2. 国民に最新の医薬品を迅速に届けるための施策

創薬力の強化は、最終的には国民に最新の医薬品を迅速に届けることを目標として考えるべきであり、現在生じているドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消は喫緊の課題である。

将来のドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスを防ぎ、治療薬の開発を待ち望む患者・家族の期待に応えるためには、国として創薬環境を整備した上で、新薬が開発されにくい分野や原因を把握しつつ、薬事規制の見直しや運用の改善、国際的な企業への働き

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間といまとめ概要（2024年5月）

1. 我が国の創薬力の強化

創薬は基礎から実用化に至るまでの幅広い研究開発能力とともに、社会制度や規制等の総合力が求められる。創薬エコシステムを構成する人材、関連産業、臨床機能などすべての充実と発展に向け、国際的な視点を踏まえながら、我が国にふさわしい総合的かつ現実的な対策を講じていくことが必要である。

- 多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材
 - 海外の実用化ノウハウを有する人材や資金の積極的な呼び込み・活用
 - 外資系企業・VCも含む官民協議会の設置（政府・企業が政策や日本での活動にコミット）
 - 国内外のアカデミア・スタートアップと製薬企業・VCとのマッチングイベントの開催
- 国際水準の臨床試験実施体制
 - ファースト・イン・ヒューマン（FIH）試験実施体制の整備
 - 臨床研究中核病院の創薬への貢献促進
 - 国際共同治験・臨床試験の推進
 - 治験業務に従事する人材の育成支援・キャリアトラックの整備
 - 海外企業の国内治験実施の支援
 - Single IRBの原則化・DCTの推進・情報公開と国民の理解促進
- 新規モダリティ医薬品の国内製造体制
 - CDMOに対する支援強化とバイオ製造人材の育成・海外からの呼び込み
 - 国際レベルのCDMOとFIH試験実施拠点の融合や海外拠点との連携
- アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成
 - アカデミア・スタートアップの研究開発支援の充実、知財・ビジネス戦略の確立
 - 持続可能な創薬力の維持・向上のための基礎研究振興
 - AIやロボティクス×創薬や分野融合、再生・細胞医療・遺伝子治療等
 - 医療DX、大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備

2. 国民に最新の医薬品を迅速に届ける

治療薬の開発を待ち望む患者・家族の期待に応えるためには、新薬が開発されにくい分野や原因を把握しつつ、薬事規制の見直しや運用の改善、国際的な企業への働きかけも含め、積極的な施策を講じていくことが求められる。

- 薬事規制の見直し
 - 国際共同治験を踏まえた薬事規制の見直しと海外への発信
- 小児・難病希少疾病医薬品の開発促進
 - 採算性の乏しい難病・希少疾病医薬品の開発の促進
- PMDAの相談・審査体制
 - 新規モダリティの実用化推進の観点からの相談・支援
 - 各種英語対応や国際共同審査枠組みへの参加等の国際化推進
 - 国際的に開かれた薬事規制であることの発信

3. 投資とイノベーションの循環が持続する社会システムの構築

患者に最新の医薬品を届けるためには、患者のニーズの多様化や新しい技術の導入などに対応し、広義の医療市場全体を活性化するとともに、医薬品市場が経済・財政と調和を保ち、システム全体が持続可能なものとなることが重要である。中長期的な視点から議論が継続して行われる必要がある。

- 革新的医薬品の価値に応じた評価
- 長期収載品依存からの脱却
- バイオシミラーの使用促進
- スイッチOTC化の推進等によるセルフケア・セルフメディケーションの推進
- 新しい技術について公的保険に加えた民間保険の活用
- ヘルスケア分野のスタートアップへの支援強化

経済財政運営と改革の基本方針2024(骨太2024)抜粋

(2024年6月21日閣議決定)

(創薬力の強化等ヘルスケアの推進)

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるため、構想会議中間取りまとめ¹⁹³を踏まえ、革新的医薬品候補のFIH試験¹⁹⁴を実施できる国際競争力ある臨床試験体制の整備、臨床研究中核病院の承認要件の見直し、治験薬・バイオ医薬品の製造体制の整備や人材の育成や確保など有望なシーズを速やかに実用化する国際水準の研究開発環境の実現に取り組む。医療機関や企業の研究者による医療データの利活用を推進するため、個人識別性のないゲノムデータに関する個人情報保護法上の解釈の明確化等を図る。また、官民協議会による外資系企業・VCの呼び込み等を通じアカデミアから産業界にわたる多様なプレイヤーをつなぎ、アーリーステージを含む各ステージに新たな研究開発資金が投じられるよう、その推進体制の整備も含め創薬エコシステムの再編成を図るとともに、大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備やAMEDの研究開発支援を通じて研究基盤を強化することで創薬力の抜本的強化を図る。イノベーションの進展を踏まえた医療や医薬品を早期に活用できるよう民間保険の活用も含めた保険外併用療養費制度の在り方の検討を進める。ドラッグロス等への対応やプログラム医療機器の実用化促進に向けた薬事上の措置を検討し、2024年末までに結論を得るとともに、承認審査・相談体制の強化等を推進する。あわせて、PMDAの海外拠点を活用した薬事規制調和の推進等に取り組む。

193 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ」(令和6年5月22日)。

194 医薬品開発における最初に人間に投与する試験。

創薬エコシステムサミット(2024年7月30日開催)

厚生労働省、経済産業省、文部科学省、内閣府が共同で開催

わが国の創薬力向上のキープレーヤーとなる国内外の関係者約50名が一堂に会し

創薬エコシステムの強化に資する取組や官民の意見交換の場である「官民協議会」の在り方について意見交換

【出席者】

- ・ 岸田総理大臣（当時）
- ・ 塩崎厚生労働大臣政務官（当時）などの政府関係者
- ・ **PMDA藤原康弘**
- ・ 国内外の製薬企業
- ・ Venture Capital
- ・ スタートアップ企業
- ・ アカデミア

等



関連動画

令和6年7月30日、岸田総理は、総理大臣官邸で創薬エコシステムサミットに出席しました。

会議では、創薬エコシステムに資する取組及び官民協議会の在り方を含む今後の政策について議論が行われました。

https://www.kantei.go.jp/jp/101_kishida/actions/202407/30souyaku.html

ドラッグロス対策として

短期的には、

臨床試験・治験に関するリテラシー（“臨床研究の意義”への理解度）向上、
医療機関及び医療者の

国際水準の臨床試験・治験実施能力の獲得に向けて
卒前・卒後教育の抜本的変革と業績評価改革、体制整備が必要

長期的には、わが国の創薬を巡る基礎研究力の強化が必要

Site selection（海外Emerging biopharma(EBP)から試験実施施設として選ばれる）に堪える医療機関体制整備

産官学での人財の流動性の増加： 海外EBPの支援者となる国内CRO(医薬品開発業務受託機関)において、
グローバルR&Dで通用する専門性の高い医師(CMO; Chief Medical Officer)が不足
CMO Summit 360° @Boston 来年は、Apr 7－8, 2025

目指すべきは、創薬シーズ数の増加ではなく、臨床試験・治験が開始された創薬シーズ数の増加である

創薬ベンチャーエコシステム強化事業で目指すべきこととして、M&Aや製薬企業への導出件数の増加である

今日お話ししたいこと

1. 医薬品等の開発環境の変化
2. 創薬力向上に向けた行政(厚労省、内閣府)の対応
- 3. 革新的医薬品の開発強化に向けたPMDAの取り組み**
4. AI技術を用いた医療機器と薬事規制について

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

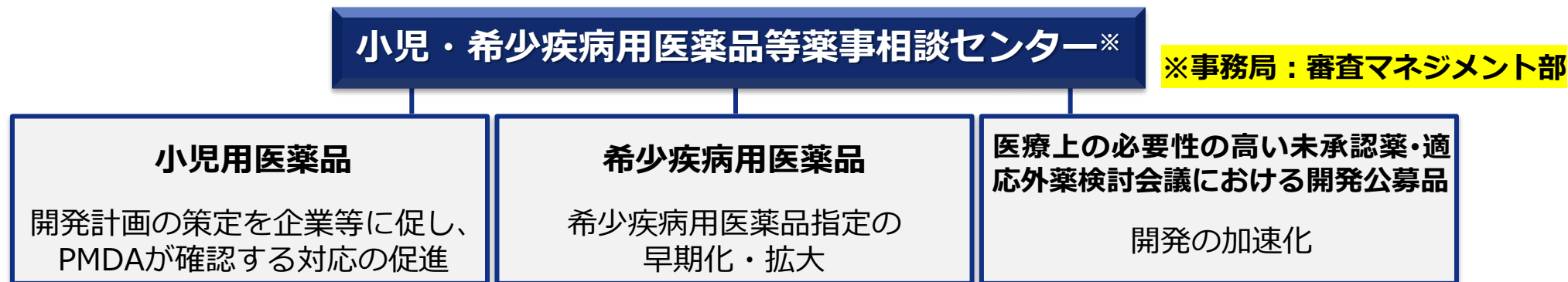
- ◆ **希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応**
⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先も可）
- ◆ **小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応**
⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ **小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付）**
⇒ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業を開始予定
（相談枠の新設（実施要綱公表済み）／相談手数料の補助）
- ◆ **先駆的医薬品指定制度：総審査期間 6 か月を目指す**
- ◆ **先駆け総合評価相談：申込み全件対応**
- ◆ **治験エコシステムの早期導入を推進**
⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（選定された事業実施機関において課題を検討中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ **海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施**
- ◆ **PMDAの米国事務所（2024年11月1日設置）を窓口に、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施**
- ◆ **国際共同治験参加に関する治験相談における的確な助言**
⇒ 国際共同治験参加前に日本人第Ⅰ相試験が必要ない場合の考え方や、希少疾病等で海外でのみ検証的臨床試験が実施された場合の日本人データの取扱いに係る考え方を通知で明示

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置（2024年7月1日付）

- 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。



【相談体制の整備】

＜ 手数料助成：<https://www.pmda.go.jp/files/000268594.pdf> ＞

小児用医薬品開発計画確認相談*¹（1相談当たり 1,541,600円）

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談*²（1相談当たり 1,300,600円、1相談当たり 266,400円（医薬品申請前相談あり））

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談*²（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品）（1相談当たり 7,134,300円）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

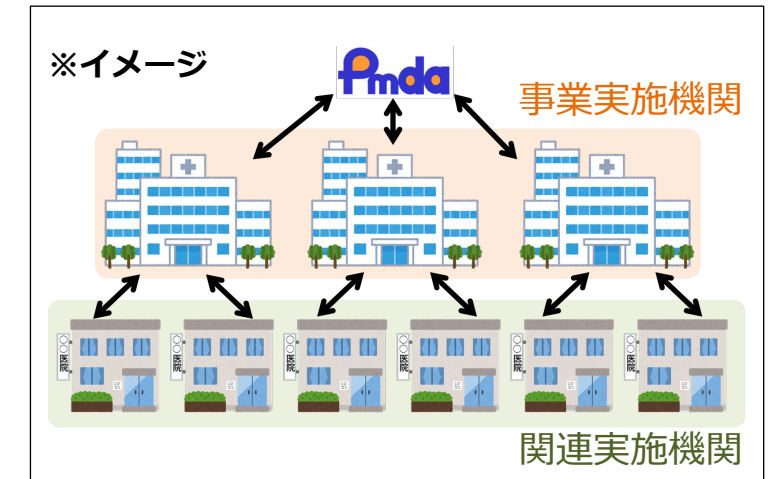
* 1：手数料助成：R6年度の予算額に達するまで全額免除、* 2：手数料助成：R6年度の予算額に達するまで5割免除

<背景>

- ◆ 国内治験を効率的に実施し、国民にいち早く治療薬を届けるため、製薬企業、医療機関、規制当局、被験者等あらゆるステークホルダーが協力して効率的に治験を行うための仕組み **（治験エコシステム）の早期導入が期待されている。**
- ◆ 本事業では、国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消を進める観点から、PMDA信頼性保証部と事業実施機関が連携し、医療機関における負担の実態調査及び治験エコシステムの導入を行う。

<事業概要>

- ◆ PMDAが治験環境の改善に積極的に取り組む事業実施機関（3施設程度）を公募・選定
- ◆ 機構は事業実施機関と協力して、医療機関の治験実施体制の現状を把握し、本邦の治験にかかる経費や手続きの負担削減のために優先して改善すべき課題を特定
- ◆ 事業実施機関は複数の治験実施医療機関（20施設程度を想定）を対象に課題に関する実態調査及び意見交換会を行い、内容をPMDAにフィードバック



<選定した事業実施機関>

大阪大学医学部附属病院、国立がん研究センター、北海道大学病院

<スケジュール>

令和6年9月～：事業実施期間での事業開始

令和7年3月：成果物の発表

アジア各国・米国との連携強化：海外拠点の整備

第5期中期計画の実施方向性：

- ・「国際的な貢献・提案能力の強化」を進めるにあたり、PMDA海外拠点を整備

[必要性]

(1) アジア各国：

- － 日本及びアジア各国における革新的医薬品・医療機器へのアクセス確保に向け、
特にASEAN諸国との連携強化を進めることが必要
(ASEAN諸国：急速に発展・地域統合に向けた取り組みが進展)
- － アジア各国と薬事規制調和の推進、円滑に臨床開発がアジア各国で進められるよう
規制環境の整備支援が必要。

(2) 米国：

- － 革新的な医薬品・医療機器の開発支援・承認審査・市販後対策において、
日米規制当局の緊密な協力・連携が必要。
- － 国際協力の重要性が一層増している中(例：COVID-19等対応)で、
日米が時差がなく、フレキシブルに広範な議論を進める体制が必要(対面会合の有用性)

[対 応]

アジア事務所・ワシントンD.C.事務所を整備し、相手当局等と、現地で直接協働する

United States-Japan Joint Leaders' Statement

Global Partners for the Future

<抜粋>

We are also working to align global health security and innovation, including in such areas as pandemic prevention, preparedness, and response and promoting more resilient, equitable, and sustainable health systems. Today, we announce that the U.S. Food and Drug Administration and the Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) intend to collaborate and exchange information on oncology drug products to help cancer patients receive earlier access to medications and to discuss future drug development and ways to prevent drug shortages. We welcome PMDA's future representative office in Washington, D.C., to facilitate this cooperation.

FACT SHEET: Japan Official Visit with State Dinner to the United States

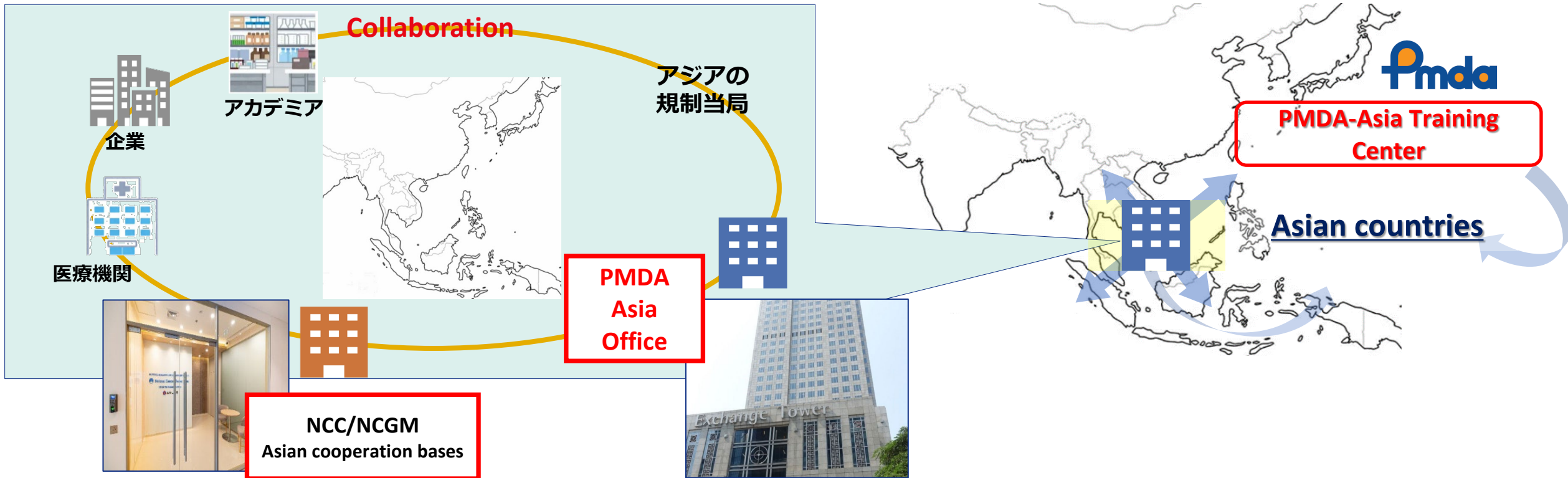
<抜粋>

Biotechnology, Biopharmaceutical, and Health-Related Cooperation

Tackling Cancer Together: In alignment with the Biden Cancer Moonshot to end cancer as we know it, the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) intend to collaborate and exchange information on oncology drug products. Specifically, under initiatives Project Nozomi and Project Orbis, FDA and PMDA intend to work to enable earlier access to cancer medication for patients and hold discussions on future drug development, including multiregional clinical trials and ways to prevent drug shortages.

Advancing Pharmaceutical Innovation: The United States and Japan welcome the Japan's Pharmaceutical and Medical Devices Agency (PMDA)'s intent to establish an office in the Washington, D.C. metro area. This office provides opportunities to enhance PMDA's cooperation with the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and facilitate information sharing with private industry.

アジア事務所（タイ・バンコク 開所:2024年7月）



○ アジア各国の薬事当局との規制基盤の構築

- ・ 現地ニーズの収集
- ・ アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター研修の現地実施
- ・ 二国間規制調和活動の現地実施

○ アジア地域進出企業・団体及び現地企業・団体との薬事規制に関する情報交換・各種相談等

○ その他関連業務(関係組織等との連携)

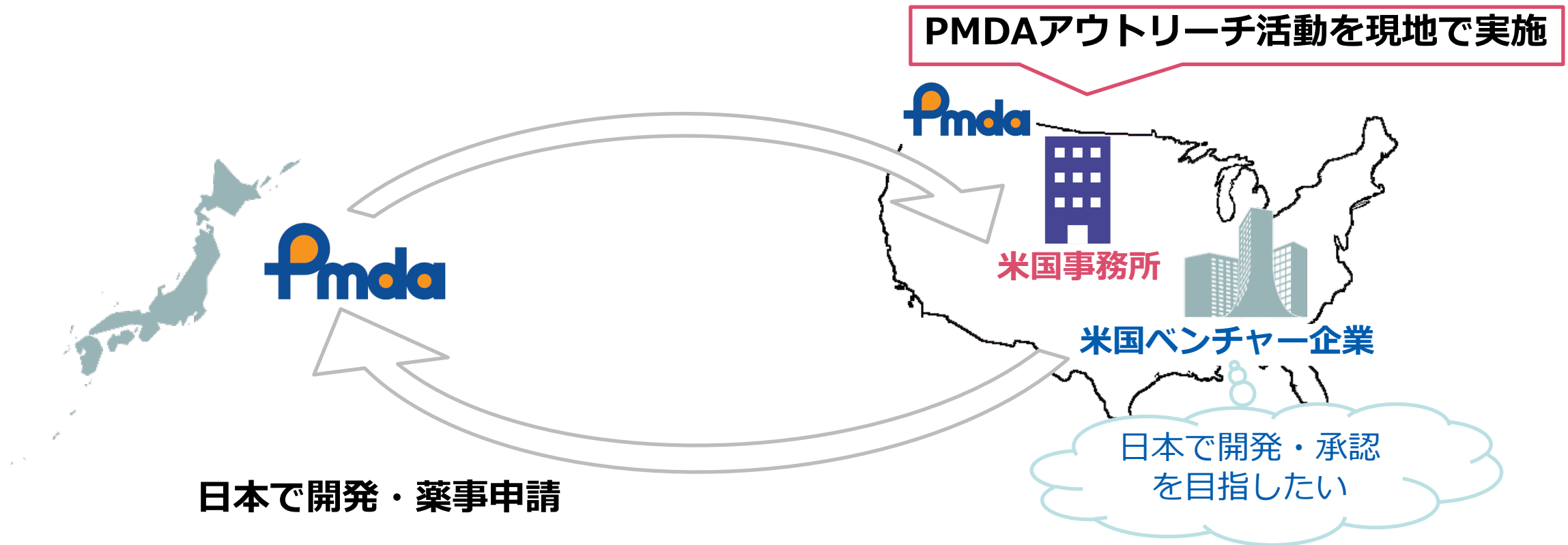
ワシントンD.C.事務所（米国・ワシントンD.C. 開所：2024年11月）

○ 在米の個別ベンチャー企業への

- 情報発信
- 初期の開発相談事業対応

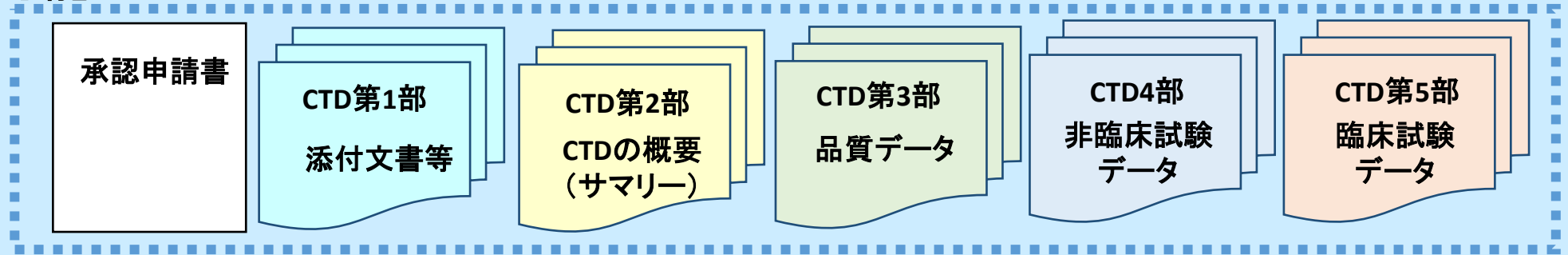
○ FDAを含む米国行政機関と現地で

- 薬事規制協力の強化
- 規制関連の情報交換



新医薬品の承認申請における英語での資料提出

- **承認申請時**において、承認申請書、添付文書を含むCTDの内容すべてに 関して英語表記可能



- あらかじめPMDAへの相談が必要

対象企業

日本法人や日本事務所を有しない外国企業

対象品目

新有効成分含有医薬品、新医療用配合剤、新投与経路医薬品

日本の薬事制度等に関する海外での情報発信強化

第5期中期計画において、実用化推進に対する積極的貢献、
国際的な提案能力の強化、業務の質の向上と一層の効率化を規定
⇒ドラッグロス解消のため、海外の革新的製品を開発するベンチャー企業等に対し、
日本での開発も検討できるよう、日本の薬事制度等に関する情報を直接発信

キーメッセージ

- ① 世界最速レベルの速さと、高い質の審査
- ② 国際共同開発の促進への取組
(国際共同治験参加の際に日本人第 I 相試験原則不要を明確化したこと等)
- ③ 日本で開発を行う際の支援
(開発早期から承認後まで科学的な相談を実施、海外でのみ検証的臨床試験が実施されている場合に日本人データが不要な場合を明確化、新医薬品の承認申請における英語での資料等)





2024年度取り組み(理事長自ら発信)

American Society of Clinical Oncology (ASCO、米国臨床腫瘍学会) にて、パネルディスカッション登壇	シカゴ (米国)
BIO International Conventionにて、パネルディスカッション登壇	サンディエゴ (米国)
Welcome Trust Regulatory Science of Antimicrobial Agents Workshopにて、パネルディスカッション登壇	シンガポール
DIA 2024 Global Annual Meetingにて、パネルディスカッション登壇 (PMDA Town Hallも実施)	サンディエゴ (米国)
ENDPOINTSNEWS & NIKKEI Biotechnology Businessコラボレーション企画 対談	海外に向け動画配信

英語での情報発信

<https://www.pmda.go.jp/english/review-services/regulatory-info/0005.html>

 Safety Alert & Recalls/ Review Reports/ Package Inserts etc.

 Formats DL

Menu of each service

Menu for each of you

Menu of each product type

Reviews and Related Services

Post-marketing Safety Measures

Relief Services for Adverse Health Effects

Regulatory Science/The Science Board/Standard Development

International Activities

[Home](#) > [Reviews and Related Services](#) > Regulatory Information

Reviews and Related Services

Regulatory Information

PMDA's Support to Venture Companies



<https://www.pmda.go.jp/files/000266927.pdf>

Principles for the Evaluation of Vaccines Against the Novel Coronavirus SARS-CoV-2 (Appendix 5)
Quality data required for the approval review of changing a strain in the vaccine for which the manufacturing process is well established
(Early consideration)

Early Consideration

1. Background

On May 5, 2023, the World Health Organization (WHO) declared the end of the Public Health Emergency of International Concern (PHEIC) caused by the outbreak of the novel coronavirus (SARS-CoV-2) infectious disease (COVID-19). In Japan, on May 8, 2023, the classification of COVID-19 under the Infectious Disease Control Law was changed from "Quarantineable Infectious Disease" to "Infectious Disease".

¹⁾ In addition, the special exemption for temporary vaccination campaign for COVID-19 is no longer applicable. ²⁾ Furthermore, the special exemption for temporary vaccination campaign for COVID-19 is no longer applicable.

<https://www.pmda.go.jp/files/000271060.pdf>

Examples of the world-first approval granted in Japan

These were designated as SAKIGAKE and/or Orphan Drugs.

The screenshot shows a page titled "Regulatory Issues: PMDA - Review of Sakigake Designation Products: Oncolytic Virus Therapy with Delytact Injection (Teseptarex) for Malignant Glioma". It lists the product name, manufacturer, and the date of approval. The page also includes a section for "Regulatory Issues: PMDA - Review of Sakigake Designation Products: Oncolytic Virus Therapy with Delytact Injection (Teseptarex) for Malignant Glioma".

First approval in Japan!

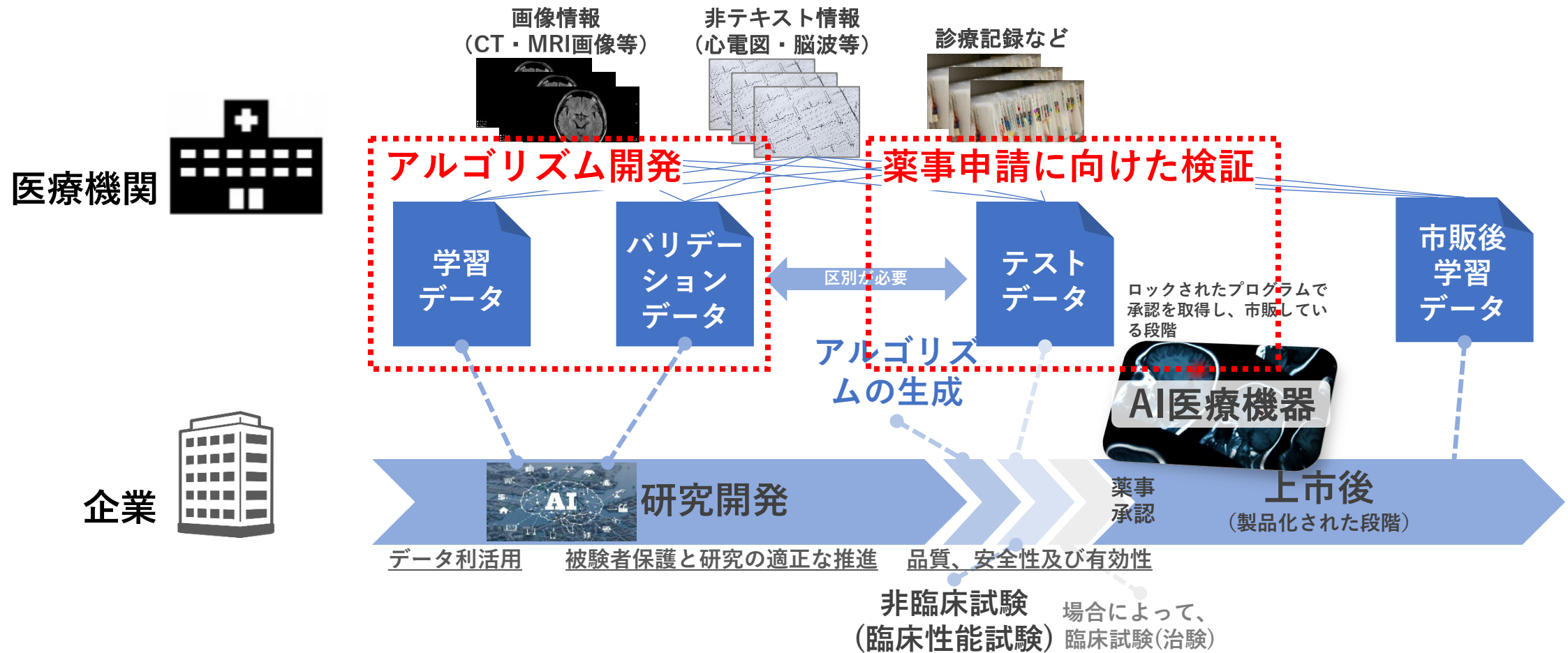
PMDA would like to increase the number of such innovative products!

今日お話ししたいこと

1. 医薬品等の開発環境の変化
2. 創薬力向上に向けた行政(厚労省、内閣府)の対応
3. 革新的医薬品の開発強化に向けたPMDAの取り組み
4. **AI技術を用いた医療機器と薬事規制について**

AI医療機器の開発と薬事承認：データの想定利活用シーン

企業、研究機関、医療機関など（以下、企業等）が画像情報（CT・MRI画像等）やその他の非テキスト情報（心電図・脳波等）、診療記録など医療情報を利活用してAIを活用した医療機器（以下、AI医療機器）を開発するには、一般に膨大な量のデータが必要



※本資料は「保健医療分野におけるデジタルデータのAI研究開発等への利活用に係る倫理的・法的・社会的課題の抽出及び対応策の提言のための研究」令和4年度総括・分担研究報告書 (https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/report_pdf/202204002A-sokatsu_0.pdf) を一部改変。

AI技術を用いた医療機器の審査の考え方と留意点

AI技術、例えば機械学習を利用した医療機器

(Machine Learning-enabled Medical Device, **MLMD**)

の審査の考え方は、通常の医療機器の審査の考え方と基本的には同じ。

MLMDの審査で留意する点は何か？

- ・ 可塑性 (Plasticity)
- ・ ブラックボックスとしての性質 (Unpredictability)

可塑性 (Plasticity)

(市販後) 学習により
性能等が変化する性質

ブラックボックスとしての性質 (Unpredictability)

MLMDのバイアス

・・・どのようなバイアスをもつか (もたないか)
理解しがたい

MLMDのピットフォール

・・・医師 (人) がみて同じ画像でもMLMDにとっては違うかもしれない

可塑性と薬事規制

可塑性：（市販後）学習により性能等が変化する性質

- ・ Locked type：機能が変更しないよう固定
- ・ Adaptive type：新たなデータに基づき、繰り返しその機能等を変更

薬事規制は可塑性和相性が悪い

**製品固定が前提。
製品変化は承認・認証が必要**

薬事規制：

製造販売承認

- ・ 医療機器の製造販売をしようとする者は、品目ごとに厚生労働大臣の承認を受けなければならない。（薬機法第23条の2の5 第1項）
- ・ **承認事項の一部を変更しようとするとき**（軽微変更を除く。）は、その変更について厚生労働大臣の**承認**を受けなければならない。（薬機法第23条の2の5 第11項）

製造販売認証

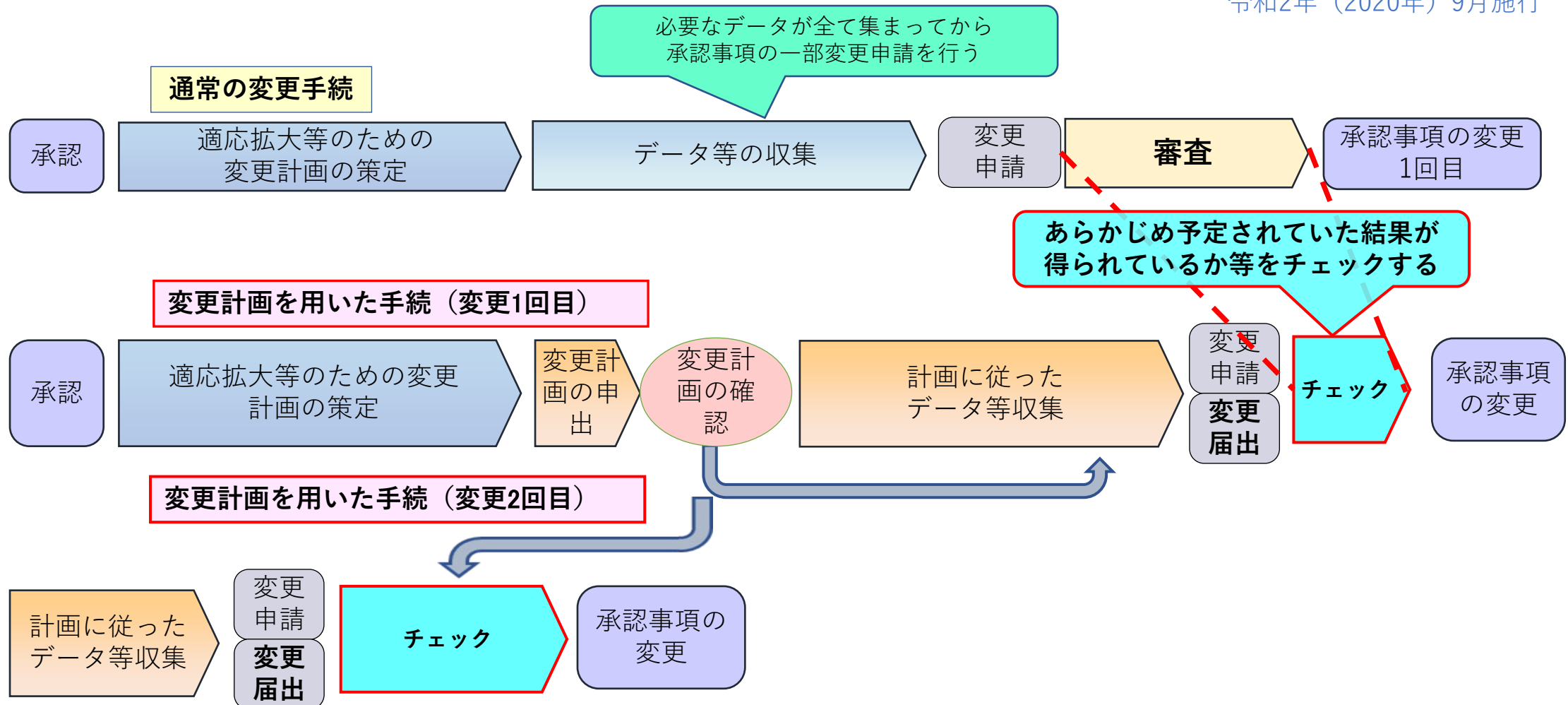
- ・ 指定高度管理医療機器、指定管理医療機器等の製造販売をしようとする者は、品目ごとに登録認証機関の認証を受けなければならない。（薬機法第23条の2の23 第1項）
- ・ **認証事項の一部を変更しようとするとき**（軽微変更を除く。）は、その変更について当該登録認証機関の**認証**を受けなければならない。（薬機法第23条の2の23 第6項）

可塑性に一部対応するIDATEN制度

IDATEN : Improvement Design within Approval for Timely Evaluation and Notice (PACMP for Medical device)

変更計画確認手続き制度

令和元年(2019年)12月公布
令和2年(2020年)9月施行



ブラックボックスとしての性質を踏まえた評価の留意点

実臨床の対象集団に対して一般化できる結果か？

① 評価データセットのバイアス

選択バイアス、GSバイアス、スペクトラムバイアス等

MLMDとしての論点ではない

② MLMDと評価データセットの関係

②の例

例) 施設Aで集めたデータで学習し、施設Aで集めた別のデータで評価した。

施設Aの患者、撮影機種、撮影方法、診断法等の特徴が影響していないか？

例) データセットXで評価したところ、結果は芳しくなかった。
そこで追加学習し性能を向上させ、再度データセットXで評価したところ、十分な性能が確認できた。

データセットXに最適化されただけではないか？

実臨床を想定した網羅的なバリエーションで、データ収集し、評価することが理想

MLMDの評価に関する文書

	科学委員会① (PMDA)	次世代医療機器評価指標 (MHLW)	科学委員会② (PMDA)
文書名	AIを活用した医療診断システム・ 医療機器等に関する 課題と提言2017	人工知能分野審査WG報告書	AIを活用したプログラム医療機器 に関する報告書
発行日	平成29年（2017年）12月27日	平成31年（2019年）3月	令和5年（2023年）8月28日
内容	<ul style="list-style-type: none"> ・ AI を活用した医療用システムの出現と課題 ・ AI 技術の現状 ・ AI 医療システムのレギュラトリーサイエンス ・ AI 医療システムの倫理・責任 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 人工知能技術を利用したプログラム医療機器該当性判断要素について（案） ・ 人工知能技術を利用した医用画像診断支援システムに関する評価指標（改訂案） ・ 人工知能技術を利用した医療機器プログラムの承認状況 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 国内外の関連動向の分析 ・ 機械学習におけるバイアス ・ 市販後学習における評価データの再利用に関する問題と問題解決に向けた研究の現状 ・ 医用画像を用いた深層学習AI開発におけるバイアス ・ 物理モデル・シミュレーションによる学習データ構築の現状と課題 ・ 現在までに構築されたデータベースの概要と留意すべき課題 ・ 深層学習等の機械学習を用いたSaMDの開発のためのデータ（学習データ、検証データ、テストデータ）に関する考察

革新的プログラム医療機器指定制度の検討

「プログラム医療機器に係る優先的な審査等の試行的実施（第二回）について」（2023年6月30日通知）

（1）指定要件1：治療法、診断法又は予防法の画期性

原則として、プログラム医療機器としての原理が既存の医療機器、又は標準的な治療法、診断法若しくは予防法と比べて明らかに異なるものであり、その治療法、診断法又は予防法が画期的であること。

（2）指定要件2：対象疾患に係る医療上の有用性

以下のいずれかに該当するものであること

ア 根治療法となり得る既存の治療法がない、又は既存の予防法若しくは診断法がない疾患において、臨床上の必要性が高く、臨床試験等（公的な競争的資金により実施された臨床研究を含む。以下同じ。）において有効性若しくは安全性が見込まれること。

イ 臨床試験等において、既存の治療法、予防法若しくは診断法に比べて高い有効性及び安全性が見込まれること

ウ 臨床試験等において、既存の治療法、予防法若しくは診断法に比べて同等以上の有効性及び安全性が見込まれていることに加え、患者の肉体的・精神的な負担等の観点から、既存の治療法、予防法又は診断法と比べて医療上特に有用であると見込まれること。

（3）指定要件3：世界に先駆けて日本で早期開発及び承認申請する意思並びに体制

日本における早期開発を重視し、世界に先駆けて又は同時に日本で承認申請される予定のものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構で実施されている先駆け総合評価相談を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応できる体制を有していること。

指定されたプログラム医療機器の優先的な取扱い

優先相談、事前評価の充実（先駆け総合評価相談 → 承認申請から承認まで6か月）、優先審査、コンシエルジュ対応

医師法とAIの関係

医政医発 1219 第 1 号
平成 30 年 12 月 19 日

各都道府県衛生主管部(局)長 殿

厚生労働省医政局医事課長
(公 印 省 略)

人工知能 (AI) を用いた診断、治療等の支援を行うプログラムの利用と
医師法第 17 条の規定との関係について

近年、機械学習の技術の進歩等により、診療を行うに当たって人工知能 (AI) を用いた診断・治療支援を行うプログラムが用いられる機会が増加しており、今後、その果たす役割はますます大きくなるものと予想されている。

このような中、平成 29 年度厚生労働行政推進調査事業費補助金により、「AI 等の ICT を用いた診療支援に関する研究」(研究代表者：横山和明東京大学医科学研究所附属病院血液腫瘍内科助教)が行われ、本研究の報告書が取りまとめられたところである(概要は別添参照)。

人工知能 (AI) を用いた診断・治療支援を行う
プログラムを利用して診療を行う場合についても、
**診断、治療等を行う主体は医師であり、
医師はその最終的な判断の責任を負うこととなり、
当該診療は医師法(昭和 23 年法律第 201 号)第 17 条の医業
として行われるものであるので、十分ご留意をいただき
きたい。**

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須

- #1 長年、様々な公的研究費を投入し続けてきたシーズ開発だけでは我が国の創薬力維持・回復は不可能
- #2 世界に通用する臨床試験成績を早く取得でき、有望なシーズが国際的な目線で選別される開発環境を醸成する施策が重要
- #3 そのため、国際レベルの“臨床試験”の実施を振興
- #4 具体的には、以下に投資すべき

- ・病院における臨床試験実施 (Phase 1 施設の場合にはトランスレーショナルリサーチ実施能力も合わせ持つことが必須) を米国水準で行える体制整備

(臨床試験センター: phase 1であれば、NIH Clinical Center がモデル)

- ・人材育成

(医師のみならず、生物統計家、リサーチナース、CRC*、データマネージャー、モニター、監査担当者に加え、英語で契約書等をやりとり出来る事務職員などの多職種人材)

* CRC: Clinical Research Coordinator、臨床研究コーディネーター
治験コーディネーターとも呼称

- ・医薬品の製造と品質管理

- #5 医療機関における各種契約・審査書類について英文を許容する

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須。 続き

#6 日本の治験のコストは本当に高いのか？

⇒私が実施した国際共同医師主導治験の経験からは、**NO**

ただし、日本の医療機関のCRO*¹、SMO*²への過度の依存と、医師の臨床試験実施に関する知識や機関の自立性の乏しさは、治験のコスト増加の要因にはなっている。医療機関との契約においてFMV(fair market value)にもとづく、ベンチマーク型コスト算定(BMC)の導入は検討*³

*1 CRO: Contract Research Organization *2 SMO: Site Management Organization *3 R4年度厚生労働行政推進調査事業費補助金(厚生労働科学特別研究)「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」

#7 日本の薬事規制は欧米に比べて保守的であるがために、

日本発のイノベーションの発展が阻害されているのか？ **NO**

【原因】日本のアカデミアには、臨床試験実施経験や薬事に関する知識が不足している方がいる。
それゆえに、規制を悪いと言ってしまう。

→ 医学・看護学等の卒前・卒後教育の改革が必要

→ 生物統計家、データサイエンティストの教育体制の充実と飛躍的増員

#8 治験について、Single IRB(1か国1か所の治験審査委員会)での審査を原則にする(臨床研究法同様に)

#9 臨床研究法、薬機法及び再生医療の臨床試験まわりは統合運用

ご清聴ありがとうございました

Please visit the PMDA website

<https://www.pmda.go.jp/>

