

# 革新的医薬品開発にかかる 厚生労働省の取組

厚生労働省

大臣官房厚生科学課、医政局、医薬・生活衛生局

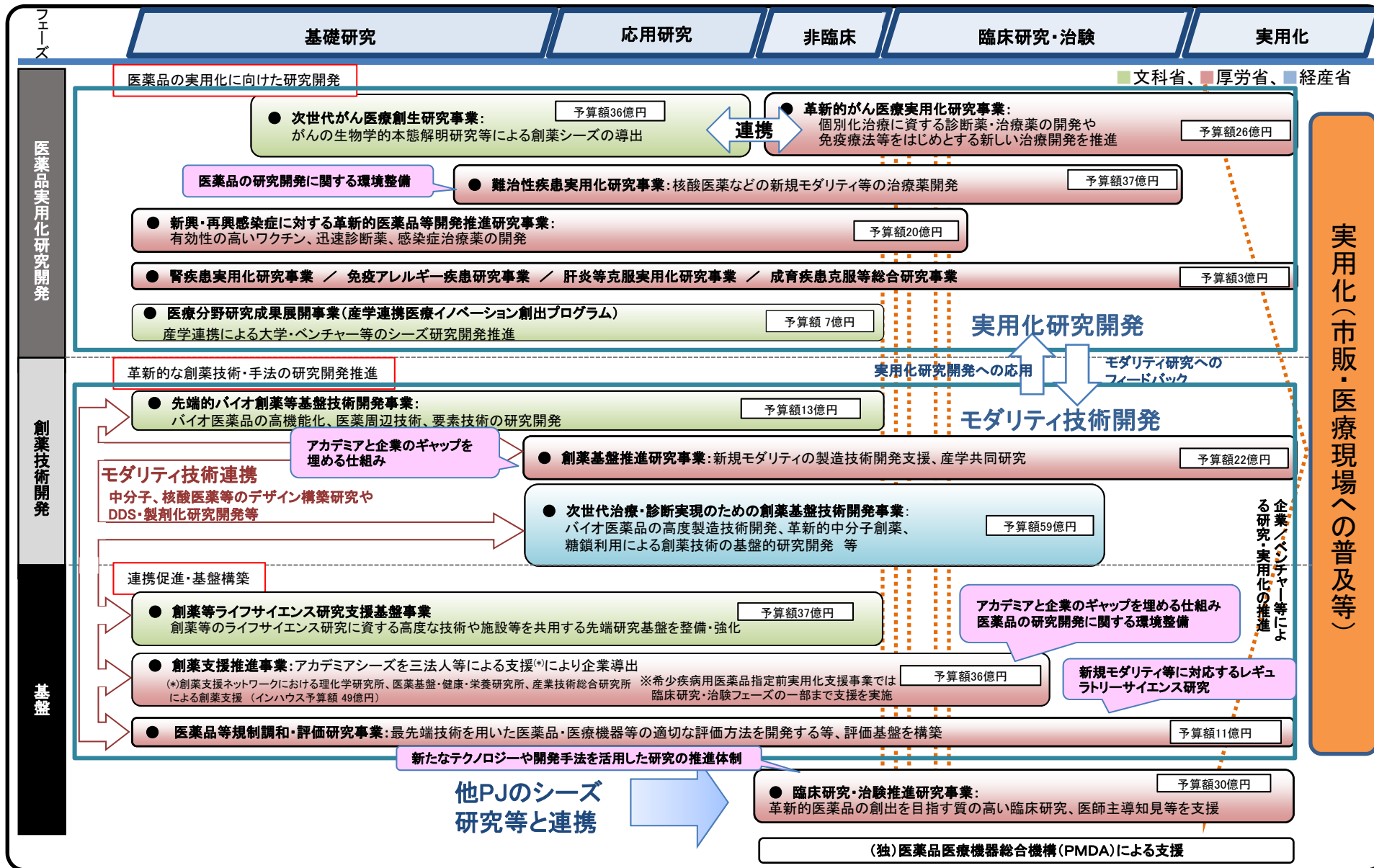
令和2年12月23日 第2回医薬品開発協議会

# 医薬品に係るAMED研究の全体像

## 1. 医薬品プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和2年度予算額335億円

インハウス研究機関経費  
令和2年度予算額49億円



# アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み① ～革新的シーズの実用化～

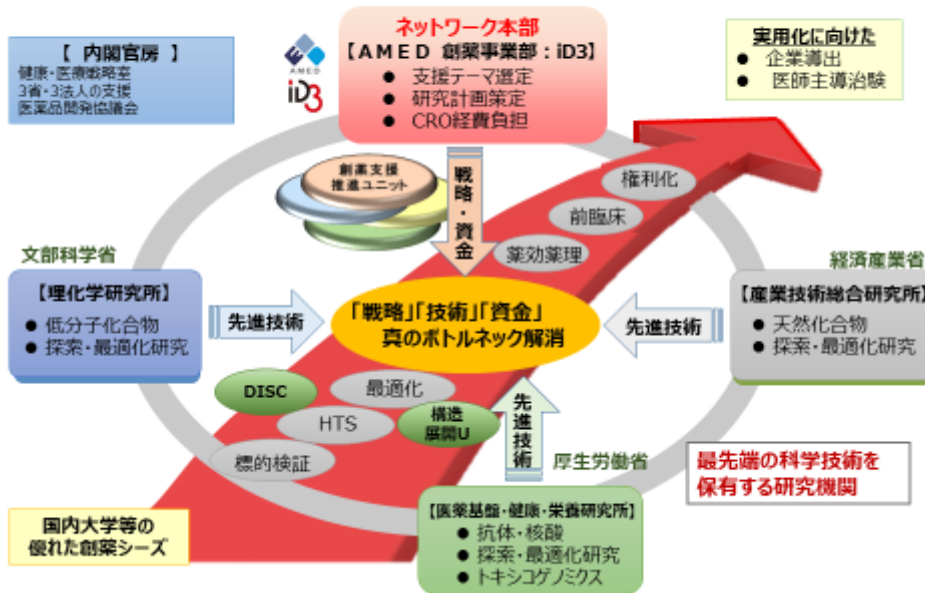
## 第1回協議会におけるご指摘

「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（創薬プースター）



## 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	硫酸抱合型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索	齋藤 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

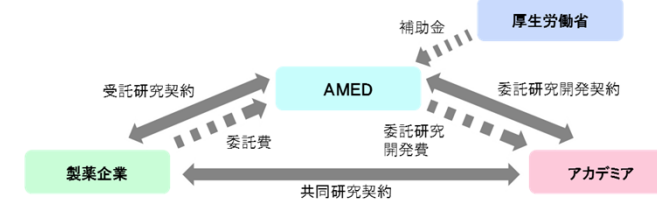
## 創薬基盤推進研究事業

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

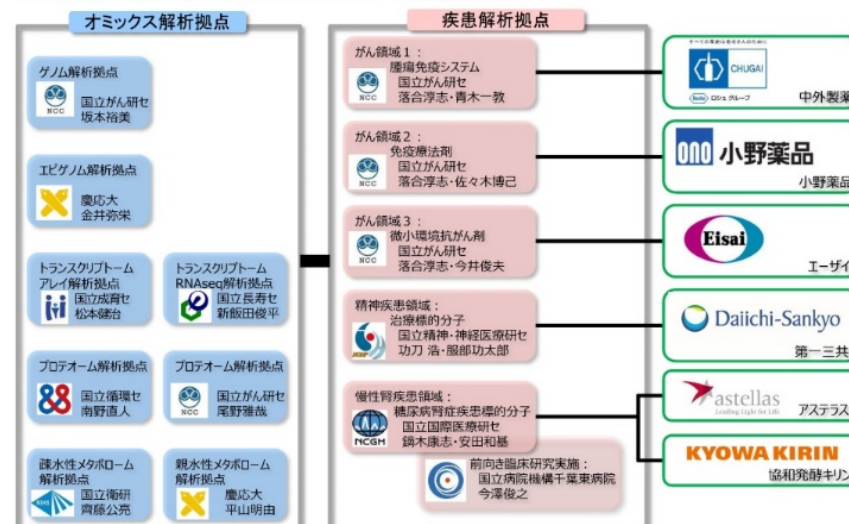
### GAPFREEプロジェクトの仕組み



### 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】多層の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



# アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み② ～ベンチャー支援～

## 第1回協議会におけるご指摘

ベンチャー、ベンチャーキャピタル、CRO/SMO等によるオープンイノベーションのエコシステム、マッチングの仕組み

## 医療系ベンチャー振興のための取組

### 報告書における振興方策のための3つの柱と、具体的な取組

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"> <li>革新的医薬品及び革新的医療機器の早期承認制度を導入</li> <li>2018年度薬価制度改革において、ベンチャー企業の特性を踏まえたイノベーション評価等を導入</li> <li>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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>2020年度予算事業として、以下を実施                     <ul style="list-style-type: none"> <li>ベンチャー企業等からの相談応需や人材支援等の事業（ベンチャー・トータルサポート事業）を実施</li> <li>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「<b>ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット</b>」を開催（2020年度は10月に開催）</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>医政局経済課にベンチャー等支援戦略室を設置（2017年4月）</li> <li>PMDAにイノベーション実用化支援業務調整役（部長級）を配置</li> <li>支援施策について検証するとともに、より効果的な事業のあり方について意見を聴取し、今後の施策に反映させるため、「<b>医療系ベンチャー振興推進会議</b>」を開催等</li> </ul>

## 振興方策を強化するための取組

### 1. 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、**2019年度より、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」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さらなる推進を図る。

### 3. 医療系ベンチャー振興推進会議による施策の検証

年3回程度の会議における議論を通じて、支援施策の効果の検証等を行い、改善につなげるPDC Aサイクルの構築を図る。

## MEDISO 相談実績（2018年2月5日～2020年10月31日）

相談者属性内訳		相談製品内訳		STEP別件数内訳	
相談者	件数	製品等	件数	STEP	のべ件数
ベンチャー企業	264件	医薬品	122件	STEP1.問合受付	529件
アカデミア	77件	医療機器	244件	STEP2.事前面談	455件
その他 (アカデミアを除く個人等)	117件	再生医療等製品	51件	STEP3.サポーター面談	257件
合計	458件	その他	112件	STEP4.フォローアップ	264件
		合計	529件		

(集計期間：2018年2月5日～2020年10月31日)

## 医療技術実用化総合促進事業

### 医療系ベンチャー育成支援プログラム

すべての臨床研究中核病院にベンチャー支援部門を設置し、ベンチャー企業に対する研究開発の支援や共同研究を実施。



医学的評価（クリニカルニーズ、臨床実態を踏まえた助言等）  
臨床研究支援機能の提供（プロトコル作成支援、薬事に関する相談、治験実施に係る協力等）等

## ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2020

### 開催概要

#### ○日時・場所

2020年10月14日(水)～16日(金)にパシフィコ横浜で開催

#### ○来場者数（同時開催イベントとの合計数）

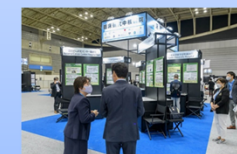
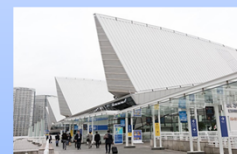
13,787人  
(2019年：17,512人 2018年：16,039人、2017年：15,711人)

#### ○出展者数（共同出展者含む）

112団体  
(2019年：126団体 2018年：105団体、2017年：69団体)

#### ○マッチング成立数（パートナーリングシステムによる面談件数）

1,188件





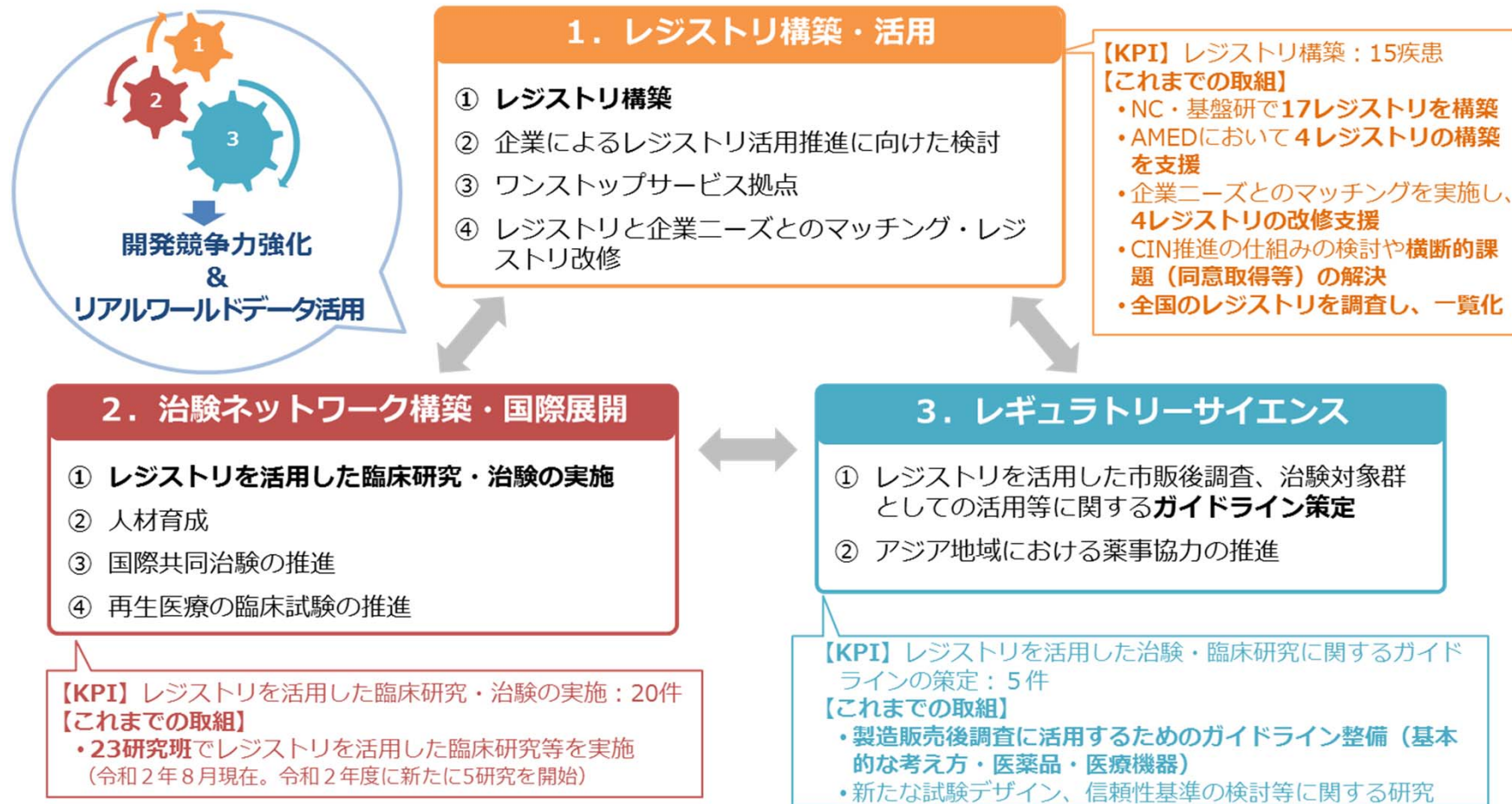
# 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

## 第1回協議会におけるご指摘

RWD(real world data)の利用の推進に向けて希少疾患領域における治験との組み合わせによる申請パッケージの多様性を推進してはどうか。

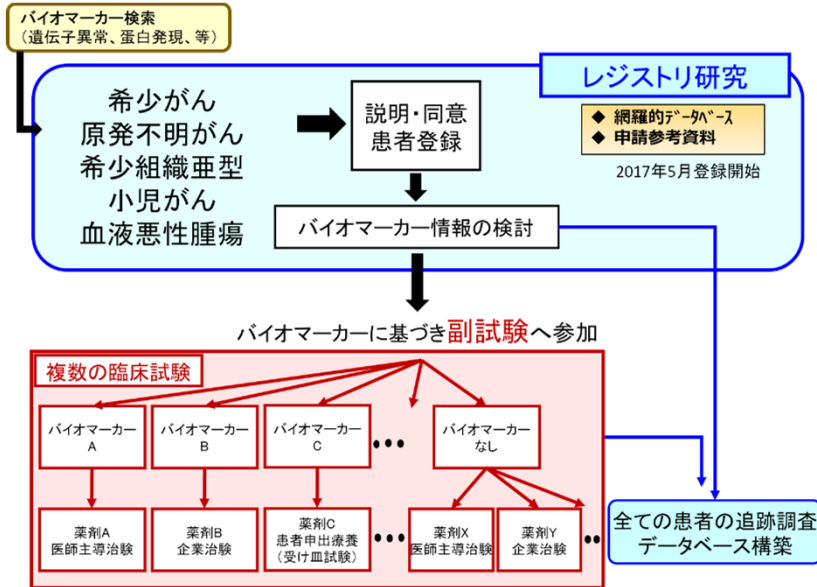
## CIN（クリニカル・イノベーション・ネットワーク）の取組

### 具体的な取組



# CIN (クリニカル・イノベーション・ネットワーク) の成果 (例)

## MASTER KEY プロジェクト



### 副試験 (2020年1月末時点)

Study type	Target Biomarker or Disease	Study drug	Progress	Open date (anticipated)
企業	BRAF V600E	Dabrafenib + Trametinib	Ongoing, not recruiting	2017/11
医師主導	dMMR/MSI-high	Nivolumab	Ongoing	2018/4
医師主導	All rare cancers	Nivolumab	Ongoing	2018/4
医師主導	HER2 Carcinosarcoma	DS-8201a	Ongoing	2018/1
医師主導	ALK	Alectinib	Ongoing	2018/7
企業	Malignant mesothelioma	Ad-SGE-REIC	Ongoing	2018/8
企業	Adenoid cystic carcinoma	Liposomal Eribulin	Ongoing, Not recruiting	2018/8
医師主導	Intimal Sarcoma (MDM2)	DS-3032b	Ongoing	2018/12
企業	NTRK Fusion Pediatric	Larotrectinib	Ongoing	2019/10
医師主導	NK/T-cell lymphoma, nasal	Atezolizumab	Ongoing	2020/1
企業	FGFR alteration solid cancers	TAS-120 (futibatinib), pembrolizumab	Ongoing	2020/1
医師主導	Pediatric Cancer	Drug A	In preparation	2020/3
医師主導	Disease B	Drug B	In preparation	2020/6

## Remudy (Registry of muscular dystrophy)



### 実用化の成果

- 核酸医薬品ビルトラルセンのFirst in Human試験で患者リクルートに利用
- ビルトラルセンの製造販売後調査にも活用

第6回臨床開発環境整備推進会議 (令和2年3月27日)

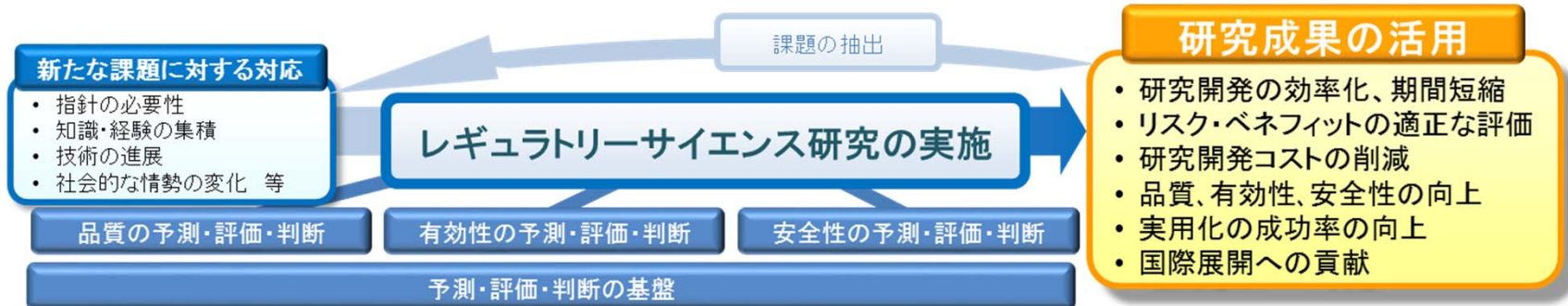
資料1-2, 2-2 抜粋

# 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

## 第1回協議会におけるご指摘

革新的な技術に対する評価技術の開発や標準化が必要

## 医薬品等規制調和・評価研究事業



### 令和3年度研究の概要

新規公募課題を大きく3つのテーマにまとめる。公募研究の例を示す。

#### ○新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

核酸医薬品や中分子医薬品等の新規モダリティ医薬品の品質・安全性の具体的な評価手法を開発し、審査指針の根拠となる科学的データをまとめる。

#### ○医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

ヒトiPS細胞等を用いて、毒性を評価する手法を開発し、バリデーションを経て国際標準化を行う。

#### ○医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

先端的分析技術・センシング技術等を用いたプロセス解析学的技術の、医薬品等の評価要件・技術要件を明確化し、原薬の連続生産など革新的製造技術の導入を促進する。

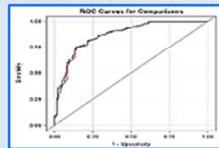
### 研究の成果・活用

- 新規モダリティ医薬品の品質・安全性評価手法確立による開発環境の整備
- ヒトiPS細胞等を用いた毒性評価法の国際標準化
- 先進技術を用いた評価技術の確立による、高品質な医薬品の国内安定供給

最先端技術を用いた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等の実用化を促進

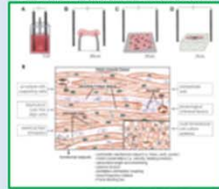
これまでの成果等

### ヒトiPS分化細胞技術を活用した医薬品の次世代毒性・安全性評価試験系の開発と国際標準化に関する研究(平成27～29年度、平成30～令和2年度)



Blitovs et al., Cell Reports, 2018  
図1: 国際検証試験における不整脈リスク予測精度

- ▶ ヒトiPS細胞由来心筋を用いた薬剤性不整脈の予測評価系の国内・国際検証試験を実施し、ICH E14/S7Bにおける議論へ貢献(図1:平成30年11月)。
- ▶ CIPA-イニシアチブ会議にて本研究班がセッションを企画。薬物濃度としてフリー体を用いた日本のデータの適用により、不整脈予測精度がさらに向上することを実証(ROC曲線下面積0.872→0.978)。
- ▶ 多点電極法を用いたベストプラクティスに関する論文を発表(Regulatory Toxicology and Pharmacology; 令和2年8月掲載)。ベージングによる評価系の開発も継続中。

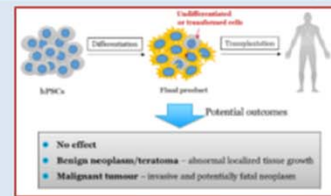


Riballo et al., Frontiers in Pharmacology, 2019  
図2: ヒトiPS細胞由来心筋細胞を用いた心収縮評価法

- ▶ iPS細胞由来心筋を用いた心収縮評価法を開発。また、FDA・NIH等とともに協働でコンセプトペーパーを作成(図2:令和元年8月)。

### 細胞加工製品の造腫瘍性評価における多施設共同研究(平成29年度～令和元年度)

- ▶ 細胞加工製品の造腫瘍性関連試験法の多施設における比較・検証を官民共同体制(MEASUREプロジェクト)で実施し、当局を含めた関係者間で造腫瘍性評価の考え方や試験法におけるコンセンサスを構築。
- ▶ 国際コンソーシアム(HESI: Health and Environmental Sciences Institute)にて意見交換を行い、留意点文書として発表(図3:令和元年11月)。



Sato et al., Cytotherapy, 2019

図3: 細胞加工製品の造腫瘍性



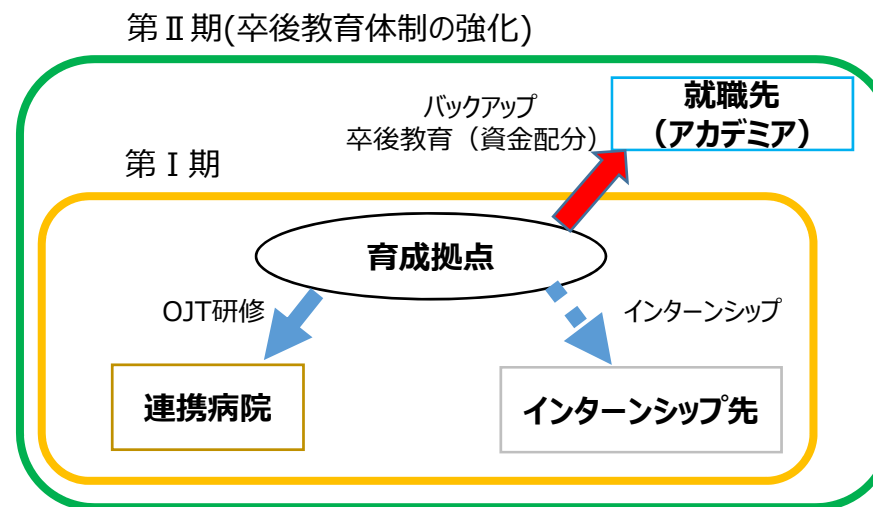
# 人材育成① ～生物統計家の育成～

## 第1回協議会におけるご指摘

生物統計家は種々の取組にもかかわらず依然として不足

## 生物統計家育成支援（臨床研究・治験推進研究事業）

- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基とし、産学官が一体となった環境整備事業
- 生物統計に係る修士号を付与できる大学院から、東京大学と京都大学を育成拠点として選定
- 座学に加えて病院のOJTカリキュラムの追加を必須とし、また就職先候補も兼ねインターンシップ機関とも連携
- R3年度以降（第Ⅱ期）から取り組む課題
  - ① 卒後教育体制の強化
  - ② 社会人入試（Uターン人材の確保）



大学院 (座学)	東京大学大学院	京都大学大学院
連携病院 (実地研修)	東京大学医学部附属病院 国立がん研究センター	京都大学医学部附属病院 国立循環器病研究センター
インターンシップ 機関	東京大学病院、国立がん研究センター、北海道大学、新潟大学、東邦大学、順天堂大学、岡山大学、聖路加国際大学、国立国際医療研究センター、九州大学	京都大学病院、国立循環器病研究センター、北海道大学、神戸大学
学位の種類・分野	修士（学際情報学）	社会健康医学修士（専門職）
第Ⅰ期生の 修了人数	10人	10人
第Ⅰ期生の アカデミア就職人数	8人	7人



## 人材育成② ～治験等人材の定着の仕組み～

### 第1回協議会におけるご指摘

アカデミアや治験実施医療機関等において、研究や治験実施に必要な人材の長期的雇用や評価に基づくポストや収入を可能とする仕組み

### 臨床研究中核病院制度

○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2年4月現在で、13病院を承認



令和2年4月からの臨床研究中核病院の承認要件（令和2年4月から 抜粋）

#### 人員要件

○臨床研究に携わる人員数（臨床研究支援・管理部門等に所属する人員数）

・医師・歯科医師 5人

・薬剤師 **5人**

・看護師 **10人**

・臨床研究の実施支援者 専従**24人**

臨床研究コーディネーター(CRC) / モニター / プロジェクトマネージャー (スタディーマネージャー) / 治験・臨床研究調整業務担当者 / 研究倫理相談員 / 臨床検査技術・品質管理者 / 研究監査担当者 / メディカルライター

・データマネージャー 専従3人

・生物統計家 専任2人  
常勤換算でエフォート合計2人

・薬事承認審査機関経験者 専従1人

# 医薬品の研究開発に関する環境整備①

## 第1回協議会におけるご指摘

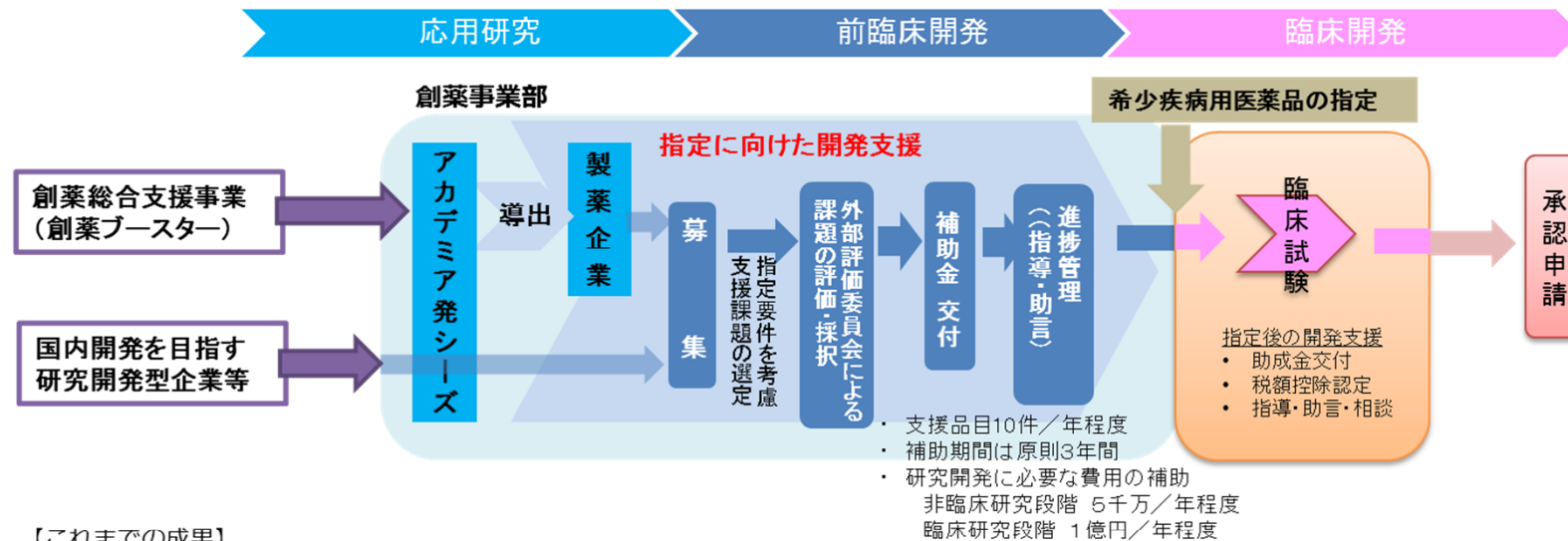
企業が手を出しにくい希少疾患・難病分野への支援の強化

## 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

### 【概要】

希少疾病領域の医薬品研究開発を支援し、より迅速かつ効率的な医薬品開発を可能とする

- 希少疾病用医薬品としての厚生労働大臣指定前の開発企業を対象とした独自性のある開発支援
- 企業による開発を伴走型で支援し、高い成功確率を目指した創薬の実現



### 【これまでの成果】

- 支援していた課題の希少疾病用医薬品指定 1件 (令和元年度)

課題名「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」  
(代表機関：クリングルファーマ株式会社) (H28～30年度支援)

### (概要)

- 根本的な治療法のない脊髄損傷に対し、組換えヒトHGF (肝細胞増殖因子：Hepatocyte growth factor\*) タンパク質を有効成分とする脊髄損傷急性期治療薬の開発を目指すもの。
- 本事業では、脊髄損傷急性期を対象とする第I/II相試験 (多施設共同プラセボ対照二重盲検比較試験) を実施し、本剤の安全性が確認され、かつ有効性を示唆する結果が得られた。
- 令和元年9月に希少疾病用医薬品に指定。

\* 細胞増殖の促進など組織・臓器の再生と保護を担う生理活性物質

# 医薬品の研究開発に関する環境整備②

## 第1回協議会におけるご指摘

日本を起点とするような国際共同治験の枠組み等の臨床試験を実施する仕組みの構築

## 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

- アジア諸国における国際的な技術水準を確保する治験実施拠点整備の必要性については、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」（令和元年6月20日健康・医療戦略推進本部決定）においても言及されてきたところであるが、今般のCOVID-19拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな臨床研究・治験体制構築の必要性が改めて明らかになった。
- これを受け、日本主導の国際共同治験の強化へつなげ、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を進めているところ（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（臨床研究・治験推進研究事業））。
- 当該事業において、ソフト面（現地教育研修）及びハード面（現地拠点構築）の整備を行っているが、安定的に臨床研究・治験が実施可能な基盤の構築に当たっては、持続性や実施体制の拡大が必要となる。
- 本事業においては、これらの背景を踏まえ、**整備した基盤の継続性の確保及び更なる拠点の整備を推進し**、日本主導の国際共同臨床研究・治験の強化を図る。

## アジア地域の臨床研究・治験体制整備の推進

日本主導の国際共同治験の強化

治療薬等の開発・供給の加速



補助事業課題名	代表機関
感染症分野における日本とアジア諸国の国際研究開発協力を促進する臨床研究・治験プラットフォーム形成と実証事業	国立研究開発法人国立国際医療研究センター
アジアがん臨床試験ネットワーク構築に関する事業	国立研究開発法人国立がん研究センター
アジアオンライン創薬ネットワークに関する事業	国立大学法人京都大学