

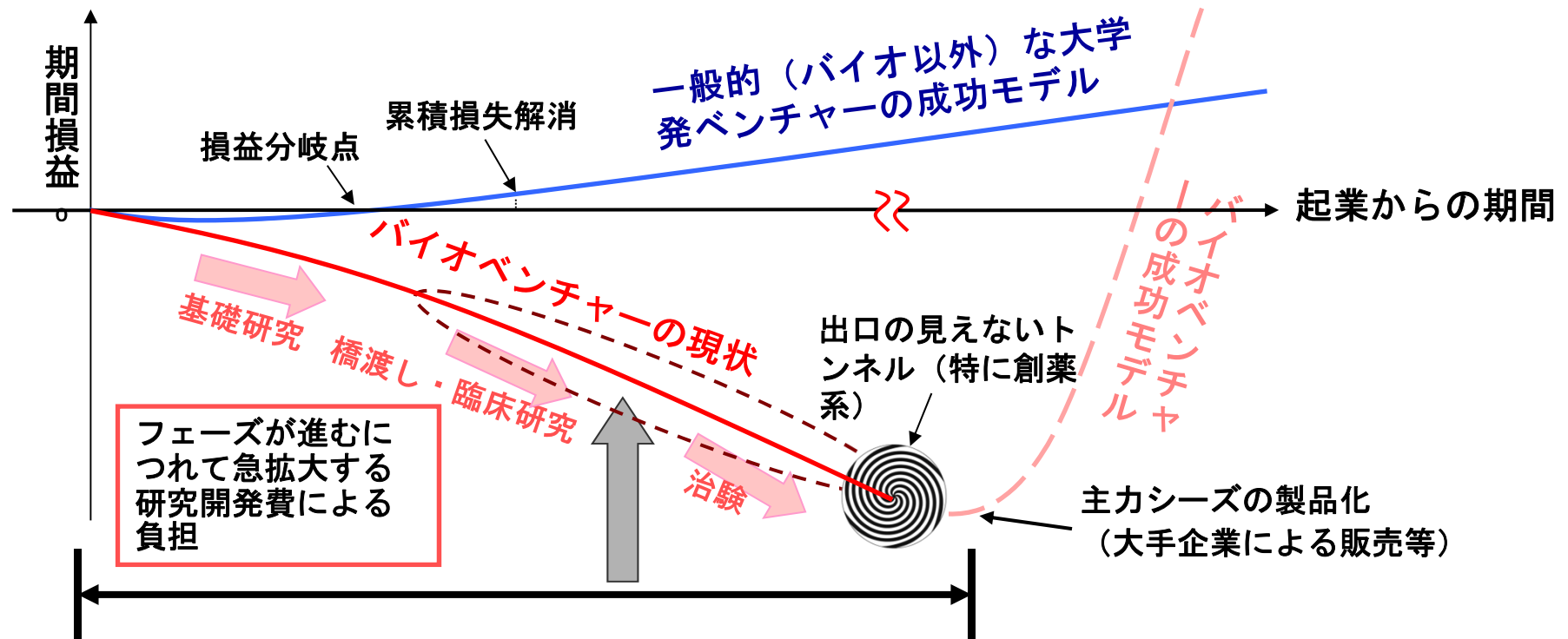
世界最高水準医療の
国民への提供を目指して
成長産業育成と迅速な提供

平成25年3月18日

大阪大学大学院医学系研究科
臨床遺伝子治療学
森下 竜一

日本のイノベーション促進のためには

- ①多額の資金を要する橋渡し以降の段階での研究開発費の支援、②製品化までの期間短縮が必要



①**資金面でのサポート**（ファンド-官民ファンド、革新機構活用、IPO市場の整備、創薬コンソーシアム形成）

②**製品化までの期間の短縮**（PMDA 改革&日本版NIH、迅速承認制度、治験・TR施設の充実、GMP施設の整備）

医療改革の方向性

医薬品
医療機器



審査の迅速化・明確化
(日本版SPA)

条件付き
承認制度

オーファン
制度拡充

イノベーション促進薬
価制度

大学発VB育成

産学連携推進

難病治療薬開発
(アジア向け)

サプリメント
ヘルスケア用品



効能表示

(現状では認められない)

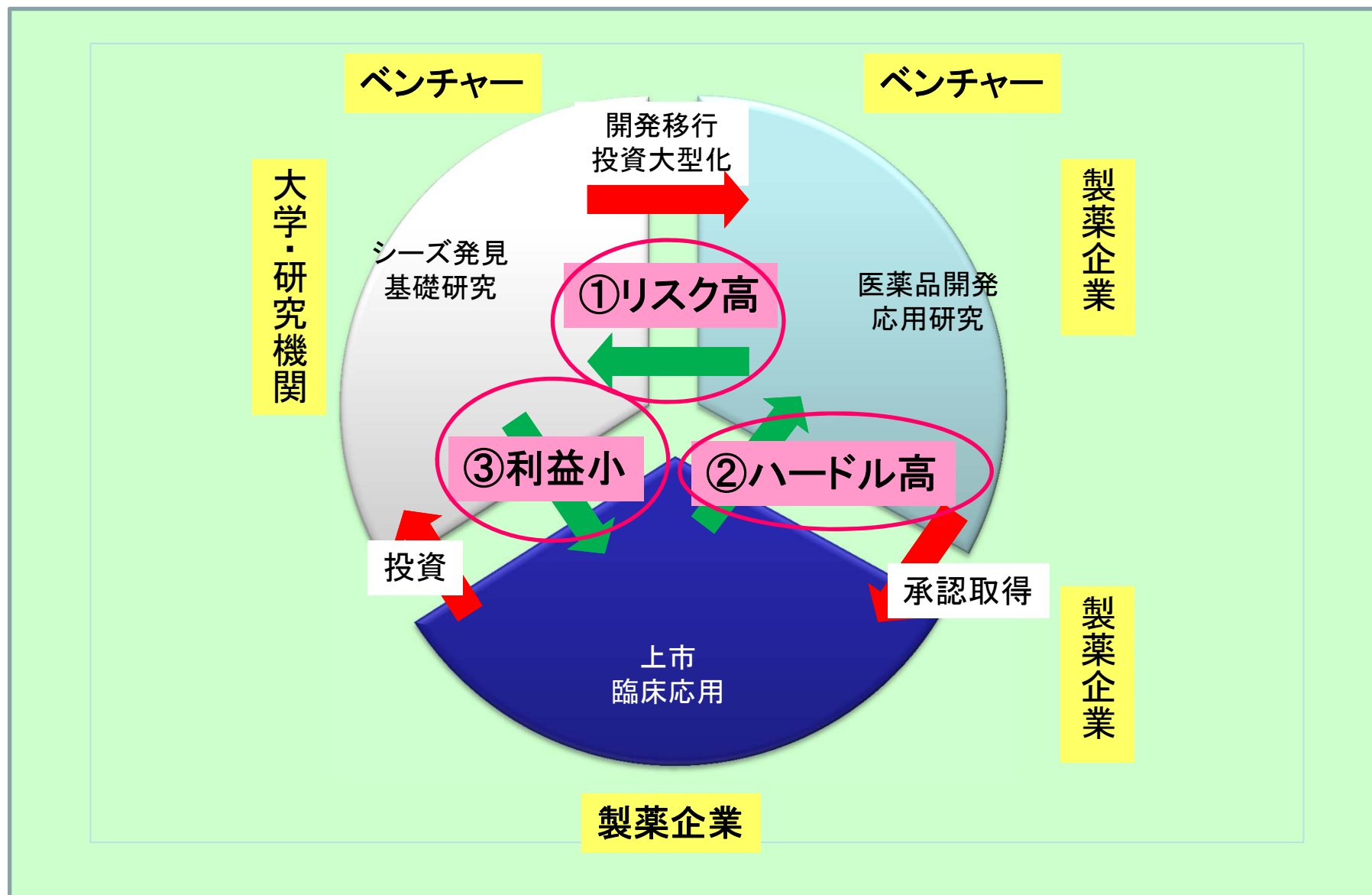
機能性表示
制度
安全性表示

医療費削減

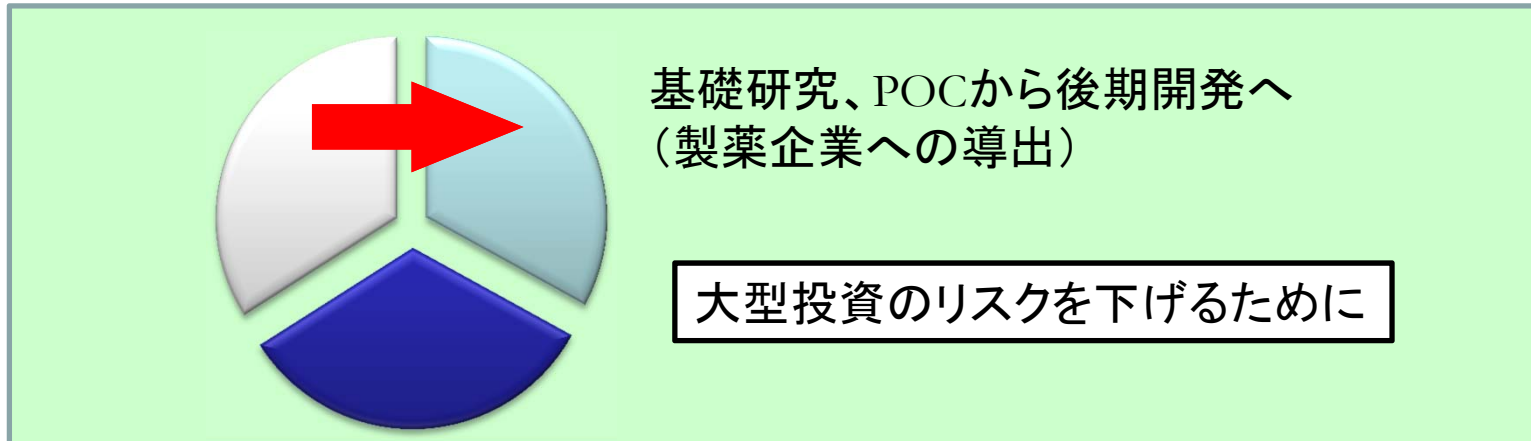
輸出産業
育成

国内雇用
促進

医薬品・医療機器における規制改革 プレーヤーとサイクル阻害要因



提言①



• オーフアンドラッグの開発振興制度の拡充

- (1) 患者数が5万人未満 ← 通常は「診断名」で判断。「重篤な〇〇」は原則NG
- (2) 医療上の必要性が高いこと。
- (3) 開発の可能性が高いこと。 ← 臨床データが必要。FIM試験段階では原則NG

どんどん進む海外でのイノベーション医薬品(遺伝子治療薬品)

欧州	Glybera® uniQure社 2012年11月承認
ロシア	Neovasculgen® HSCI社 2011年7月承認
中国	Gendicine® Sibiono GeneTech社 2003年10月 承認。 Oncorine® Sunway Biotech社 2005年11月 承認

提言②



後期開発から、上市・臨床応用へ
(承認取得)

承認取得までたどりつくために

- **日本版SPA制度の新設**

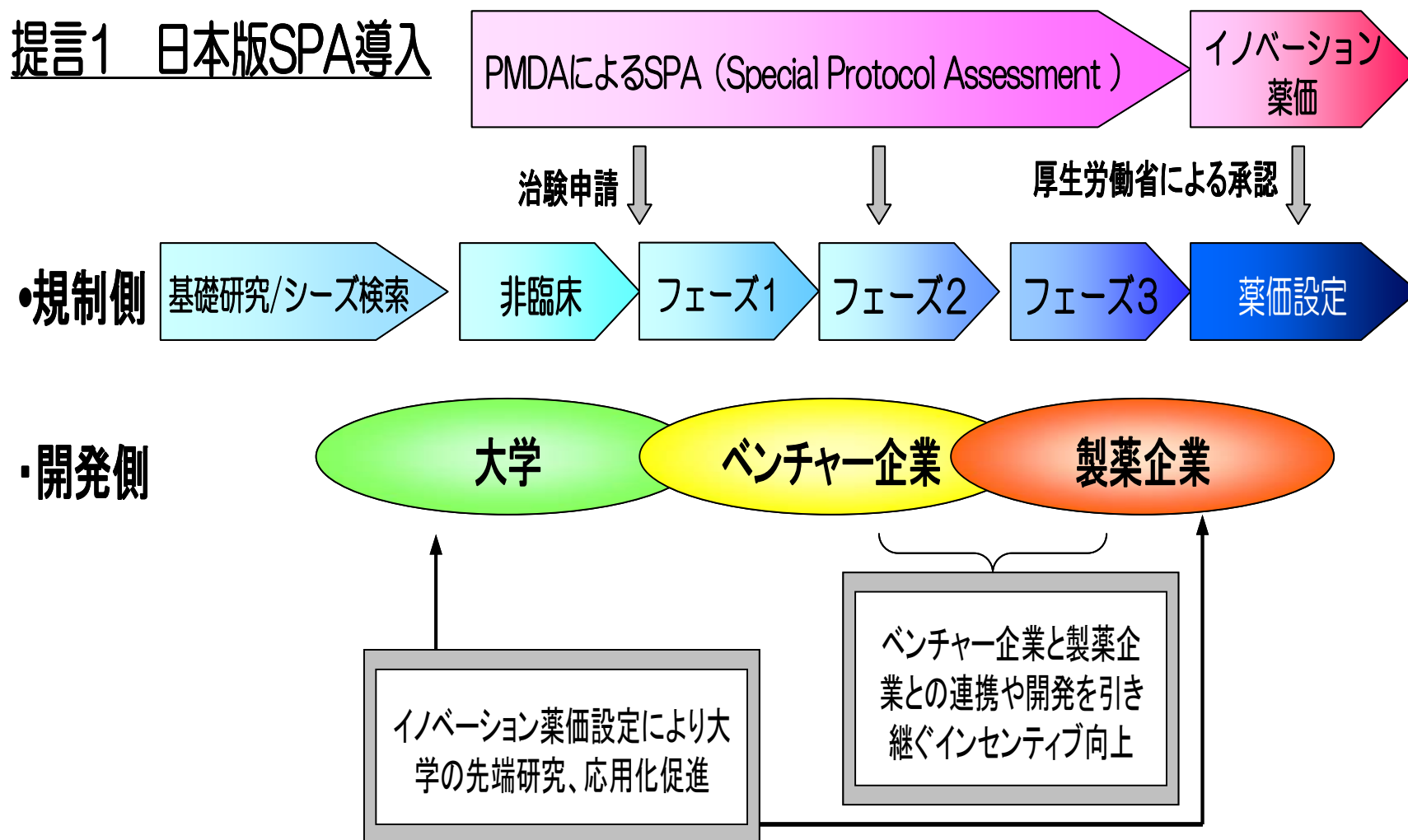
SPA (Special Protocol Assessment) とは、FDA と申請者の間で第Ⅲ相臨床試験前に、対象疾患、目的、試験デザイン(エンドポイント(評価項目)、用法・用量、症例数)、解析方法などの詳細な取り決めに関して事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認めるという米国の制度

- **条件付販売承認制度の新設**

条件付き販売承認: 生命を脅かす病気に対して有望と考えられる薬剤を、患者さんへのベネフィットが正式に証明される前であっても、予備的証拠に基づき承認し販売可能とする欧州EMAの制度

新薬認可における裁量行政の廃絶

提言1 日本版SPA導入



SPA (Special Protocol Assessment) とは、FDA と申請者の間で第Ⅲ相臨床試験前に、対象疾患、目的、試験デザイン(評価項目、用法・用量、症例数)、解析方法などの詳細な取り決めに関して事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認めるという制度。この制度を利用することにより、より確実に商品の市場への投入が期待できるため、欧米のバイオベンチャーに幅広く活用されている。

提言③



上市・臨床応用から、再投資へ
(事業性の確保)

事業継続可能な利益を確保するために

● 薬価算定ルールの見直し・特例の追加

- 1) 類似薬の無い新薬の場合
原価算定方式(およそ原価の約3倍が薬価) ← 事業性がなくなるケース
- 2) 類似薬のある新薬場合
類似薬効比較方式

例) 昨年11月に欧州で承認されたGlybera(LPL欠損症治療AAV遺伝子治療)
1度の筋注で長期間(5年間)有効性が持続する
想定薬価: 1億円以上*

日薬連提言の「類似治療比較方式(仮称)」のような制度が必要

*:リスファクス(2012/11/5)、<http://biopharmconsortium.com>

「イノベーション促進薬価制度」: 再生医療や遺伝子治療などのイノベーティブな医薬品に特別薬価制度

世界最高の医療を目指して

次世代医薬品開発支援

遺伝子治療薬品、核酸医薬、ワクチンなど

アジア人に多いオーファン疾患治療薬の開発支援

医薬・医療によるODA

医薬品一体型医療機器の開発支援

ヘルスケア用品・サプリに対する機能性表示

医薬・医療によるODA？
見逃されるアジア人固有の難病

ビュルガー病(バージャー病)

大動脈炎症候群(高安動脈炎)

もやもや病

ベーチェット病

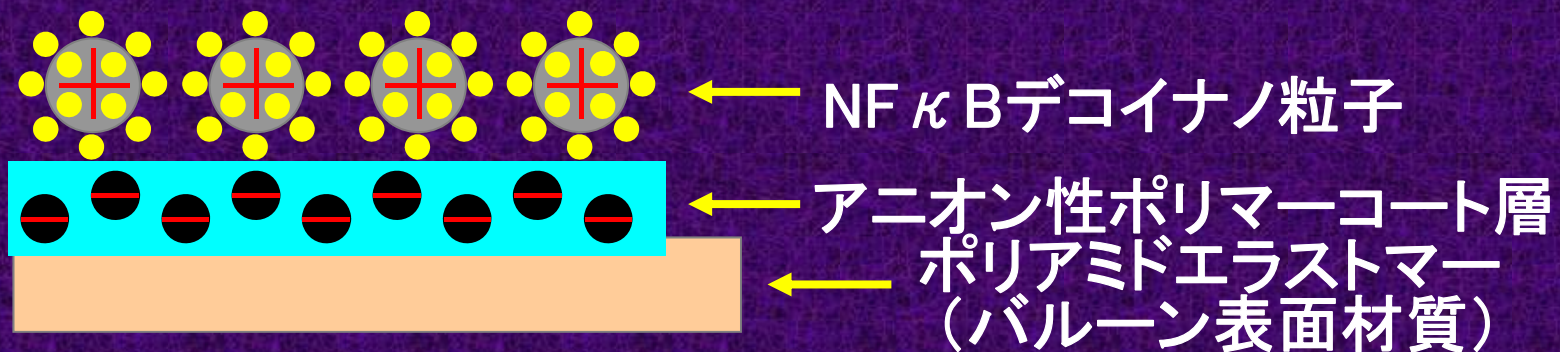
色素性乾皮症

成人T細胞白血病(ATL)

HAM(HTLV-1関連精髓症)・・・

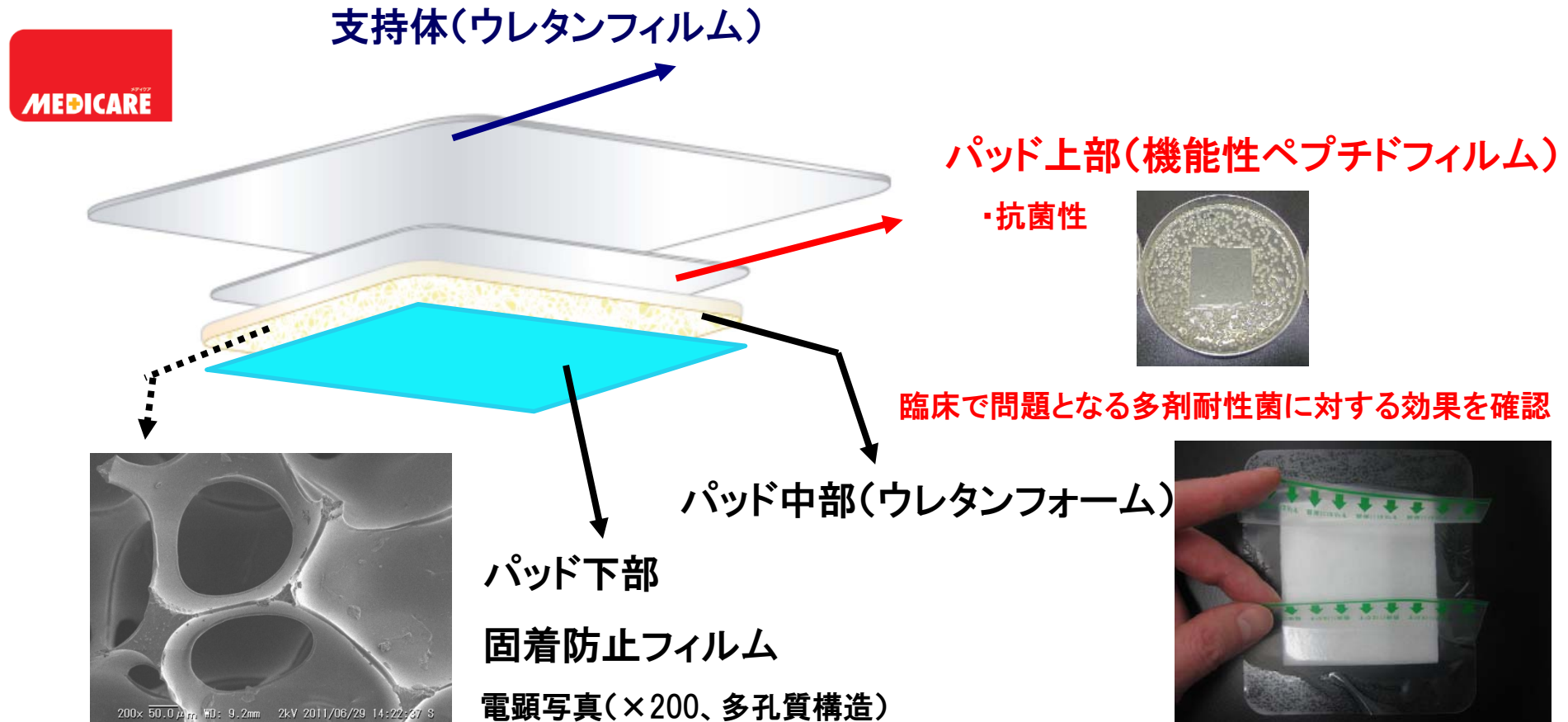
デコイ含有PLGA粒子コーティング バルーン(DEB)カテーテルの開発

世界初の核酸医薬溶出カテーテル＝
医療機器のイノベーション！
2012年臨床治験開始



NF κ Bデコイナノ粒子コーティングバルーン

(事例)抗菌ペプチド含有被覆材(クラスⅢ、抗菌性+褥瘡用)



医薬品？医療機器？：創傷面につかない設計で医療機器に決定

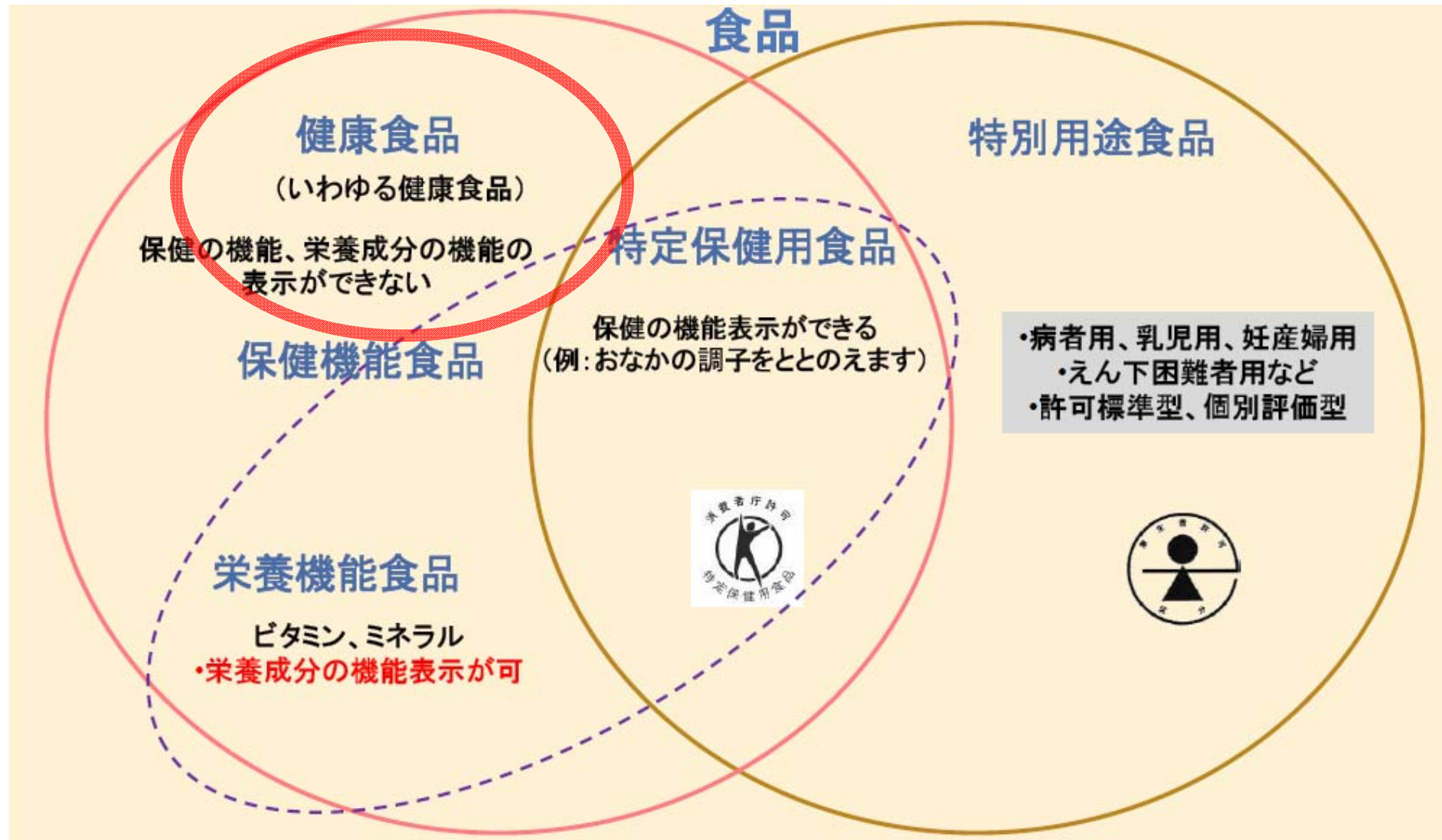
現状では、効能表示できない(感染症予防と表記は、違法)

規定を明確にすれば、もっとイノベーティブな医療機器開発が可能！

感染症予防効果のある抗菌ペプチド配合被覆材(案)

サプリメント・ヘルスケア用品における規制改革

日本における健康食品の位置づけ



Source: Consumer Affairs Agency, Health, Labour and Welfare Ministry, GNG Analysis

主要国の健康食品に関連する法律

- 米国：
 - 栄養表示教育法 : Nutrition Labeling and Education Act (NLEA)
 - 栄養補助食品健康教育法 : Dietary Supplement Health and Education Act (DSHEA)
 - **FDA**近代化法 : Food and Drug Administration Modernization Act (FDAMA)
 - 限定的ヘルスクレーム : FDA Qualified Health Claims
- EU：
 - EUフードサプリメント指令 : Directive on Food Supplements
 - EU健康・栄養表示法 : EC Regulation on Nutrition and Health Claims
- 中国 : 保健食品登録管理法
- 台湾 : 健康食品管理法
- 韓国 : 健康機能食品に関する法律

海外では、機能性表示が一般的
日本では、禁止
そのため、どれが本物か分からない？

米国での機能性表示例

- ・米国では、1990年に制定された栄養表示教育法(NLEA)において、可能な健康強調表示が定められている。
- ・また、1994年に制定された栄養補助食品健康・教育法(DSHEA)では、栄養補助食品の表示に関する事項が定められている。

【米国の栄養表示教育法により認められている健康強調表示】 Nutrition Labeling and Education Act (NLEA)

- (1) カルシウムと骨粗鬆症のリスク低減
- (2) 食事脂肪と癌のリスク低減
- (3) 食事飽和脂肪、コレステロールと冠動脈心疾患のリスク低減
- (4) 非う蝕性糖質甘味料とう蝕のリスク低減
- (5) 食物繊維を含む穀類、果物、野菜と癌のリスク低減
- (6) 葉酸と神経管欠損症のリスク低減
- (7) 果物、野菜と癌のリスク低減
- (8) 果物、野菜、穀類(特に水溶性食物繊維を含む)と冠動脈心疾患のリスク低減
- (9) ナトリウムと高血圧症のリスク低減
- (10) ある種の食品(オーツ麦、サイリウム種子)の水溶性食物繊維と冠動脈心疾患のリスク低減
- (11) 大豆たんぱくと冠動脈心疾患のリスク低減
- (12) スタノール/ステロールと冠動脈心疾患のリスク低減

【米国の栄養補助食品健康・教育法の概要】 Dietary Supplement Health and Education Act (DSHEA)

<栄養補助食品の定義>

栄養補助食品とは、ビタミン、ミネラル、ハーブその他の植物、アミノ酸、食事として摂取されるもの又はこれらを濃縮・代謝・構成・抽出したものをいう。

<構造・機能強調表示>

「構造・機能強調表示」とは、食品によるヒトの構造・機能への影響に関する表示をさす。

栄養補助食品について、構造・機能強調表示しようとする者は、

- ・製品の販売後30日以内に連邦食品医薬品局(FDA)に届出なければならない。
- ・製品には、「この表示は、FDAによる評価を受けたものではありません。この製品は、疾病の診断、処置、治療又は予防を意図したものではありません。」と表示しなくてはならない。
- ・表示の記述が真実であり、誤解されるものではないという証拠を有していなければならない。

<その他>

栄養補助食品(構造・機能強調表示をしていないものを含む。)はFDA長官が公布する製造基準(GMP)に合致していなければならない。

22



バランスのとれた食事の一環として、生涯を通して適切なカルシウムとビタミンDを摂取することで、骨粗鬆症のリスクが低下する可能性があります。



EPA及びDHA ω3系脂肪酸の消費で冠動脈心疾患のリスクが低下する可能性があることを示唆する研究がありますが、決定的ではありません。(グレードC)

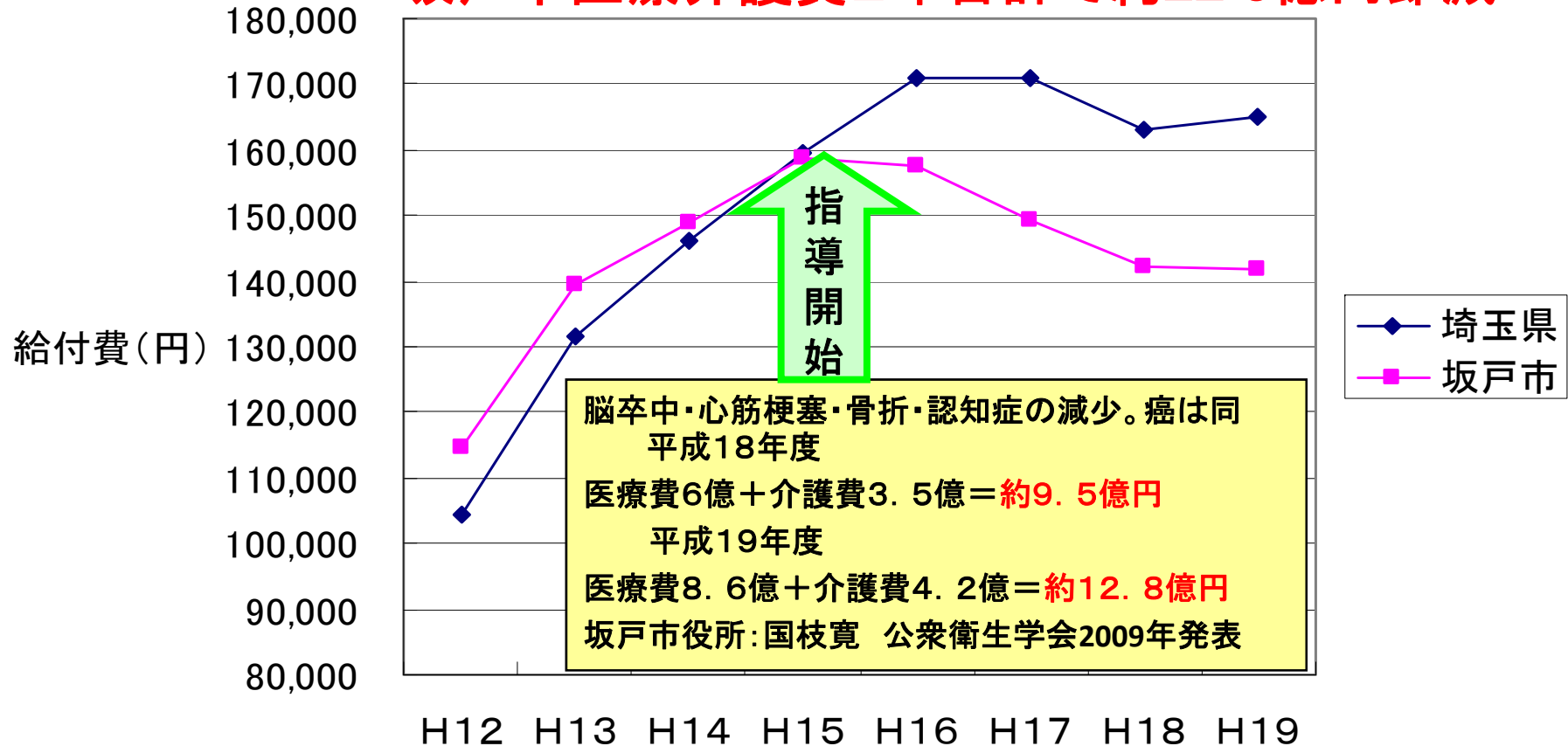


グルコサミンは、健康な靭帯を形成するのに役立ち、潤滑な活動を可能にします。グルコサミンは、同時に関節の可動性や動きを改善します。

日本における食品医療経済の成功事例 ー埼玉県 さかど葉酸プロジェクト

一人当たり介護給付費比較

坂戸市医療介護費2年合計で約22.3億円節減



国枝寛: 日本公衆衛生学雑誌 学会抄録集56 :167 (2009)

機能性表示により、国民に安心感を与え、医療費削減
海外との企画統一によりサプリア産業を輸出産業に変換

サプリメント・ヘルスケア用品の規制改革

- 増大し続ける医療費を抑制するために新たな食品医療経済コンセプトで健康食品・医療用品を上手に利用し、疾病予防に努め健康寿命を延ばす
- 「機能性表示健康食品(仮称)」「機能性表示ヘルスケア用品(仮称)」に関する規制改革を行い、理解しやすい健康機能を表示出来る制度を作り、過大広告に頼らず、国民が正しい健康機能・栄養知識を得られるよう教育する仕組みを作る
- 安全・安心の日本の信用の上に、「機能性表示健康食品(仮称)」「機能性表示ヘルスケア用品(仮称)」で、世界標準化を図り、コスト競争でなく、イノベーションを元にした健康産業を育成し、国内製造産業振興、アジアへの輸出促進と雇用創出を図る。

国民の健康改善が図れるだけでなく、関連する産業の育成にもつながり、雇用増大も期待出来る。

機能性表示をヘルスケア用品にも拡大を希望！
ヘルスケア用品へのエビデンス表示で想定される例

◇創意工夫で新規商品開発

◇アジアへの輸出商品開発



膀胱炎を防ぐおむつ
臭わないおむつ



褥瘡を防ぐベッド
睡眠作用のあるまくら



花粉症予防マスク
インフルエンザ予防マスク

＋農作物にも機能性表示を認めるべき！