

医学系研究開発の現状と課題

令和4年6月15日（水）

厚生労働省 医政局
研究開発振興課長

笠松 淳也

本日お話しする内容

1. 日本の医薬産業の現状

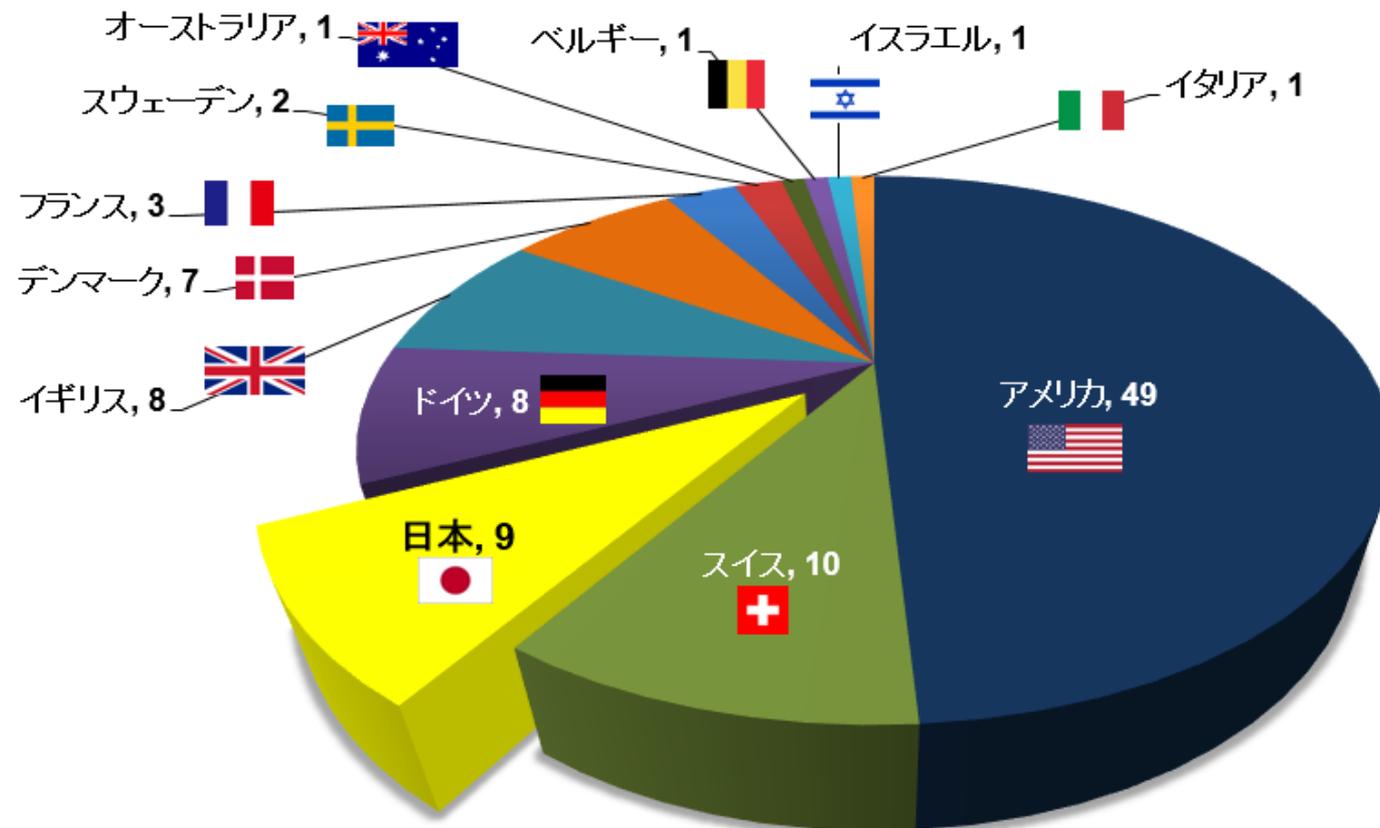
2. 医薬品産業ビジョン 及び ワクチン開発・生産体制強化戦略

3. 研究開発支援 ～ 健康医療戦略と Clinical Innovation Network～

4. 治験環境整備 ～ 臨床研究中核病院とアジア臨床研究・治験NW ～

5. 臨床研究法 と 再生医療等安全性確保法 の見直し

医療用医薬品世界売上上位100品目の国別起源比較 (2019年)



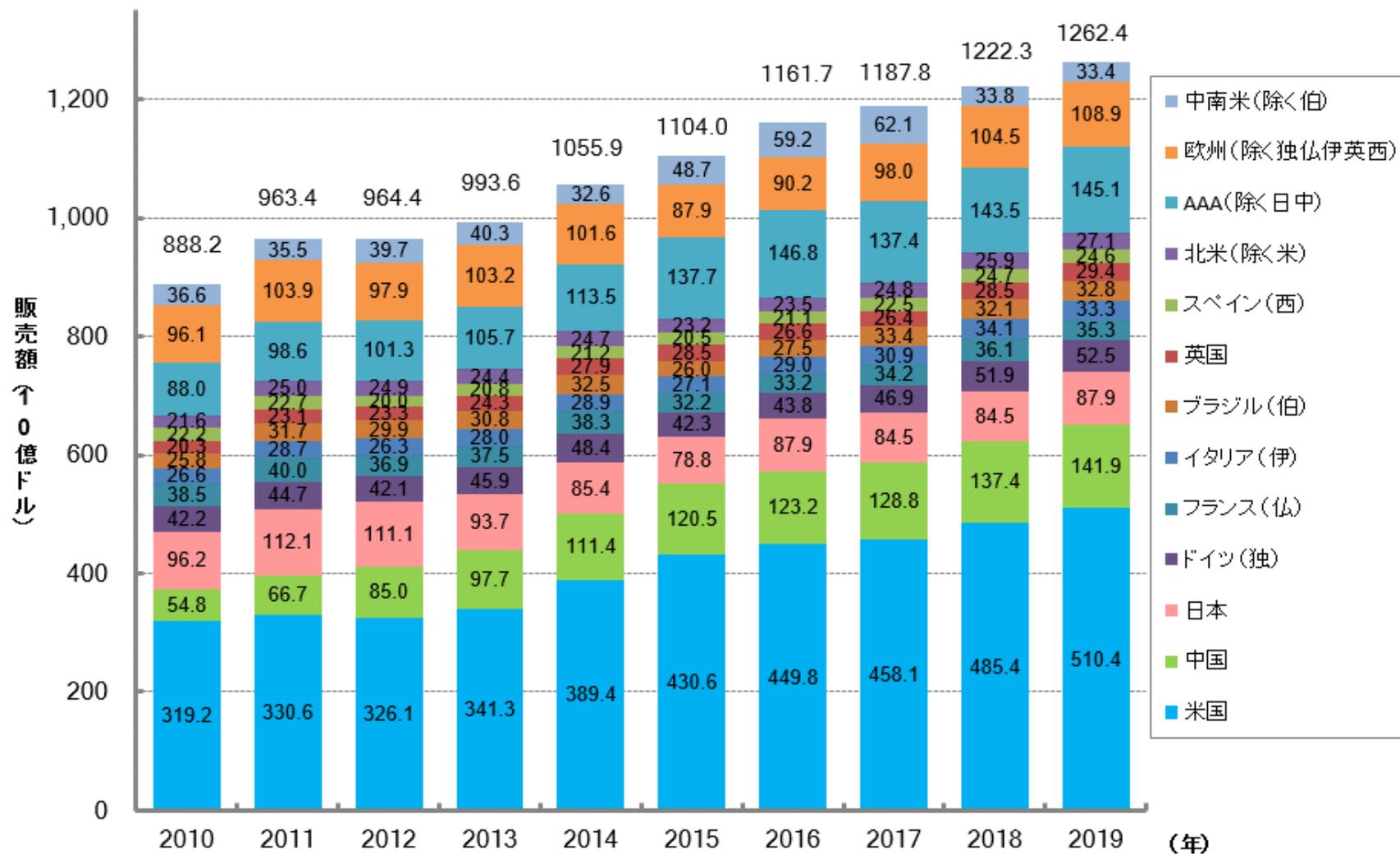
注: 特許帰属企業の国籍による分類

2019年売上高上位100品目を、オリジン企業国籍別に集計した。

出所: Copyright©2021 IQVIA. IQVIA World Review Analyst 2019, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, [EvaluatePharma](#), [Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligence](#)をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)

出典: 医薬産業政策研究所 政策研ニュースNo.61 (2020年11月)

世界の医療用医薬品の販売額推移(地域・国別)



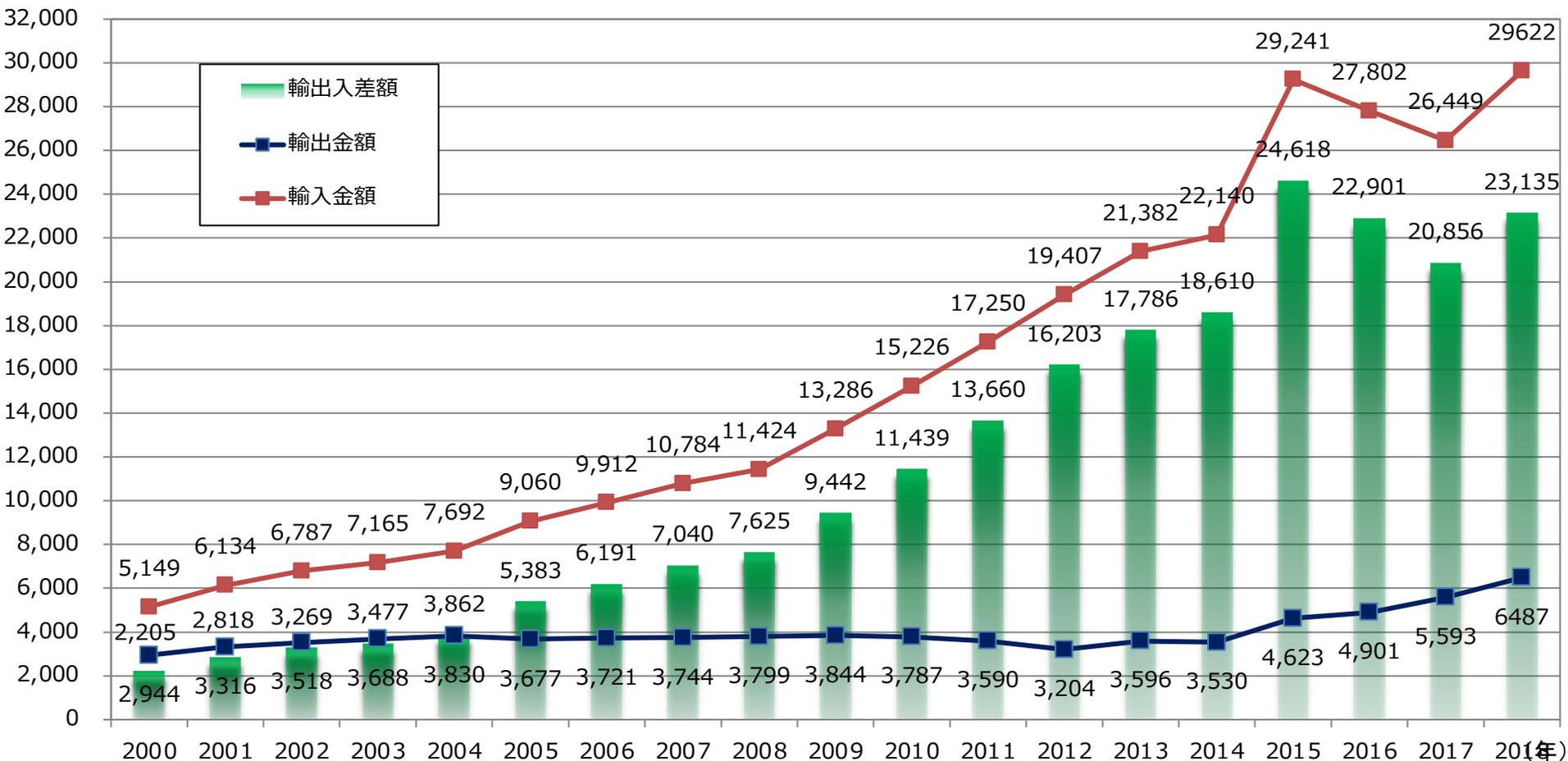
注:AAAは、アジア・アフリカ・オーストラレーシアの略

出所: Copyright© 2021 IQVIA. IQVIA World Review Analyst 2010-2019をもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)

医薬品の貿易収支の推移

○ 2018年の医薬品における輸出入差額（=貿易収支）は、約2兆3135億円の赤字

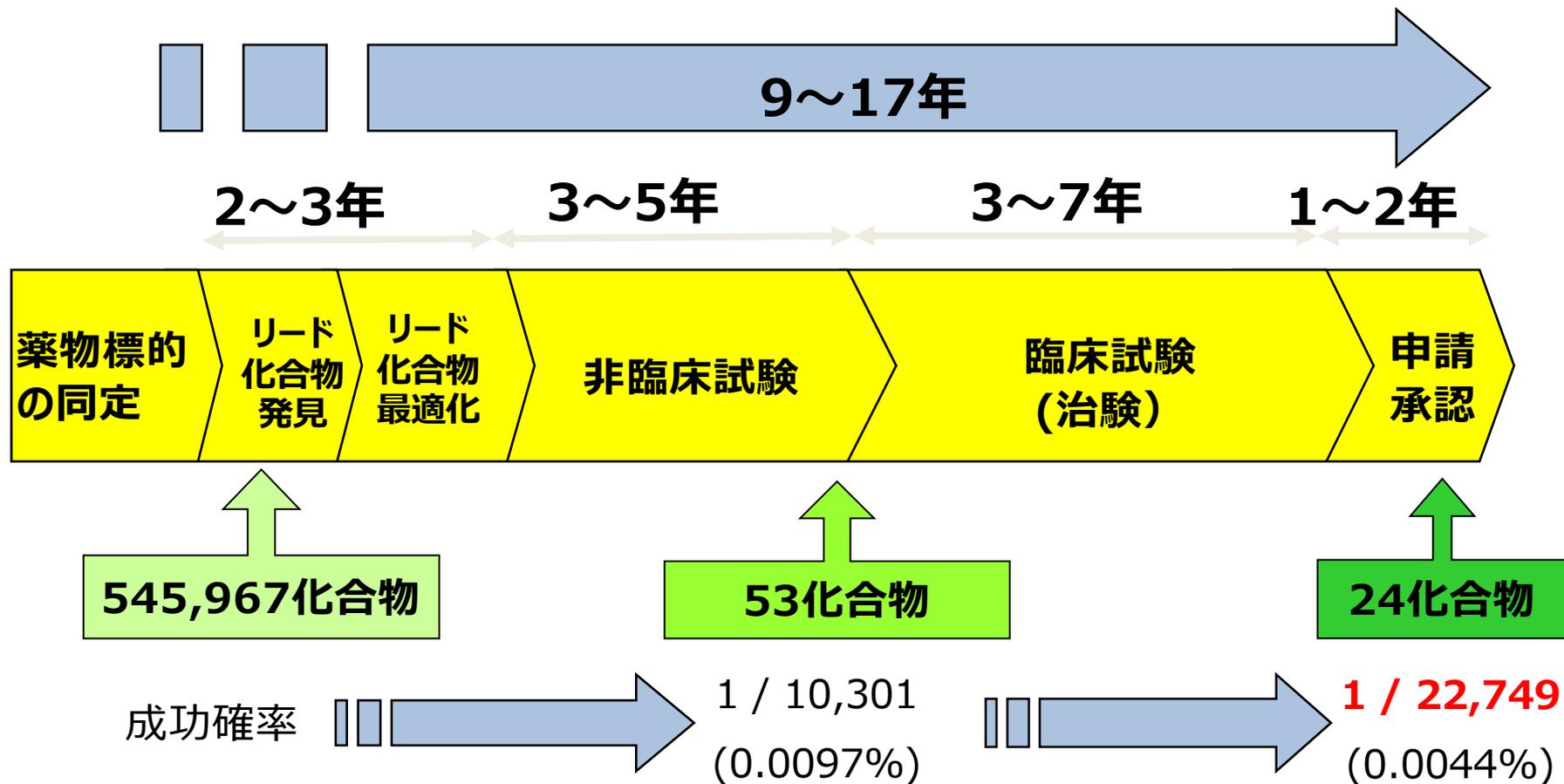
(億円)



出典:財務省「貿易統計」

医薬品開発に要する期間と成功確率

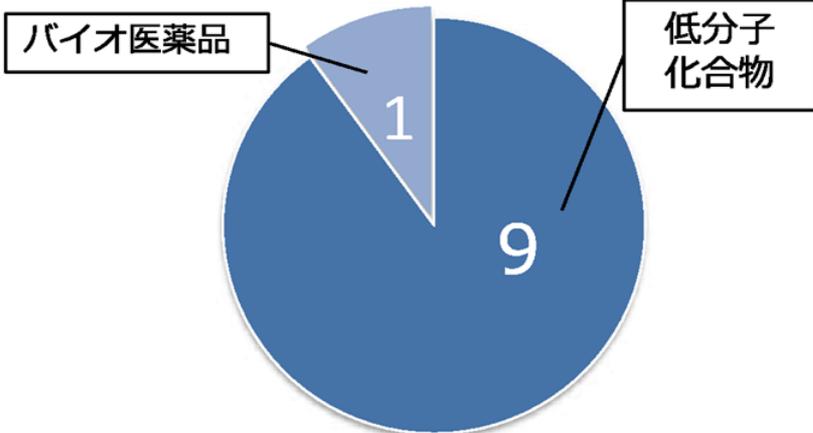
- 医薬品の開発には10年以上の時間と数百億～数千億円規模の費用が必要
- **成功確率は年々低下（20年前:1/1.3万→現在:1/2.3万）し、難易度が上昇**



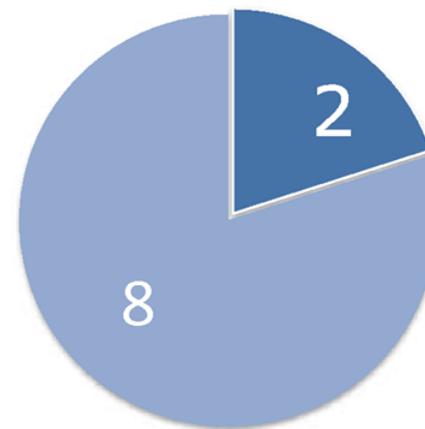
創薬動向の変化（世界売上上位10品目の推移）

令和元年11月19日 革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品創出のための官民対話 参考資料 抜粋

2001年



2016年



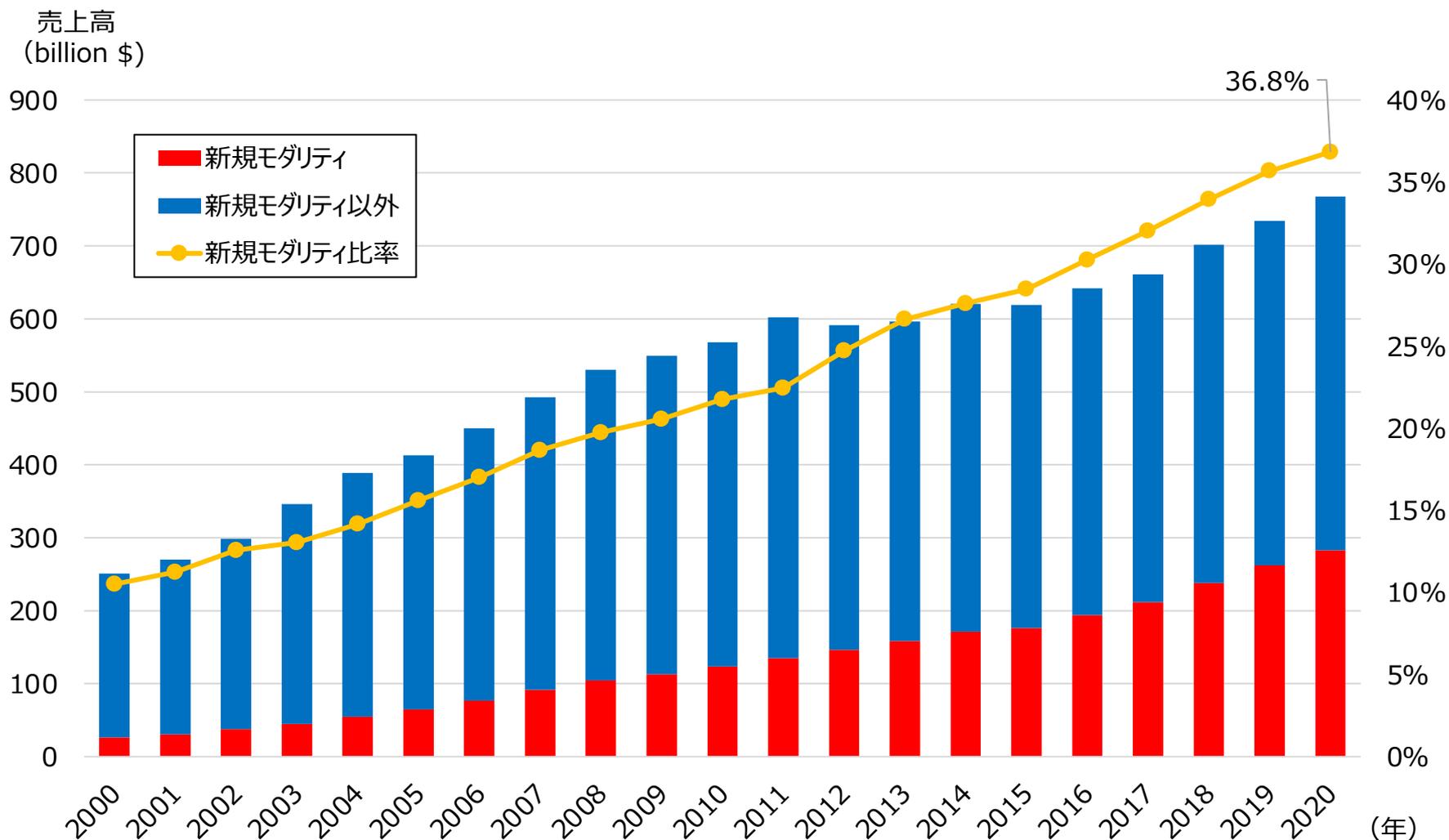
	製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)
1	ゾコール(リポバス)	高脂血症薬	メルク	6,670
2	リピトール	高脂血症薬	ファイザー	6,449
3	オメプラール/ プリロゼック	抗潰瘍剤PPI	アストラゼネカ	5,684
4	ノルバルク	降圧剤Ca拮抗剤	ファイザー	3,582
5	メバロチン/ プラバコール	高脂血症薬	三共/BMS	3,509
6	プロクリット/ エプレックス	腎性貧血	J&J	3,430
7	タケブロン	抗潰瘍剤PPI	武田薬品/ TAP	3,212
8	クラリチン/D	抗ヒスタミン剤	シェリング・ブラウ	3,159
9	セレブレックス	Cox2阻害剤	ファルマシア	3,114
10	ジプレキサ	精神分裂病薬	イーライ・リリー	3,087

	製品名	主な薬効等	メーカー名	売上高 (百万ドル)	
	1	ヒュミラ	関節リウマチ	アッヴィ/イーザイ	16,515
★	2	エンブレル	関節リウマチ	アムジェン/ ファイザー/武田	9,248
★	3	ハーボニー	慢性C型肝炎	ギリアド・サイエンシズ	9,081
★	4	レミケード	関節リウマチ	J&J/メルク/ 田辺三菱	8,070
★	5	リツキサン	非ホジキンリンパ腫	ロシュ	7,432
	6	レブラミド	多発性骨髄腫	セルジーン	6,974
★	7	アバステン	結腸・直腸がん	ロシュ/ 中外製薬	6,885
★	8	ハーセプチン	乳がん	ロシュ/ 中外製薬	6,884
	9	ランタス	糖尿病	サノフィ	6,322
	10	プレベナー	肺炎球菌	ファイザー	6,034

※ 黄色はバイオ医薬品、★はベンチャーオリジンの医薬品

出典: セジデム・ストラテジックデータ(株)ユート・ブレイン事業部刊「Pharma Future2002No.136」、Evaluate Ltd「Evaluate Pharma」をもとに厚生労働省作成

新規モダリティ世界医薬品売上高推移

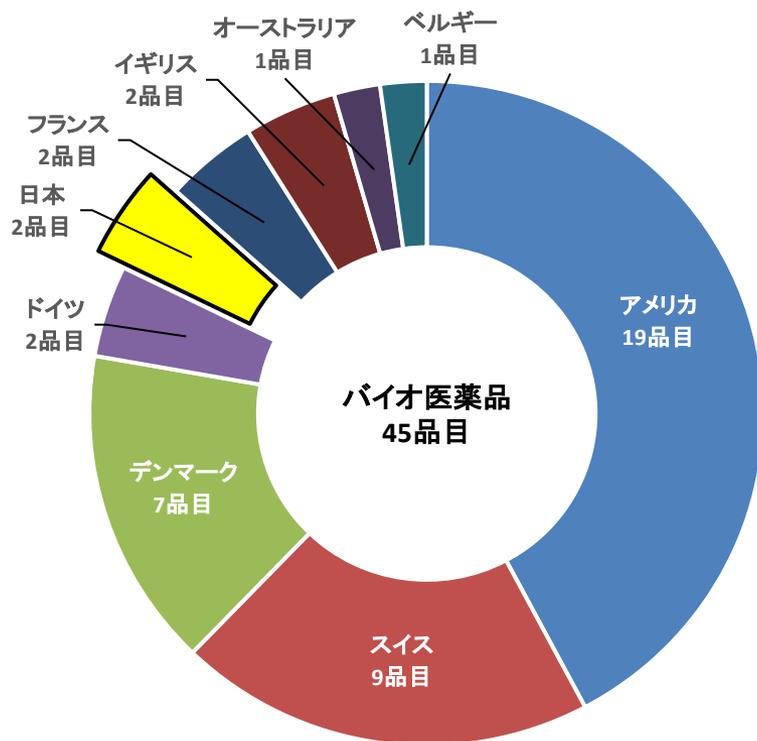


注) **新規モダリティとはEvaluatePharmaの“Technology”における“Biotechnology”に分類される品目**
抗体、組換えタンパク、遺伝子組み換えワクチン、核酸医薬、遺伝子細胞治療、遺伝子治療、細胞治療、腫瘍溶解ウイルス

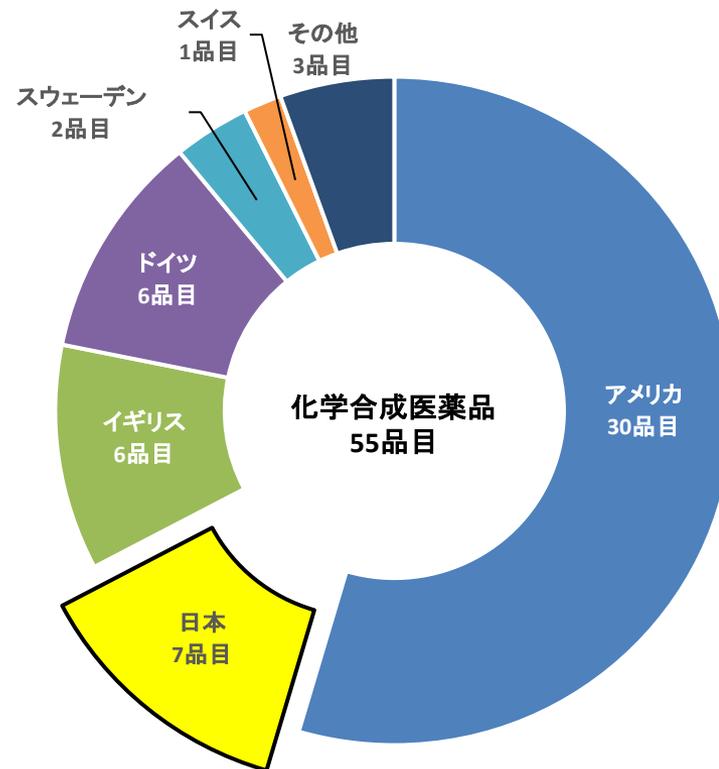
出所： EvaluatePharmaをもとに医薬産業政策研究所にて作成（2021年2月時点）

世界売上高上位100品目の医薬品創出企業の国籍別医薬品数 内訳

バイオ医薬品

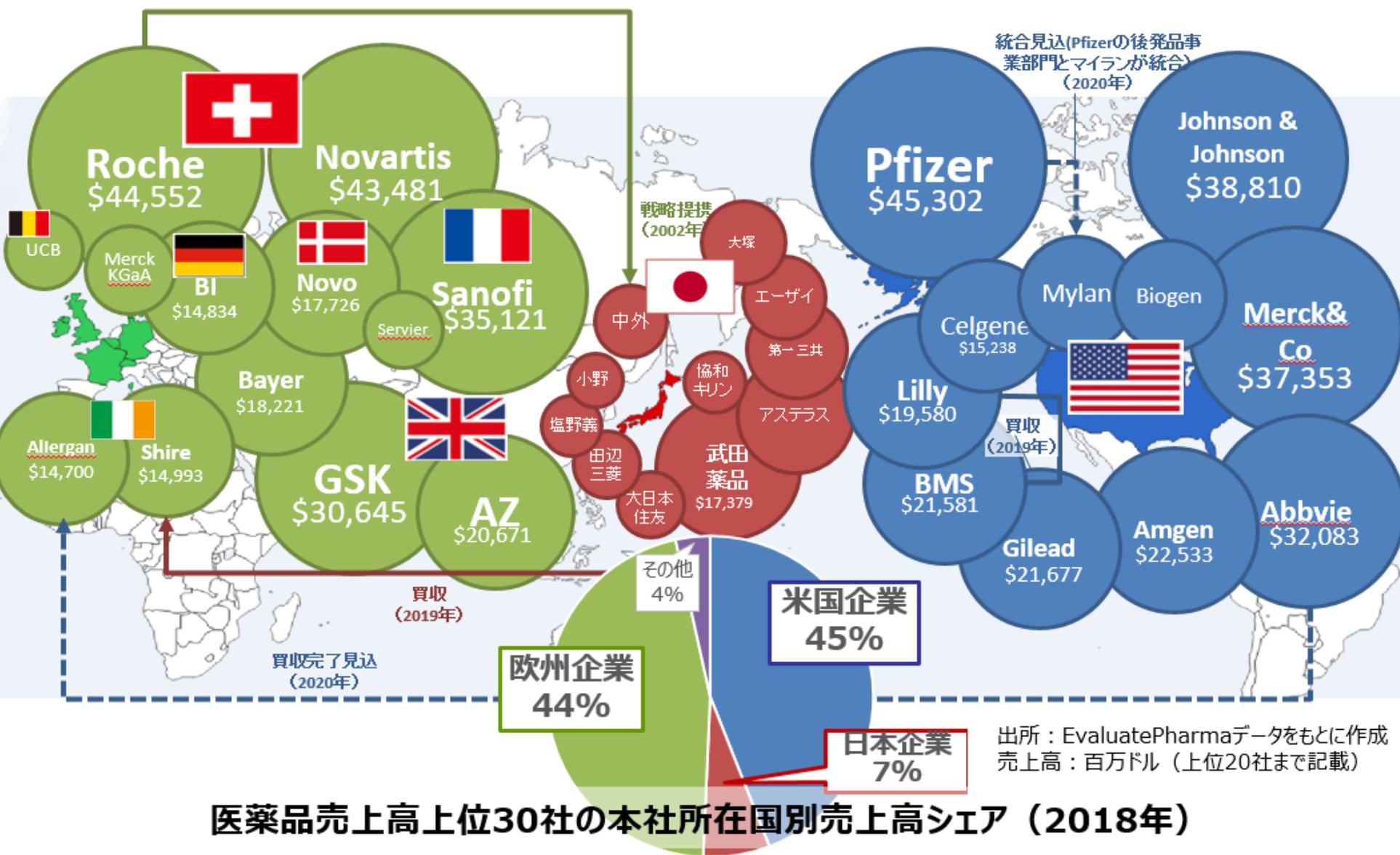


化学合成医薬品



出所: Copyright©2021 IQVIA. IQVIA World Review Analyst 2019, IQVIA Pipeline & New Product Intelligence, EvaluatePharma, Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceをもとに医薬産業政策研究所にて作成(無断転載禁止)
 出典: 医薬産業政策研究所 政策研ニュースNo.61(2020年11月)

グローバル規模でみた製薬企業



本日お話しする内容

1. 日本の医薬産業の現状
- 2. 医薬品産業ビジョン 及び ワクチン開発・生産体制強化戦略**
3. 研究開発支援 ～ 健康医療戦略と Clinical Innovation Network～
4. 治験環境整備 ～ 臨床研究中核病院とアジア臨床研究・治験NW ～
5. 臨床研究法 と 再生医療等安全性確保法 の見直し

医薬品産業政策の主要テーマごとの課題と方向性

主な課題

方向性

革新的創薬

- ・ **研究開発の高度化・難化**による投資リスクの増大
- ・ 個別化医療などの進展による**ゲノム情報などデータ利活用**の必要性
- ・ **日本企業の研究開発力の低下の懸念**と、**ベンチャー企業やアカデミアなどとの協業（エコシステム）**による研究開発の効率性と迅速化の実現
- ・ 医薬品以外の治療手段や予防・再発防止なども含めた、ヘルスケア分野全般の取組み強化

- ・ 投資リスクを低減し、投資環境を向上させるための公的支援、外部資金投入や共同開発の促進、人材育成と雇用、海外展開支援
- ・ ゲノムなどの医療情報基盤の整備と利活用促進
- ・ アカデミア・ベンチャーなどとのグローバルネットワーク構築（投資やアライアンス、M&Aなど）
- ・ アジアの規制調和・治験ネットワークの構築など治験環境の整備
- ・ 薬価制度等における透明性・予見性の確保

後発医薬品

- ・ 大手後発メーカーの製造・品質管理不足と欠品
- ・ 使用割合 8 割到達による国内市場の量的拡充の鈍化
- ・ 医療現場における価格面以外での評価の促進
- ・ ブロックバスターの主流を占めるバイオ医薬品を念頭においた医薬品ライフサイクルの更なる加速

- ・ 後発薬の特性を踏まえた安定供給の責任・管理体制の強化
- ・ 後発医薬品を含めた海外展開への支援
- ・ 安定供給や品質確保の取組状況の開示など透明性の向上
- ・ バイオシミラーも含めた後発医薬品の使用促進
- ・ セルフケア・セルフメディケーションの推進

医薬品流通

- ・ 商慣行による商流機能（市場価格形成）の改善
- ・ 物流機能での供給停止や回収等の対応業務の増大

- ・ 医薬品の価値に基づく納入価の提示と単品単価交渉の促進
- ・ 供給不安情報の早期把握と流通スキームの検討

経済安全保障

- ・ 原材料物資や製品の特定国依存等によるサプライチェーン上の欠品リスクの増大
- ・ 医薬品の安定供給の責務に関する法的位置づけ
- ・ **ワクチン・感染症治療薬の開発・生産体制強化**

- ・ 安定確保医薬品のリスク分析とサプライチェーン強靱化
- ・ 安定供給の行政指導の徹底と供給不足に係る情報収集・公表の仕組みの構築、安定供給責務の法的位置づけの検討
- ・ ワクチンや治療薬（AMR含む）の収益性や予見性の確保

(医薬品産業政策が目指すビジョン)

- 医薬品は、国民の健康寿命の延伸をもたらす、国民を健康危機から守る重要な手段。併せて、消費活動、労働参加など経済活動も支えている。医薬品産業は安定した担税力・雇用でも日本経済に貢献。
- 知識・技術集約型産業である医薬品産業の発展には、科学技術力の向上とイノベーションの実現が不可欠。
- このため、以下の2点の実現を目指し、医薬品産業政策を推進。
 - ① 世界有数の創薬先進国として、革新的創薬により我が国の健康寿命の延伸に寄与するとともに、医学研究や産業技術力の向上を通じ、産業・経済の発展に寄与
 - ② 医薬品の品質確保・安定供給を通じて、国民が安心して良質な医療を受けられる社会を次世代へ引継
- これらのビジョンの実現のためには、企業における投資に見合った適切な対価の回収の見込みが重要。

(医薬品産業政策の基本的な方向性)

- 前回ビジョンの策定から8年が経過し、ゲノム等の遺伝子技術やデータ利活用による創薬、後発医薬品の浸透、医薬品市場・サプライチェーンのグローバル化、薬価制度抜本改革やワクチン・治療薬への関心の高まりなど、産業を取り巻く環境に変化。
- これらの変化を踏まえ、上記のビジョンの実現を図るため、以下の3点に焦点を当て、「経済安全保障」の視点を加えた産業政策を展開。
 - ① 革新的創薬；アカデミア・ベンチャーのシーズを積極的に導入しアンメット・メディカル・ニーズを充足
 - ② 後発医薬品；医療上の必要性が向上している実態を踏まえ、品質確保と安定供給を徹底
 - ③ 医薬品流通；必要な時に必要な医薬品にアクセスできる環境のため、安定供給と健全な市場形成を実現
- このような産業政策を、平時・緊急時ともに迅速かつ着実に推進していくため、厚生労働省内の医薬品関係の組織体制の強化を図る。政府全体で総合的な対策を実施していく観点から政府における司令塔機能の確立が必要であるとの指摘もあり、厚生労働省と関係省庁で引き続き議論。
- また、本ビジョンのフォローアップと医薬品産業に対する国民の理解を得ていくため、「世界売上高上位100位以内の医薬品に占める日本起源の医薬品数」などのKPIを設定・把握するとともに、実務レベルでの官民の対話と情報の発信を継続的に実施。

i 研究開発

①重点領域の設定と伴走支援

医薬品高度化等に鑑みた**重点支援の設定**、**ワクチン・治療薬など政策的優先度の高い領域や分野に対する入口から出口までの伴走支援**

②オープンイノベーションコミュニティづくりを中心とした研究開発環境の整備

国内の研究開発力の維持と海外ベンチャー等の参入を進めるため、オープンイノベーションコミュニティを整備

③人材による研究開発力強化

産官学連携による**バイオインフォマティシャン育成と雇用**のための取組、**アカデミアにおける研究評価方法の多角化**

④リスクマネー供給・マッチング支援

実用化開発支援のための**重点分野への政府サイドからの資金提供・民間資金の流入活性化**、研究成果マッチングのためのプラットフォーム構築

⑤研究開発データ基盤等の整備

「全ゲノム解析等実行計画」の着実な推進等、研究に必要な**情報の標準化**推進、**医療情報の利活用**ガイドラインの活用・作成、保護と利活用の法制度の在り方検討、各データ基盤の有用性向上、情報の利活用の目的・成果等の国民への説明、AIによる新薬候補物質選定の最適化支援、高額研究設備の共用化

⑥知財戦略策定支援

バイオ医薬品の特性を踏まえた官民による技術高度化に伴う知財戦略策定に向けた研究の実施

⑦研究開発投資の充実

研究開発費上昇・成功確率低下等を踏まえた研究開発投資充実支援

ii 薬事承認・保険収載

①レギュラトリーサイエンスの確立

重点領域への一貫支援の前提となるレギュラトリーサイエンスを、研究者や開発企業等の意見を聴きながら早期に確立

②治験環境の整備

わかりやすい治験情報の提供・被験者負担軽減による治験参加の促進、**臨床研究中核病院等の拠点整備**、様々な分野の専門家育成や連携促進、**アジア市場への展開の円滑化のためのアジア共同治験の推進**

③緊急時の薬事承認プロセスの迅速化と基準整備

国際的な合意に則った緊急時の臨床試験フレームワークの作成、承認審査時の海外治験データのさらなる活用の在り方や緊急事態における特別に使用を認めるための制度の在り方の検討、ワクチン国家検定の迅速化・簡素化の検討

令和4年度厚生労働省組織・定員の概要

- 令和4年度の組織・定員については、以下のような内容が認められた。
 - ・ 新型コロナウイルス感染症へのこれまでの対応を踏まえ、
 - ① 感染症対策や予防接種の推進等のために増大した業務を担う体制の整備
 - ② 医薬品等の開発の企業支援等を行う体制の整備
 - ・ ポストコロナの社会を見据えた社会保障や雇用等に関する必要な政策的対応を担う体制の整備

1 組織体制の整備（主なもの）

※名称は仮称

(1) 医薬品等の開発の企業支援、医療情報の利活用推進

医薬産業振興・医療情報審議官を設置

- ・ 医政局に参事官（特定医薬品開発支援・医療情報担当）を設置

※医政局経済課及び研究開発振興課は、それぞれ

- ・ 医薬産業振興・医療情報企画課
- ・ 研究開発政策課

に名称変更。

※この他、大臣官房企画官（医薬産業振興・医療情報担当）を設置

(2) 感染症対策や予防接種推進体制の強化

- ・ 健康局参事官（予防接種担当）の設置

※この他、大臣官房企画官（感染症対策担当）の設置

(3) 雇用環境整備のための総合的な企画立案機能強化

- ・ 大臣官房参事官（雇用環境政策担当）の設置

(4) 建設アスベスト給付金の支給等のための体制整備

- ・ 労働基準局労災管理課建設石綿給付金認定等業務室の設置

2 人員体制の整備

本省内部部局、検疫所等を中心に大幅な定員増を図り、感染症対応のための体制を強化するとともに、新規業務や既存業務の増大にも的確に対応できる体制を整備

区分	令和3年度 末定員	令和4年度増減内訳			令和4年度 末定員
		新規増員等	定員合理化による減員等	差引	
厚労省	33,414	1,111	▲923	188	33,602
内部部局	4,073	327	▲78	249	4,322

（新規増員等の主な内容）

○本省内部部局

- ・ 感染症対策（健康局結核感染症課）、予防接種推進体制の強化 54人

- ・ 医薬品等の開発の企業支援・サプライチェーンの強靱化、医療情報の利活用推進のための体制強化 37人

- ・ 建設アスベスト給付金の支給等のための体制整備 18人

○検疫所

- ・ 検疫体制強化 131人

○都道府県労働局

- ・ 雇用の維持・確保、人材確保支援等のための体制強化（ハローワーク） 282人

（※別途、定員合理化、時限到来による減員がある。）

ワクチン開発・生産体制強化戦略(概要)

ワクチンを国内で開発・生産出来る力を持つことは、国民の健康保持への寄与はもとより、外交や安全保障の観点からも極めて重要
今回のパンデミックを契機に、我が国においてワクチン開発を滞らせた要因を明らかにし、解決に向けて国を挙げて取り組むため、政府が
一体となって必要な体制を再構築し、長期継続的に取り組む国家戦略としてまとめたもの

研究開発・生産体制等の課題

- 最新のワクチン開発が可能な**研究機関の機能、人材、産学連携の不足**
- ワクチン開発への**戦略的な研究費配分の不足**
- 輸入ワクチンを含め迅速で予見可能性を高める薬事承認の在り方等
- 特に**第Ⅲ相試験をめぐる治験実施の困難性**
- ワクチン製造設備**投資のリスク
- シーズ開発やそれを実用化に結び付ける**ベンチャー企業、リスクマネー供給主体の不足**
- ワクチン**開発・生産を担う国内産業の脆弱性**
- 企業による研究開発投資の回収見通しの困難性**

ワクチンの迅速な開発・供給を可能にする体制の構築のために必要な政策

- ①世界トップレベルの研究開発拠点形成<フラッグシップ拠点を形成>**
 - ワクチン開発の拠点を形成、臨床及び産業界と連携し、分野横断的な研究や、新規モダリティを活用
 - ②戦略性を持った研究費のファンディング機能の強化<先進的研究開発センターをAMEDに新設・機能強化>**
 - 産業界の研究開発状況、国内外の新規モダリティ動向を踏まえ、ワクチン実用化に向け政府と一体となって戦略的な研究費配分を行う体制をAMEDに新設
 - ③治験環境の整備・拡充<国内外治験の充実・迅速化>**
 - 臨床研究中核病院の緊急時治験の要件化や治験病床等の平時からの確保**
 - アジア地域の臨床研究・治験ネットワークを充実**
 - ④薬事承認プロセスの迅速化と基準整備**
 - 新たな感染症に備えて、あらかじめ臨床試験の枠組みに関する手順を作成
 - 緊急事態に使用を認めるための制度の在り方を検討
 - ⑤ワクチン製造拠点の整備<平時にも緊急時にも活用できる製造設備の整備>**
 - ワクチンとバイオ医薬品の両用性(デュアルユース設備)とする施設整備、改修支援
 - ⑥創薬ベンチャーの育成<創薬ベンチャーエコシステム全体の底上げ>**
 - 創薬ベンチャーにとって特にリスクの大きな**第Ⅱ相試験までの実用化開発支援等**
 - ⑦ワクチン開発・製造産業の育成・振興**
 - 新たな感染症発生時の国によるワクチン買上げなど国内でのワクチン供給が円滑に進むよう検討、国際的枠組みを通じた世界的供給やODAの活用等を検討
 - ワクチンの開発企業支援、原材料の国産化、備蓄等を担う体制を厚生労働省に構築
 - ⑧国際協調の推進**
 - ワクチン開発、供給、薬事承認の規制調和の国際的合意形成、COVAX等への貢献
 - ⑨ワクチン開発の前提としての<モニタリング体制>の強化**
- 以上を実現するため研究開発を超えた総合的な司令塔機能や関係閣僚での議論の場を構築すべき

喫緊の新型コロナウイルス感染症への対応

- 第Ⅲ相試験の被験者確保の困難性等に対応するため、薬事承認はICMRA(薬事規制当局国際連携組織)の議論を踏まえ、コンセンサスを先取りし、検証試験を開始・速やかに完了できるよう強力に支援
- 国産ワクチンの検証試験加速のため、臨床研究中核病院の機能拡充**に加え、臨床試験受託機関等も活用 等

「経済財政運営と改革の基本方針2022」(研究開発関係)

コロナ禍からの回復とウクライナ情勢の下でのマクロ経済運営 (第1章)

● 経済社会活動の正常化に向けた感染症対策

- ▶ 新型コロナ対策については、必要な財政支援や見える化等により医療提供体制の強化を進めるとともに、感染状況や変異株の発生動向に細心の注意を払いつつ段階的な見直しを行い、一日も早い経済社会活動の正常化を目指す。

(略)

- ・コロナに関する罹患後症状(いわゆる後遺症)についての実態把握や病態解明等に資する調査・研究
- ・これまでの新型コロナ対応を客観的に評価し、**次の感染症危機に備えて、本年6月を目途に、危機に迅速・的確に対応するための司令塔機能の強化や感染症法の在り方、保健医療体制の確保など、中長期的観点から必要な対応をとりまとめ**

科学技術・イノベーションへの投資 (第2章)

● 科学技術・イノベーションへの投資

- ・量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等の**バイオテクノロジー・医療分野**といった我が国の国益に直結する科学技術分野の**国家戦略の明示、官民が連携した科学技術投資の抜本拡充**

対外経済連携の促進 (第3章)

● 国際連携の強化

- ・グローバルヘルス戦略に基づき、**感染症に対する予防・備え・対応の強化など世界の保健課題の解決に貢献**し、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ(UHC)の達成を目指すほか、WHOとの連携について協議
- ・**薬剤耐性対策において、市場インセンティブなど薬剤耐性菌の治療薬確保**のための具体的手法を包括的に検討した上で結論を出し、国際的な議論において主導的な役割を果たす

持続可能な社会保障制度の構築 (第4章)

● 社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進

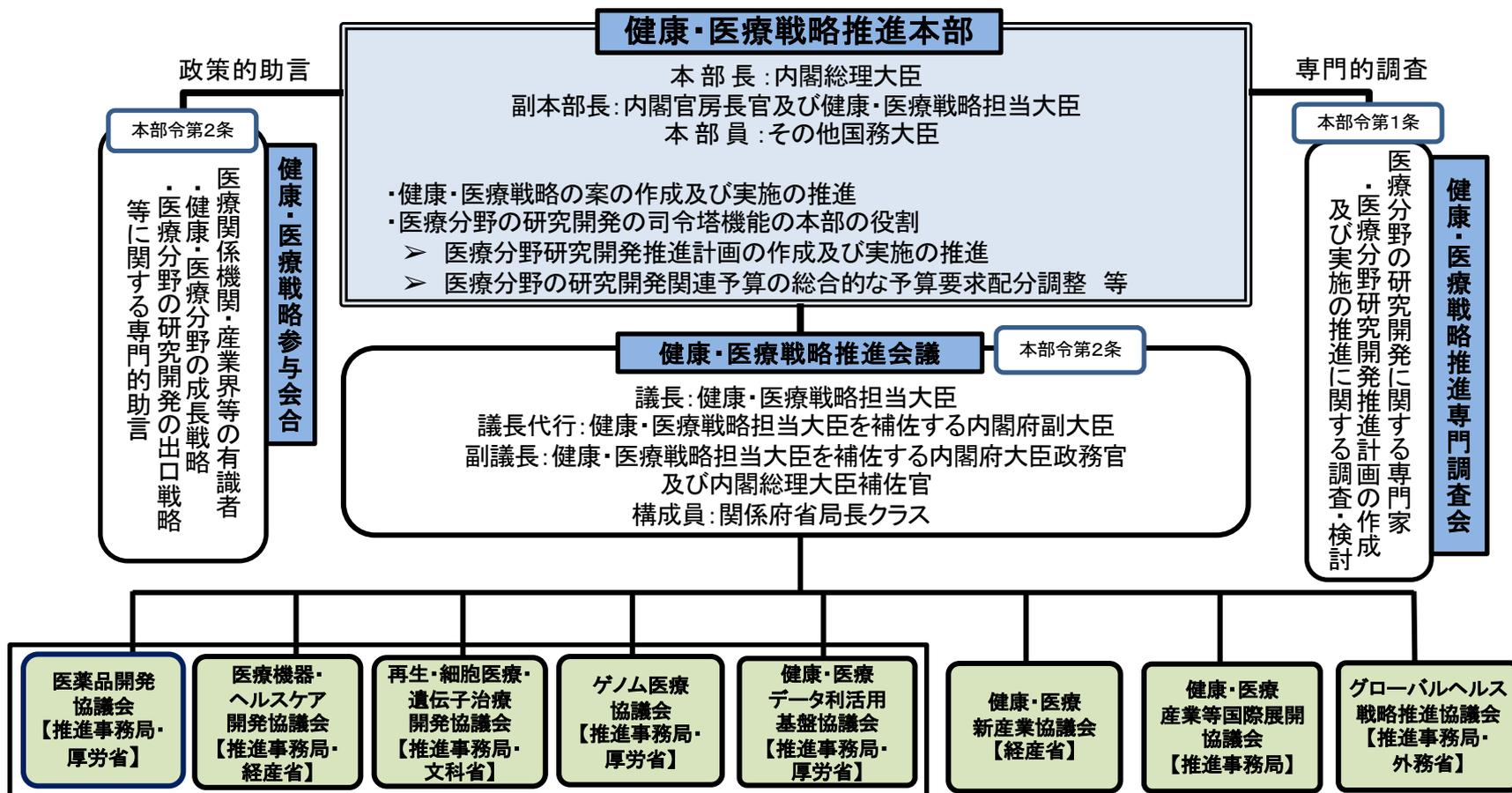
- ・デジタルヘルスの活性化に向けた質の見える化やイノベーション等
- ・データヘルス改革工程表に則りPHRの推進等改革を着実に実行
- ・**「全国医療情報プラットフォームの創設」、「電子カルテ情報の標準化等」、「診療報酬改定DX」の取組**を行政と関係業界が一丸となって進めるとともに、**医療情報の利活用について法制上の措置等**を講ずる
→そのため、政府に**総理を本部長とし関係閣僚により構成される「医療DX推進本部(仮称)」**を設置
- ・オンライン診療の活用促進、AIホスピタルの推進・実装
- ・経済安全保障や医薬品産業ビジョン2021等の観点も踏まえた、**医薬品の品質・安定供給の確保と創薬力の強化**、様々な手段を講じることによる科学技術力の向上とイノベーションの実現
- ・がん・難病に係る創薬推進等のため、**臨床情報と全ゲノム解析の結果等の情報を連携させ搭載する情報基盤**を構築し、その**利活用**に係る環境を早急に整備

本日お話しする内容

1. 日本の医薬産業の現状
2. 医薬品産業ビジョン 及び ワクチン開発・生産体制強化戦略
- 3. 研究開発支援 ～ 健康医療戦略と Clinical Innovation Network～**
4. 治験環境整備 ～ 臨床研究中核病院とアジア臨床研究・治験NW ～
5. 臨床研究法 と 再生医療等安全性確保法 の見直し

健康・医療戦略(第2期)の推進体制について

2020年度に開始する第2期の健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画の実施の推進等のために必要な協議会を置くこととする。なお、新たな協議会の構成員や設置要綱等については引き続き検討する。



医療分野研究開発推進計画に関する協議会

アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み ～革新的シーズの実用化～

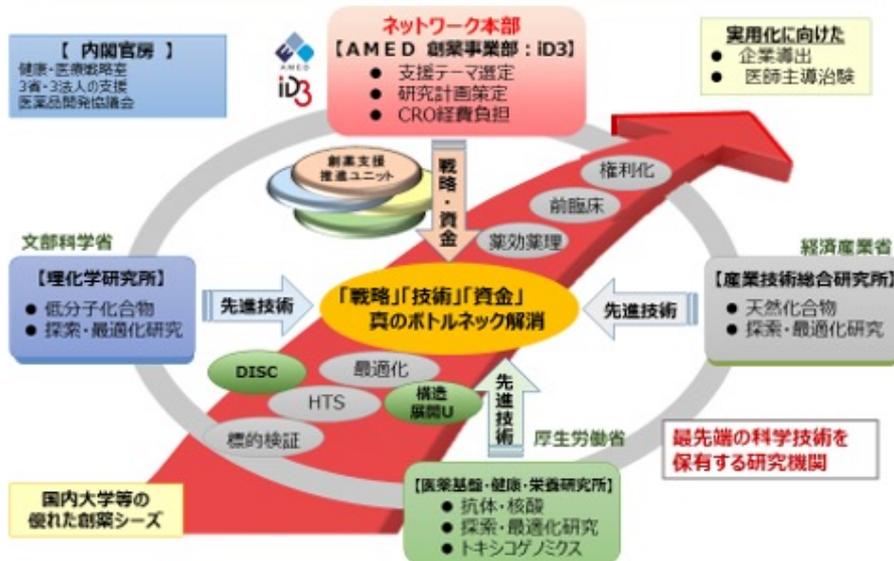
第1回協議会におけるご指摘

「最適化」研究について、中継ぎの仕組みを含めた効率的な実施体制の構築が必要
創薬支援ネットワークにおける更なる活用が必要

創薬支援ネットワーク（創薬支援推進事業）

「創薬支援ネットワーク」は、大学や国立高度医療研究センター等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化に導くため、日本医療研究開発機構創薬事業部が本部機能を担い、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等との連携により、革新的医薬品の創出に向けた研究開発等を支援する。

創薬支援ネットワークの体制（創薬プーラー）



企業への導出実績（2020年4～11月）

課題番号	課題名	研究者	導出時期	モダリティ	備考
DNW-15002	硫酸塩型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索	宮藤 秀之(熊本大学熊本大学病院)	2020年4月	低分子化合物	DISC活用
DNW-19012	脂質代謝経路を標的としたがん免疫療法の探索	大多 茂樹(学校法人慶應義塾慶應義塾大学医学部)	2020年9月	低分子化合物	
DNW-18005	新規のNrf2活性化メカニズムに着目した扁平上皮がん治療薬の探索	鈴木 裕之(筑波大学医学医療系)	2020年10月	低分子化合物	DISC活用

DISC: 産学協働スクリーニングコンソーシアム

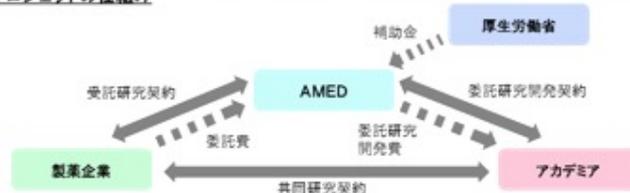
創薬基盤推進研究事業

GAPFREE

Funding for Research to Expedite Effective drug discovery by Government, Academia and Private partnership

革新的新薬の開発に向けて、アカデミア-企業からなるコンソーシアムを構築し、参画企業も研究費を拠出の上で、産学それぞれの強みを活かした共同研究を推進するスキーム

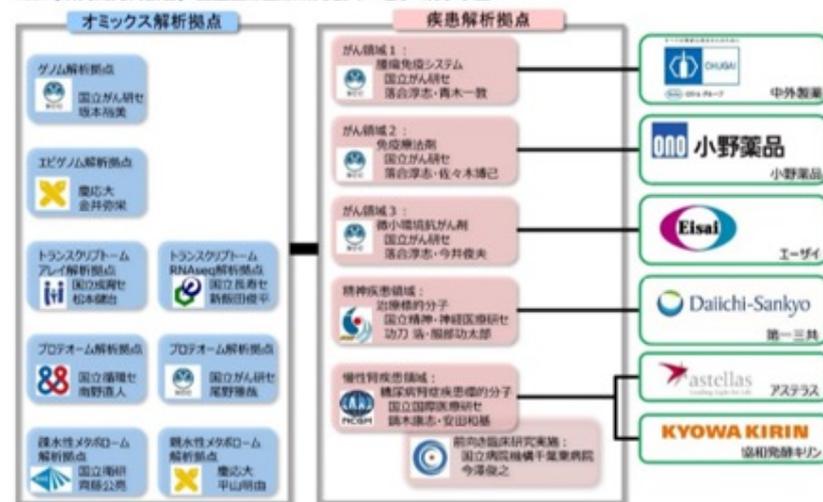
GAPFREEプロジェクトの仕組み



GAPFREEプロジェクトの具体例

産学官共同創薬研究プロジェクト

【研究開発課題名】多層的オミックス解析による、がん、精神疾患、腎疾患を対象とした医療技術開発
【研究開発代表者】国立国際医療研究センター理事 清水孝雄



医療系ベンチャー振興のための取組

- 医薬品・医療機器分野のベンチャー（医療系ベンチャー）を育てる好循環（ベンチャーのエコシステム）の確立に向け、「**医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会**」を平成27年12月より開催し、平成28年7月に**報告書**が取りまとめられた。
- 報告書における提言内容を実行するため、体制の整備や予算等の措置を行い、医療系ベンチャーを支援するための各種の取り組みを推進している。

報告書における振興方策のための3つの柱と、具体的な取り組み

エコシステムを醸成する制度づくり	エコシステムを構成する人材育成と交流の場づくり	「オール厚労省」でのベンチャー支援体制の構築
<ul style="list-style-type: none">● 革新的医薬品の早期承認制度の導入（平成29年7月）● 革新的医療機器の早期承認制度の導入（平成29年10月）● 革新的医療機器・再生医療等製品の承認申請にかかる相談料・審査手数料に係る減免措置を実施（平成29年度～）	<ul style="list-style-type: none">● 平成30年2月に「医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDISO）」を立ち上げ、アカデミアやベンチャー企業が有するシーズを実用化につなげるための相談対応など総合的な支援を実施● 大手企業等のキーパーソンとベンチャーのマッチングに資するイベント「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）」の開催（平成29年から5回実施）	<ul style="list-style-type: none">● 医政局経済課に「ベンチャー等支援戦略室」を設置（平成29年4月）● PMDAに「イノベーション実用化連携相談」を開設（平成30年4月）● 臨床研究中核病院にベンチャー支援部門を設置（令和3年4月時点で13病院）● ベンチャー支援施策の有効性を検証するための会議体である「医療系ベンチャー振興推進会議」を定期的開催 等

振興方策を強化するための取組（令和3年度）

1. 医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDISO）の拡充

知財管理、薬事申請、経営管理、海外展開等、医療系ベンチャーが各開発段階で抱える課題について相談対応や事業戦略の策定等による支援を行うとともに、医療系ベンチャーへのアカデミアや大手企業からの人材流動を促す事業を実施することにより、医療系ベンチャーのより一層の振興を図る。

2. 「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）」の開催

引き続き、パシフィコ横浜における「BioJapan」との共同によるマッチングイベントを開催し、ブースの出展。シンポジウムの開催、ベンチャー支援プログラムの実施等により、ベンチャーと大手企業や支援機関等とのマッチングの更なる推進を図る。

3. 「医療系ベンチャー振興推進会議」による施策の検証

有識者による会議での議論を通じて、支援施策の効果の検証等を行い、改善につなげるPDCAサイクルの構築を図る。

臨床・イノベーション・ネットワーク（CIN）について

医薬品・医療機器開発を取り巻く環境の変化

- 新薬、新医療機器等の**開発コストが世界的に高騰** ※1新薬当たり約3千億円との試算あり
- 開発の低コスト化、効率化を狙い、**疾患登録システム（患者レジストリ）を活用する新たな臨床開発手法**が登場
 - ▶ 国立がん研究センターの取組「SCRUM-Japan」：全国のネットワーク病院でがん患者のゲノムスクリーニングを行い、そのデータを集約し、疾患登録システムに登録。希少がん患者の治験組入れ等を効率化
 - ▶ 各ナショナルセンター（NC）、大学病院等でも平成26年から疾患登録システムの構築を開始

そこで

- **効率的な創薬のための環境整備を進めるため、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CIN**を構築、拡充

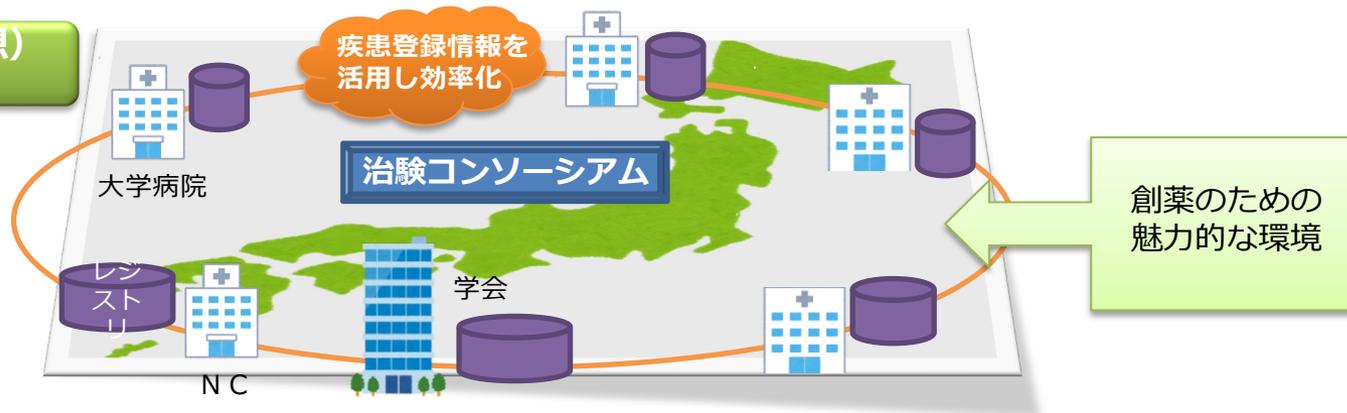
CIN構想

具体的には

関係機関の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。
疾患登録情報を活用した**効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制構築**を推進

- これらの取組により、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するとともに、海外メーカーを国内開発へ呼び込む

CIN（構想）
のイメージ



CIN（クリニカル・イノベーション・ネットワーク）構想の取組の全体像



1. レジストリ構築・活用

- ① レジストリ構築
- ② 企業によるレジストリ活用推進に向けた検討
- ③ ワンストップサービス拠点
- ④ レジストリと企業ニーズとのマッチング・レジストリ改修

【KPI】レジストリ構築：15疾患
【これまでの取組】

- ・NC・基盤研で17レジストリを構築
- ・AMEDにおいて4レジストリ（がん、ALS、筋ジストロフィー、医療機器（脳神経外科領域））の構築を支援
- ・企業ニーズとのマッチングを実施し、4レジストリの改修支援
- ・CIN推進の仕組みの検討や横断的課題（同意取得等）の解決（武田班）
- ・全国のレジストリを調査し、一覧化（國土班）

2. 治験ネットワーク構築・国際展開

- ① レジストリを活用した臨床研究・治験の実施
- ② 人材育成
- ③ 国際共同治験の推進
- ④ 再生医療の臨床試験の推進

【KPI】レジストリを活用した臨床研究・治験の実施：20件
【これまでの取組】
・23研究班でレジストリを活用した臨床研究等を実施

3. レギュラトリーサイエンス

- ① レジストリを活用した市販後調査、治験対象群としての活用等に関するガイドライン策定
- ② アジア地域における薬事協力の推進

【KPI】レジストリを活用した治験・臨床研究に関するガイドラインの策定：5件
【これまでの取組】
・6ガイドラインを策定
製造販売後調査に活用するためのガイドライン整備（基本的な考え方・留意点）
承認申請等に活用するためのガイドライン整備（基本的な考え方・留意点）

疾患登録システム（レジストリ）の活用例

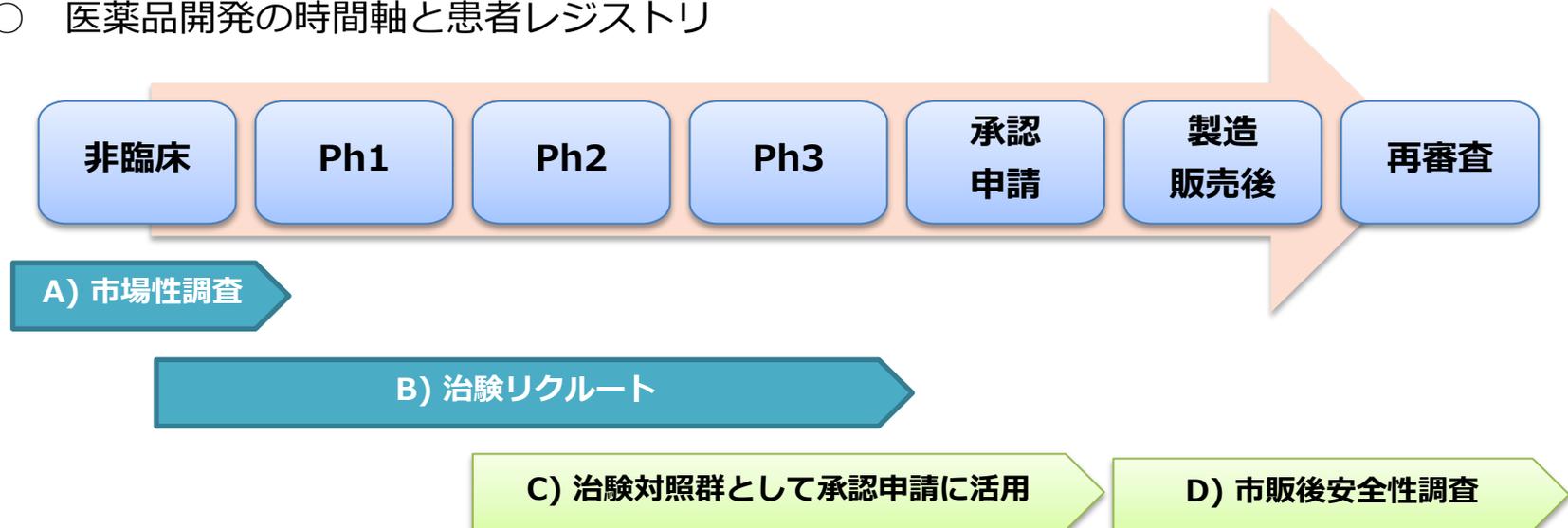
○ 患者レジストリの分類（企業の活用方法として主に下記の4つを想定）

- A) 市場性調査 : 患者数、地域分布などから、日本での医薬品開発可能性を検討
- B) 患者リクルート : 登録された患者を、治験・臨床研究に効率的に組入れ
- C) 治験対照群 : 患者自然歴を把握し、治験の対照群として利用（Single Arm試験）
- D) 市販後安全性調査 : 市販後、副作用の発生状況などを把握

※1 A) 及び B) の目的での運用は既に始まっている。

※2 今後、C) 又は D) の目的での運用を目指し、医薬品・医療機器の開発環境整備に向け、規制当局（医薬局、PMDA）、製薬協等の企業関係者も交え、新たな患者レジストリの構築・検証を行い、疾患登録システムに関するガイドラインを策定する予定。

○ 医薬品開発の時間軸と患者レジストリ



本日お話しする内容

1. 日本の医薬産業の現状
2. 医薬品産業ビジョン 及び ワクチン開発・生産体制強化戦略
3. 研究開発支援 ～ 健康医療戦略と Clinical Innovation Network～
- 4. 治験環境整備 ～ 臨床研究中核病院とアジア臨床研究・治験NW ～**
5. 臨床研究法 と 再生医療等安全性確保法 の見直し

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。

※令和3年4月7日現在で、下記の**14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
- ・ 北海道大学病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 千葉大学医学部附属病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 順天堂大学医学部附属順天堂医院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 京都大学医学部附属病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 岡山大学病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 慶應義塾大学病院
- ・ 神戸大学医学部附属病院

<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。



臨床研究中核病院に期待される姿

現状

- 治療薬開発推進については、これまでの中核病院のノウハウを活用した計画をご提案いただいた
- コールセンターについては中核病院それぞれの取組としてご提案いただいた

取り組みに期待される姿

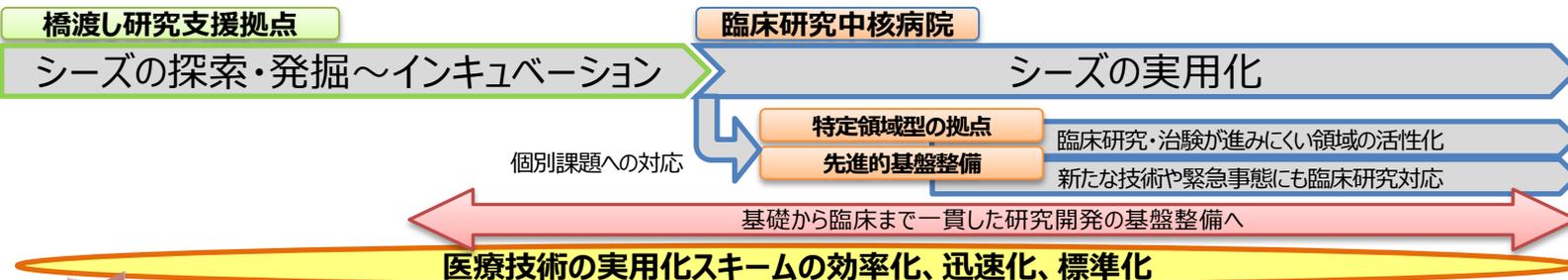
- 中核病院独自の特色を伸ばしつつも、今回の新型コロナウイルス感染症のような**ALL JAPANの取組には、迅速性かつ汎用性のある取組**が求められる
- コールセンターを含めた患者相談窓口の業務については、**臨中間の連携、ネットワーク化により、日本全体をカバーする体制**が必須

今後は、「臨床研究中核病院の連携」と「迅速性・汎用性のある対応」も求められます

医療技術実用化総合促進事業

令和4年度予算案
2,823,909千円 (2,885,807千円)

- 医療法に基づき承認される臨床研究中核病院は、臨床研究・治験を自ら積極的に実施する高い能力を持つのみならず、他の医療機関が治験・臨床研究を行う際の多角的な支援を行うものとして、日本全体の研究開発基盤としての役割が求められている。
- 国際共同臨床研究・治験の一層の推進のため、臨床研究・治験の基盤である倫理審査委員会に係る国際認証基準の取得等を目指した情報収集や体制構築を行い、国際共同臨床研究・治験の円滑な実施を目指すとともに、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）（以下「ワクチン戦略」という。）において「臨床研究中核病院等における日本発の国際共同治験の実施・支援能力の拡充（国際対応人材の常駐）を行う。」とされたことを踏まえ、国際試験実施体制の強化に向けた更なる取組を進める。
- さらに、ワクチン戦略において、「緊急時に際しても平時のリソースを速やかに切り替え、迅速な臨床試験実施を可能とする体制を構築する。」とされたことを踏まえ、新興再興感染症や災害等の緊急時にも円滑に臨床研究・治験の実施が可能な体制整備を行うと共に、各々の強みと特徴を生かした臨床研究・治験に係る取組のうち優れた提案についてその推進を支援する。



臨床研究中核病院：日本全体の臨床研究基盤を支え、自施設のみならず日本の医療機関を総合的に支援するプラットフォーム

国際共同臨床研究実施推進プログラム	医療系ベンチャー支援プログラム	未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム	特定領域型拠点研究開発支援プログラム
海外対応可能な人材の育成・配置や、国際共同治験を実施する者に対する様々な支援を行う。これまでの取組で取得したノウハウについて拠点間での展開を進め、拠点を通じた国際共同試験における体制強化に取り組む。この他、R4年度は治験審査委員会に係る国際水準の能力強化を図る。	臨床研究中核病院に設置されたベンチャー支援部門を利活用し、アカデミアに対しては、企業導出戦略等の立案を、企業に対しては、臨床研究中核病院の資源を生かした共同研究等の提案を行える産学連携の中心となるような人材の配備等を行い、プログラムの充実を図る。	CRCやDM等の雇用や、海外からの関連情報収集等のほか、自施設内の診療情報の標準化及びその運用体制の整備、ノウハウの蓄積を行い、自施設内のHISから統合解析のための出力までの適切なコード化までの整備を進めることで、自施設内で実施される臨床研究の安全性向上の一層の推進を図るとともに、各中核病院の医療情報の連結を進める。	小児領域等、研究開発が困難とされる分野におけるCRB等の固有の課題抽出や対応策の提言の作成を含め、領域特有の研究基盤を整備する。この他、得られた知見を他拠点へ展開することにより、アンメットメディカルニーズに対する医薬品等の開発を国内で幅広く実施できることを目指す。

補正で要求（R4年度以降は体制を維持）

先進的臨床研究環境基盤整備プログラム

各臨床研究中核病院が**自拠点の特色を活かし、革新的な技術等の実用化に向けた先進的な取組を選定、支援**することにより、先進的なシーズを創出する。あわせて、新型コロナウイルス感染症等の**新興・再興感染症に対する治療薬・ワクチン等について、迅速に臨床研究・治験を立ち上げるためのノウハウの構築や体制整備**を進め、緊急時にも遅滞なく臨床研究が実施可能な環境を構築する。

医療技術実用化総合促進事業 ＜先進的臨床研究環境基盤整備プログラム＞

令和3年度補正予算案
4.6億円

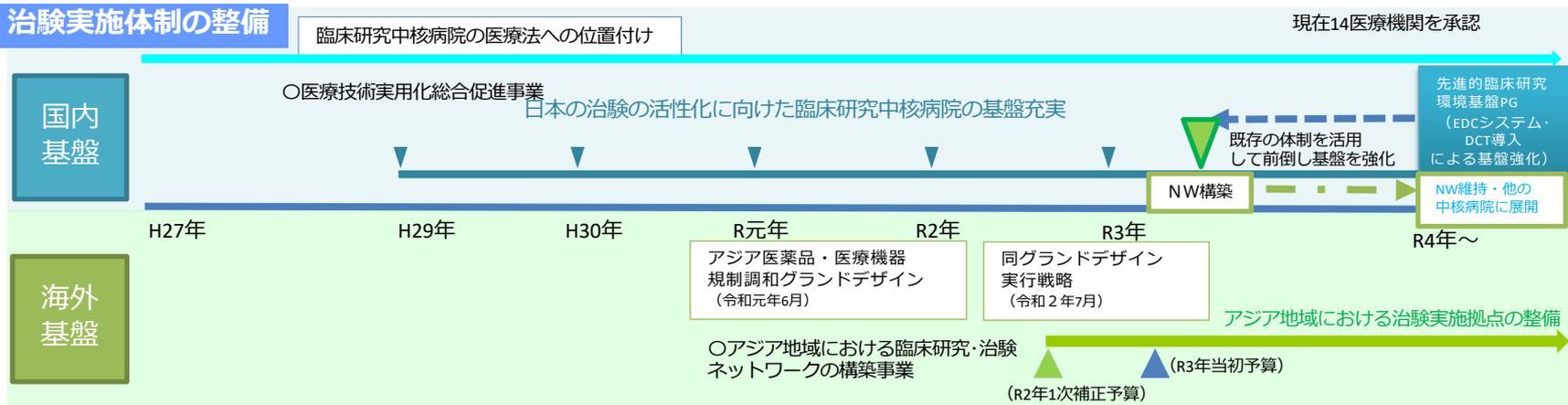
目的

- 今般の新型コロナウイルス感染症の流行において、日本国内におけるワクチンの開発が遅れ、未だ実用化されていない。「ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）」では、**感染症ワクチンの第Ⅲ相試験では数万人単位の被験者の確保が必要**となること、一方で**日本でいまだかつてこのような大規模の治験を実施したことがない**点が指摘されている。
- この様な背景から、新型コロナウイルス感染症等の新興・再興感染症に対するワクチン等について、**迅速に大規模な臨床研究・治験を立ち上げるため臨床研究中核病院（※1）が持つネットワークを活用した体制強化**を進め、短期間に大規模な患者の組入が可能となる体制を構築する。
- 現在、国産ワクチンについて第Ⅲ相試験の実施が計画されていることから、**臨床研究中核病院と関連医療機関との既存の連携体制を活用した臨床研究EDC ネットワーク構築**を行う。

※1 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）。

治験実施体制の整備



事業内容

- 臨床研究中核病院と傘下の医療機関との連携に基づき、**共通に試験データを入力・送達が可能となる臨床試験EDC（※2）ネットワークを構築**し、短期間に多数の医療機関が効率的にデータ収集を行うことを可能とする。
- 感染症流行時の患者の来院を避け、患者の負担を減らす**新規の治験手法(Decentralized Clinical Trial ※3)**の導入のために、**患者日誌の電子化を支援**することで、治験への参加を促すと共に、多数の患者から効率的かつ正確なデータ収集を可能とする。

※2 EDCシステム：Electronic Data Captureの略称で、治験や臨床試験の効率化を図るために、インターネットを使い電子的に臨床データを収集し、治験を実施する企業等にデータを送達するシステム。

※3 Decentralized Clinical Trials:デジタル技術等の活用により、患者が医療機関へ来院しなくても投薬や観察を受けられる新しい臨床試験手法。

アジア医薬品・医療機器規制調和の推進について

アジア健康構想に向けた基本方針（平成28年7月 健康・医療戦略推進本部決定、平成30年7月改定）

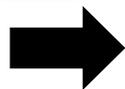
- ・日本とアジアのドラッグラグ解消に資するよう、医薬品の承認に使われるデータのアジア諸国での相互運用性の確保等、**アジアの薬事承認・安全規制が一層、効果的、合理的なものとなるよう調和を推進**する。

アジアを取り巻く状況

経済成長

人口増加

高齢化



国民の良質な医薬品・医療機器への関心の高まり
医薬品・医療機器市場の拡大

医薬品・医療機器アクセスの課題

- アジア諸国において、革新的な医薬品・医療機器等へのアクセスは十分確保されていない
- 医薬品・医療機器のアクセスは、研究開発、規制、知的財産確保などが関係する複雑な課題
- グローバル化、製品の多様化により、規制の高度化とともに国際協力の重要性が増大

アジア健康構想を具体化し、関係省庁が一体となって
規制調和及びその関連事項に取り組む必要

目標

アジア域内に**垣根のない医薬品・医療機器マーケットを整備**
日本の新たなイニシアチブとして、**アジアの高齢化・健康長寿に貢献**

「アジア医薬品・医療機器規制調和推進に向けた提言」実行戦略（概要） ～ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC）推進の観点から～

- 自民党提言を踏まえた「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」の具体化に向けた実行戦略を整理。
- 医薬品等へのアクセスの向上は、国連の持続可能な開発目標（SDGs）のターゲットの一つ。
アジア諸国での臨床開発体制の充実・規制調和の推進を通じて、アジアにおける**医薬品等へのアクセスを向上**と最新医療の提供による**保健サービスの質を向上**を実現。**UHC達成への貢献**を目指す。

臨床開発体制の充実

アジア域内で**臨床試験実施拠点のネットワーク**を構築し、**医薬品・医療機器開発の迅速かつ低コストな実施**へとつなげる。

- 研究拠点のソフト面・ハード面での基盤整備
- 研究拠点の臨床研究推進部門の構築（ARO機能）

① がん領域

- ✓ 高齢化が進むアジア諸国での増加が想定
- ✓ 産業界のニーズ、過去の国際共同医師主導治験の実績
- ✓ モデルケースとして、他の疾患領域への拡大に期待

- 医師、リサーチナース、臨床研究コーディネーターらへの教育研修（日本における教育プログラム、手順書を英訳し活用）
- 研究拠点病院に必要な検査・診断体制等の整備、ISO取得支援
- 現地の政府・病院と調整を行う人材（リエゾン）の確保
- 国内拠点とアジア各国の拠点病院を結ぶネットワークの構築

② 感染症領域

- ✓ アジアにおいて依然として高い疾患負荷
- ✓ 結核・マラリアなど日本では患者数が少なく臨床試験が困難

- 治験・臨床研究実施施設の選定、現地協力事務所の設置
- 医薬品・医療機器の提供のためのWHO事前認証などの取得支援
- 不顕性感染の患者を対象とした疫学調査（コホート研究）の検討
- 正確な現地ニーズ把握、現地との調整を行う人材（リエゾン）の確保
- 日本国内に事業推進の産官学プラットフォームを構築

規制調和の推進

アジア域内で**国際的に調和した規制の構築**により、垣根のないマーケットを整備。**優れた製品がアジア諸国に受け入れられ**、迅速な患者への提供を目指す。

- PMDA国際部門の強化・再編（R2年4月～）
 - ・アジア各国の専任の担当者を配置
- PMDAアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを拡充
 - ・アジア各国の規制担当者の能力向上を図るとともに、日本の規制への理解と信頼感を醸成。

➡ 「グランドデザイン」に掲げられた施策をさらに加速して推進

政府全体の体制

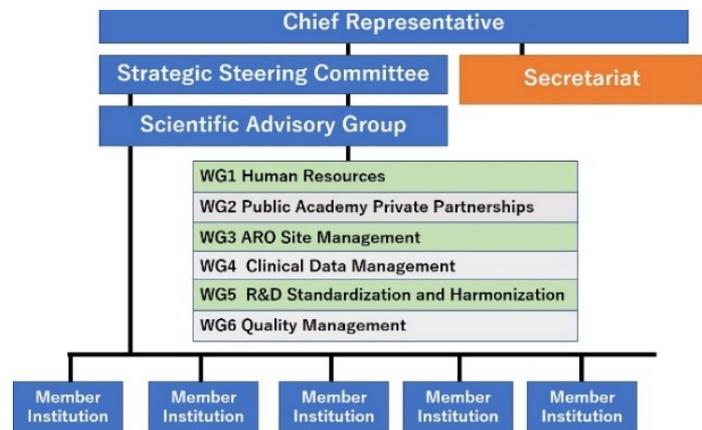
- 関係省庁が一体となった活動を推進し、省庁横断的な調整・体制整備と産学官の共同が必要。
- 実務・産業横断的に対応できる団体を取り込んで対応を進める。

新型コロナウイルスCOVID-19のアウトブレイクを受けて…

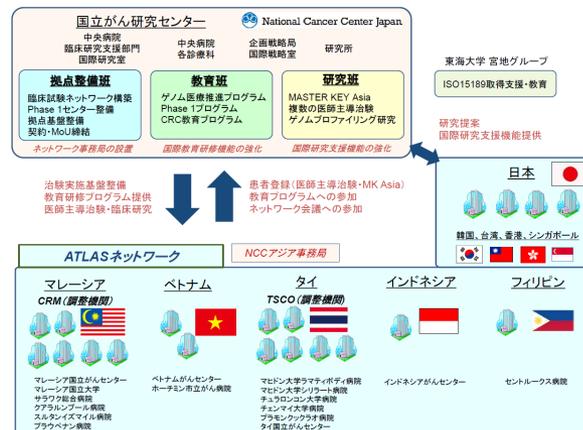
- 新興感染症に対する**医薬品等の開発環境の整備**が急務
- **緊急時も機能するアジア諸国との協働体制**をあらかじめ確立
- **今般の経験、対応の検証**を踏まえて**さらに見直し**が必要

アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業

(1) 感染症分野 国立国際医療研究センター



(2) 非感染症分野 国立がん研究センター中央病院



各国との活動状況 (2021年11月現在)

タイ	マヒドン大学シリラート病院 ・MOU 締結済、NCGM 協力オフィス設置済。トレーニング実施済
フィリピン	フィリピン大学 (含フィリピンNIH、付属病院) ・MOU・MOA 締結済。現地オフィス設置済。 ・NIH内ARO新設支援 (EDC, SOP, トレーニング、国内NW構築)
インドネシア	インドネシア大学 ・MOU 締結済、NCGM オフィス開設準備中。トレーニング実施済
ベトナム	国立バクマイ病院 ・MOU 締結済、NCGM オフィス 設置済、トレーニング実施中
マレーシア	Clinical Research Malaysia ・連携打診予定
その他	シンガポール、インドとの連携に向けて調整中

企業治験 (実施中/準備中)	8試験/2試験
研究者主導試験 医薬品 (実施中/準備中)	6試験/15試験
研究者主導試験 機器/IVD (実施中/準備中)	3試験/5試験

各国との活動状況 (2021年11月現在)

タイ	タイ臨床腫瘍学会 (TSCO) ・MoU締結。TSCO傘下の6施設がプロジェクトに参加 この他、NCCアジア事務局の設置に向け、仮事務所を設置
フィリピン	セントルークス病院 ・プロジェクト契約締結、CRC、医師、技師の雇用を開始
インドネシア	インドネシアがんセンター ・MoU締結済。プロジェクト契約調整中。
ベトナム	ベトナムがんセンター、ホーチン市立腫瘍病院 ・MoU締結済。プロジェクト契約：1施設で締結済、1施設調整中
マレーシア	Clinical Research Malaysia (5施設)、Univ Malaya Med Ctr. ・MoU締結。プロジェクト契約：5施設で締結済。1施設調整中 ・CRC、医師、技師の雇用を開始
その他	韓国、台湾、シンガポールからもプロジェクト内の各臨床研究へ参加

企業治験 (実施中/準備中)	13試験/-試験
研究者主導試験 医薬品 (実施中/準備中)	2試験/3試験
研究者主導試験 機器/IVD (実施中/準備中)	4試験/3試験

本日お話しする内容

1. 日本の医薬産業の現状
2. 医薬品産業ビジョン 及び ワクチン開発・生産体制強化戦略
3. 研究開発支援 ～ 健康医療戦略と Clinical Innovation Network～
4. 治験環境整備 ～ 臨床研究中核病院とアジア臨床研究・治験NW ～
5. **臨床研究法 と 再生医療等安全性確保法 の見直し**

臨床研究法の目的

法第1条 この法律は、臨床研究の実施の手続、認定臨床研究審査委員会による審査意見業務の適切な実施のための措置、臨床研究に関する資金等の提供に関する情報の公表の制度等を定めることにより、臨床研究の対象者をはじめとする国民の**臨床研究に対する信頼の確保**を図ることを通じてその**実施を推進**し、もって**保健衛生の向上**に寄与することを目的とする。

臨床研究法にまつわる状況

- 新型コロナウイルス感染症の流行等を契機に、改めて新しい治療法を世界同時に適用できることの重要性が認識された。
- 革新的な治療法を世界に先駆け、かつ安全に導入するにあたっては、日本の治験・臨床研究の実施環境について国際整合性をより向上させて、研究を推進していく必要がある。
- 臨床研究法について、手続き等の負担が研究の推進を阻害しているとの意見もある。



臨床研究法の施行状況、革新的な医薬品等の開発推進に資する臨床研究の促進の視点に基づき、研究の信頼性確保とのバランスも踏まえ、以下の2つのテーマを中心に検討を進めてはどうか。

【革新的な医薬品等の研究開発の推進】

○ 臨床研究実施体制の国際整合性

- ・研究全体の責任主体概念について
- ・臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用について
- ・いわゆる観察研究に関する臨床研究法の適用範囲について
- ・疾病等報告の取扱いについて

○ 研究の法への該当性の明確化

- ・適応外薬に関する特定臨床研究の適用範囲について
- ・医療機器に関する臨床研究の適用範囲について

○ 手続きの合理化

- ・届出・変更手続きの合理化、届出提出のオンライン化について
- ・利益相反申告手続きの適正化について

【研究の信頼性確保】

○ 透明性の確保

- ・利益相反申告手続きの適正化について(再掲)
- ・研究資金等の提供に関する情報公表の範囲について
- ・重大な不適合の取扱いについて

○ 研究の質の確保

- ・臨床研究審査委員会の認定要件について

臨床研究法施行5年後の見直しの検討に係る中間整理の概要

I. 革新的な医薬品等の研究開発の推進

1. 臨床研究実施体制の国際整合性

(1) 研究全体の責任主体 (sponsor) 概念について

- **多施設共同研究において、「試験全体の計画・運営の責任を負うべき者」を位置づけ、監査、モニタリング、疾病等報告等の判断を一元化**すべき。
- 当該者について、その主体や具体的な役割等、詳細については引き続き検討すべき。

(2) 特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用について (医薬・生活衛生局)

- 厚生労働省 (薬事担当) において、個別品目をパイロット的に取り上げて検討中。
- 検討・精査が終わった後、特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に活用する場合の要件、留意点等を取りまとめて公表予定。

(3) いわゆる観察研究に関する臨床研究法の適用範囲について

- **観察研究のうち、研究の目的で行われた検査等について、患者の身体又は精神に負担が大きい研究以外は、臨床研究の定義から除外。**
- 臨床研究の定義から除外されない、研究の目的で行われた「侵襲等が大きい等」の検査等については、引き続き情報を収集し、具体的に例示すべき。

(4) 疾病等報告の取扱いについて

- 疾病等報告主体については、スポンサー概念と合わせて検討すべき。
- 報告期日については、研究対象者の保護の観点に留意しつつ、合理的な期日について引き続き検討すべき。

2. 研究の法への該当性の明確化

(1) 適応外薬に関する特定臨床研究の対象範囲について

- **適応外の研究であっても、そのリスクが承認内容と大きく変わらないものについては、特定臨床研究の範囲から除外**する方向で見直すべき。
- 除外の対象については、根拠となる情報に基づき、厚生労働省が専門家の意見を聴取する方向で制度を構築すべき。

(2) 医療機器に関する臨床研究法の適用範囲について

- 適応外の医療機器において、医療機器の多様化も考慮し、究の実態等を調査した上で引き続き検討すべき。

3. 手続の合理化

(1) 届出・変更手続きの合理化、届出のオンライン化について

- **現行法において、変更の届出が必要な項目のうち、研究の本質に関わらないような事項は軽微変更**とすべき。
- **届出事項としなくても、jRCTに掲載誌、公開できれば良い項目**を整理し、実施計画とjRCTへの掲載項目を分離すべき。
- 届出のオンライン化、jRCTの改修に着手すべき。

(2) 利益相反申告手続の適正化について

- COI管理については、研究者自身の責務であることが原則であり、虚偽申告が発覚した場合は重大な不適合の対象とすべき。
- COIを客観的かつ容易に確認できる手段として、DBの構築やその利用方法について引き続き検討すべき。

II. 研究の信頼性確保

1. 透明性の確保

(1) 利益相反申告手続の適正化について（再掲）

- **COI管理については、研究者自身の責務であることが原則**であり、虚偽申告が発覚した場合は重大な不適合の対象とすべき。
- COIを客観的かつ容易に確認できる手段として、DBの構築やその利用方法について引き続き検討すべき。

(2) 研究資金等の提供に関する情報公表の範囲について

- 情報提供関連費及び接遇費を情報公表範囲に追加すべきかについては、特定臨床研究に関与している企業における業界自主ガイドラインの普及状況等を整理し、当該費用提供が臨床研究の不正につながる蓋然性や更なる法規制を行う必要性について引き続き検討すべき。

(3) 重大な不適合の取扱いについて

- 特定臨床研究において、重大な不適合が発生した場合には、研究機関の長に公表を求めることとする。

2. 研究の質の確保

(1) 臨床研究審査委員会の認定要件について

- **更新要件については、これまでの開催回数の要件を見直すとともに、新規の審議件数を要件に加えるべき。**
- **当面、新規の審議件数は3年間で6件以上（ただし、毎年1件以上）、かつ、開催回数については毎年7回以上**とする。ただし、疾病等報告等、迅速に取り扱う議題がある場合には、要件に関わらず、迅速な開催を求めることとする。
- **要件を満たさない場合は、廃止に向けた円滑な準備を進めていただくこととする。**
- 今後、定期的にCRBの活動状況を確認しそれらを分析した上で、必要な見直しを行っていく。

- 
- 厚生労働省において、見直しの検討を進めるとともに、現行制度の運用の改善で対応できること等については、早急に取り組むべき。
 - 一部については、新たな調査や特別研究を継続しつつ、引き続き、臨床研究部会において検討を進める。

再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループとりまとめ

- 再生医療等安全性確保法においては、施行5年以内に見直しを検討することとされている（法附則第2条）。このため、再生医療等評価部会において、令和元年7月から検討を開始し、同年12月25日に中間整理を公表。
- 中間整理において、①遺伝子治療（*in vivo*）に対する法的枠組みや、②再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等については、引き続き検討を進めるとされたことを踏まえ、令和2年4月にワーキンググループを設置するとともに、特別研究を実施。
- 今般、ワーキンググループにおいて、特別研究班の最終報告を受けて検討結果をとりまとめ。

1. 遺伝子治療（*in vivo*）に対する法的枠組み

現状・課題

- 再生医療等安全性確保法は細胞加工物を用いる医療技術を対象としており、*ex vivo*遺伝子治療（※1）については、臨床研究、自由診療のいずれの場合も法が適用される。
- 一方、*in vivo*遺伝子治療（※2）については、臨床研究として行われる場合は臨床研究法及び遺伝子治療等臨床研究に関する指針の対象となるが、自由診療として行われる場合は特段の法的枠組みは設けられていない。
- *in vivo*遺伝子治療については、*ex vivo*遺伝子治療と同様に、
 - ・ 安全面や倫理面の課題
 - ・ 後世代への遺伝的影響
 - ・ 治療に用いるウイルス等による生物多様性への影響等の課題があると考えられる。

（※1）遺伝子工学的改変を行った細胞を体内に投与する治療法

（※2）遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を直接体内に投与する治療法

検討事項

- 法の対象とする遺伝子治療技術の範囲
- 細胞医療と遺伝子治療の法的枠組みのあり方
- 遺伝子治療の提供に求められる手続

2. 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等

現状・課題

- 再生医療等安全性確保法では、再生医療等技術をリスクに応じて第1種再生医療等技術（※1）、第2種再生医療等技術（※2）、第3種再生医療等技術（※3）と分類し、提供基準の遵守や提供計画の提出など、リスクに応じた手続を課している。
- 医療技術の進展に伴う再生医療等を取り巻く状況の変化等を勘案し、現在の再生医療等技術のリスク分類が適切であるか、法の適用除外範囲や各リスク階層の手続が適切であるかについて、当該技術のリスクと手続に係る負担等を比較衡量しつつ、専門的な見地から検討すべきと考えられる。

（※1）胚性幹細胞（ES細胞）や人工多能性幹細胞（iPS細胞）、遺伝子を導入又は改変する操作を行った細胞、投与を受ける者以外のヒトの細胞に培養その他の加工を施したものをを用いる医療技術

（※2）培養した幹細胞・細胞や、細胞の相同利用ではないものをを用いる医療技術

（※3）多血小板血漿（PRP）を用いた医療技術（相同利用のもの）など、第1種・2種以外の再生医療等医療技術

検討事項

- 法の適用除外
- リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直し
- 他家細胞を用いた再生医療等技術のリスク分類の見直し
- 再生医療等技術のリスク分類の考え方の検討
- 新規医療技術（エクソソームを含む細胞外小胞）への対応

遺伝子治療(*in vivo*)に対する法的枠組みについて とりまとめ

法の対象とする遺伝子治療技術の範囲

- 遺伝子治療等臨床研究指針で定義する ***in vivo* 遺伝子治療を含めた「遺伝子治療等」技術について、再生医療等安全性確保法の範囲に含める**。「関連技術」については、「遺伝子治療等」技術とリスクが近似する「ゲノム編集技術を応用した技術」を法の対象範囲とする。
- **今後の遺伝子治療及び関連技術の急速な進歩を見据え、技術やリスクが近似するものに対しても、迅速に対応できる法体系とすることができないか検討する。**

細胞医療と遺伝子治療の法的枠組みのあり方

- 従来の「細胞医療（*ex vivo*以外） + *ex vivo* 遺伝子治療」の枠組みに加え、*in vivo* 遺伝子治療のリスクに着目した新たな法的枠組みを整備する。
- また、細胞医療にも *in vivo* 遺伝子治療に近いリスクを抱えた技術が今後出現する場合に備え、例えば、*in vivo* 遺伝子治療で求められるものと同等の手続を課すなど、その技術を想定した法的枠組みをあらかじめ設けておくことも考えられる。

遺伝子治療の提供に求められる手続

- 現行の再生医療等安全性確保法の手続を前提とし、審査を行う委員会、遺伝子治療を提供する医療機関、ウイルスベクター等の製造・管理や取扱業者において、**遺伝子治療の提供に必要な手続を求める**。例えば、委員会には、「組換えDNA技術を用いたウイルスベクター製造等の組換え生物の取扱いについて識見を有する者」及び「遺伝子治療の人への影響について十分な科学的知見及び識見を有する者」の参画を求めるなどが考えられる。また、**カルタヘナ法の手続については、重複を避け一体的な審査とする**。
- なお、ウイルスベクターの製造所や、細胞への遺伝子導入にウイルスベクターを使用する細胞培養加工施設、ウイルスベクター等を使用する医療機関において、再生医療等安全性確保法上、追加的に求める要件はないことが確認された。

再生医療等のリスク分類・再生法の適用除外範囲の見直し とりまとめ

法の適用除外

多血小板血漿を利用する第3種再生医療等技術について、**薬機法に基づき適応症を含む承認を取得した医療機器をその適応範囲内で利用する場合においては、再生医療等安全性確保法の適用範囲から除外**する。

リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直し

リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直しは現状は行わない。将来的に、安全性・妥当性に関する科学的知見が集積した段階で、再生医療等安全性確保法で求められる手続の見直しを検討する。

他家細胞を用いた再生医療等技術のリスク分類の見直し

他家間葉系幹細胞を利用した技術については、引き続き、第1種再生医療等技術として位置づけることとする。
将来的に、再生医療等安全性確保法の下で科学的知見が集積した段階で、第1種再生医療等技術として求められる手続の見直しを検討する。

他家細胞を用いた技術のうち、**先進医療を経て保険収載された治療等については、国の審査等の手続の合理化**について検討する。

再生医療等技術のリスク分類の考え方の検討

再生医療等技術のリスク分類については、将来的に科学的知見が集積した段階で、改めてリスク分類の考え方を検討する。

新規医療技術（エクソソームを含む細胞外小胞）への対応

エクソソーム等については、細胞断片として整理されるものであり、ヒトへの投与物としての明確な定義づけが困難であることや、諸外国における規制状況等も勘案し、現時点においては、エクソソーム等を再生医療等安全性確保法の対象とはしない。今後の医療技術の進展を踏まえ、必要に応じ検討する。