

**健康・医療戦略に係る厚生労働省の主な取組について  
(参考資料集)**

平成28年6月13日

# 健康・医療戦略に係る厚生労働省の主な取組について (参考資料集)

1.	オールジャパンでの医薬品創出*	...	2
2.	革新的医療技術創出拠点プロジェクト*	...	6
3.	ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト*	...	9
4.	新興・再興感染症制御プロジェクト*	...	13
5.	難病克服プロジェクト*	...	17
6.	臨床研究・治験実施環境の機能強化	...	20
7.	公正な研究を行うための法令等の環境の整備	...	23
8.	研究開発成果の実用化に向けた審査体制の整備等	...	25
9.	薬事規制の国際調和	...	29
10.	先端的研究開発及び新産業創出に関する教育及び 学習の進展、広報活動の充実等	...	32
11.	ゲノム医療実現に向けた取組(「ゲノム情報を用いた 医療等の実用化推進タスクフォース」について)	...	34

\* : 9つの重点プロジェクト

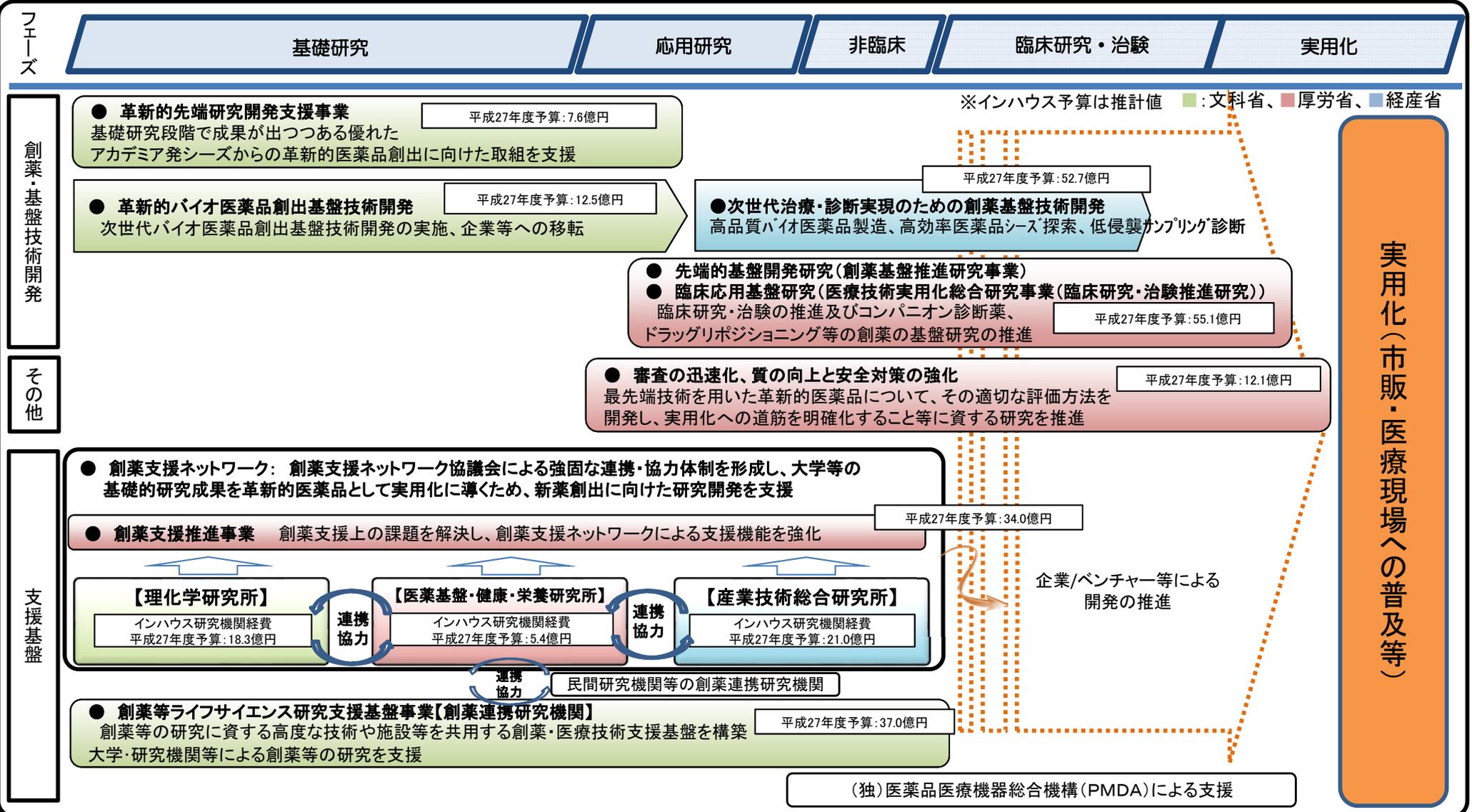
# 1. オールジャパンでの医薬品創出

# 1. オールジャパンでの医薬品創出

日本医療研究開発機構対象経費  
平成27年度予算 211億円

インハウス研究機関経費  
平成27年度予算 45億円

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。



**【2015年度までの達成目標】**

○相談・シーズ評価	400件
○有望シーズへの創薬支援	40件
○企業への導出(ライセンスアウト)	1件

**【2020年頃までの達成目標】**

○相談・シーズ評価	1500件	○創薬ターゲットの同定	10個
○有望シーズへの創薬支援	200件		
○企業への導出(ライセンスアウト)	5件		

# 1. オールジャパンでの医薬品創出

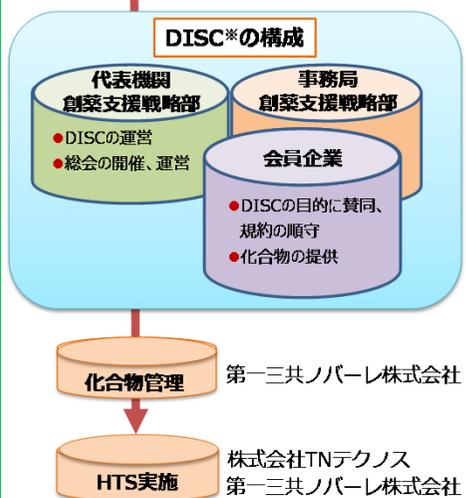
## 1. 創薬支援推進事業

(産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC))

### 研究概要

- 創薬支援戦略部が目利きしたアカデミア発の創薬標的
  - 製薬企業等の会員企業22社がHTS※用の低分子化合物を提供(約20万化合物)
  - HTS実施経費は創薬支援戦略部が負担し、外部機関に委託
  - HTSの結果を会員企業にフィードバック
- ※HTS(High-throughput screening)

### 創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



### 【会員企業一覧(五十音順)】

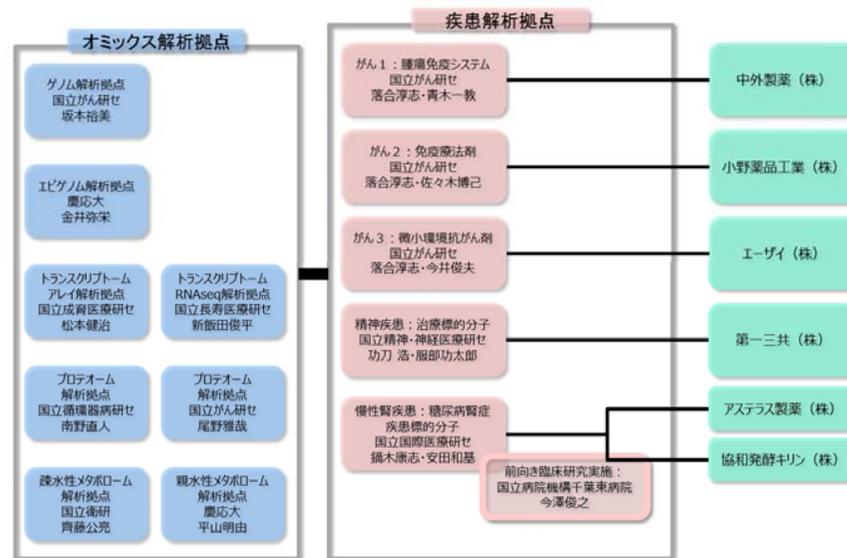
- |                |                     |
|----------------|---------------------|
| 1 味の素製薬株式会社    | 12 第一三共株式会社         |
| 2 あすか製薬株式会社    | 13 大日本住友製薬株式会社      |
| 3 アステラス製薬株式会社  | 14 大鵬薬品工業株式会社       |
| 4 エーザイ株式会社     | 15 武田薬品工業株式会社       |
| 5 大塚製薬株式会社     | 16 田辺三菱製薬株式会社       |
| 6 小野薬品工業株式会社   | 17 常人ファーマ株式会社       |
| 7 科研製薬株式会社     | 18 日本新薬株式会社         |
| 8 キッセイ薬品工業株式会社 | 19 日本たばこ産業株式会社      |
| 9 協和発酵キリン株式会社  | 20 富士フィルム株式会社       |
| 10 興和株式会社      | 21 株式会社PRISM BioLab |
| 11 塩野義製薬株式会社   | 22 持田製薬株式会社         |

## 2. 創薬基盤推進研究事業

(産学官共同創薬研究プロジェクト(GAPFREE))

### 研究概要

- 革新的新薬の開発に向けては、①アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制及び先進的なオミックス解析技術と②製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームが重要。
- 本プロジェクトは、参画企業も研究費を拠出の上、その研究成果を製薬企業による創薬等につなげることを前提としたAMED発の本格的な産学官共同研究プロジェクト。
- また、本プロジェクトでは、参画企業が必要とする臨床検体や付随する臨床情報等のニーズを踏まえて、オーダーメイドの前向き臨床研究を立ち上げることが基本。



# 1. オールジャパンでの医薬品創出

## 3. 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

### ①マイクロRNAによる5つのがんの早期診断を実証

#### 研究概要

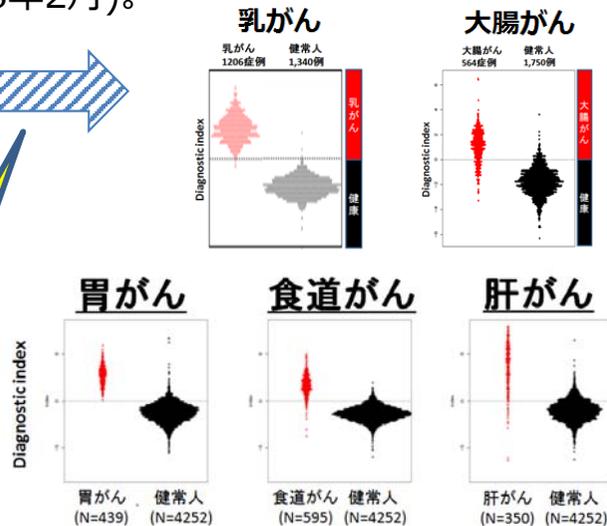
蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の早期発見マーカーを見出し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

#### 研究成果

患者血清約20,000例の網羅的マイクロRNA発現データを取得した。結果を解析し、乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについては早期診断に有用なマイクロRNAの組合せを選定することに成功した(平成28年2月)。



2500種類  
のマイクロRNA  
の有無及び  
含有量を  
確認



今後マイクロRNAを利用して早期がんを見分ける診断技術を確立する

### ②抗体医薬品製造のマザー工場が本格稼働

#### 研究概要

「国内のバイオ医薬品製造技術を開発している25企業、2大学、3機関が参加の「次世代バイオ医薬品製造技術組合 (MAB)」と他大学法人が連携し、抗体製造に係わる以下のような各種製造基盤技術を開発中：

- ①バイオ医薬品製造にふさわしい動物細胞を用いたオリジナルな生産細胞系、②ハイスループットな細胞構築システム (装置)、③培養槽シミュレーション技術を利用した培養槽、④高性能な分離材、⑤糖鎖解析および凝集体解析技術、⑥開発した技術評価体系の整備、⑦ウイルス管理技術、⑧開発した技術評価体系の整備

#### 研究成果

バイオ医薬品製造に関わる技術開発と製造の機能を併せ持つ国内初のGMP施設を、神戸大学統合研究拠点に設置し、抗体製造に関わる開発技術検証に向け、平成27年12月稼働を開始し、平成27年度末より本格稼働した。

現在、製造技術検証用の抗体生産細胞を用いて、ベンチマークとなる「設備の実証データ」を取得中である。



神戸GMP施設



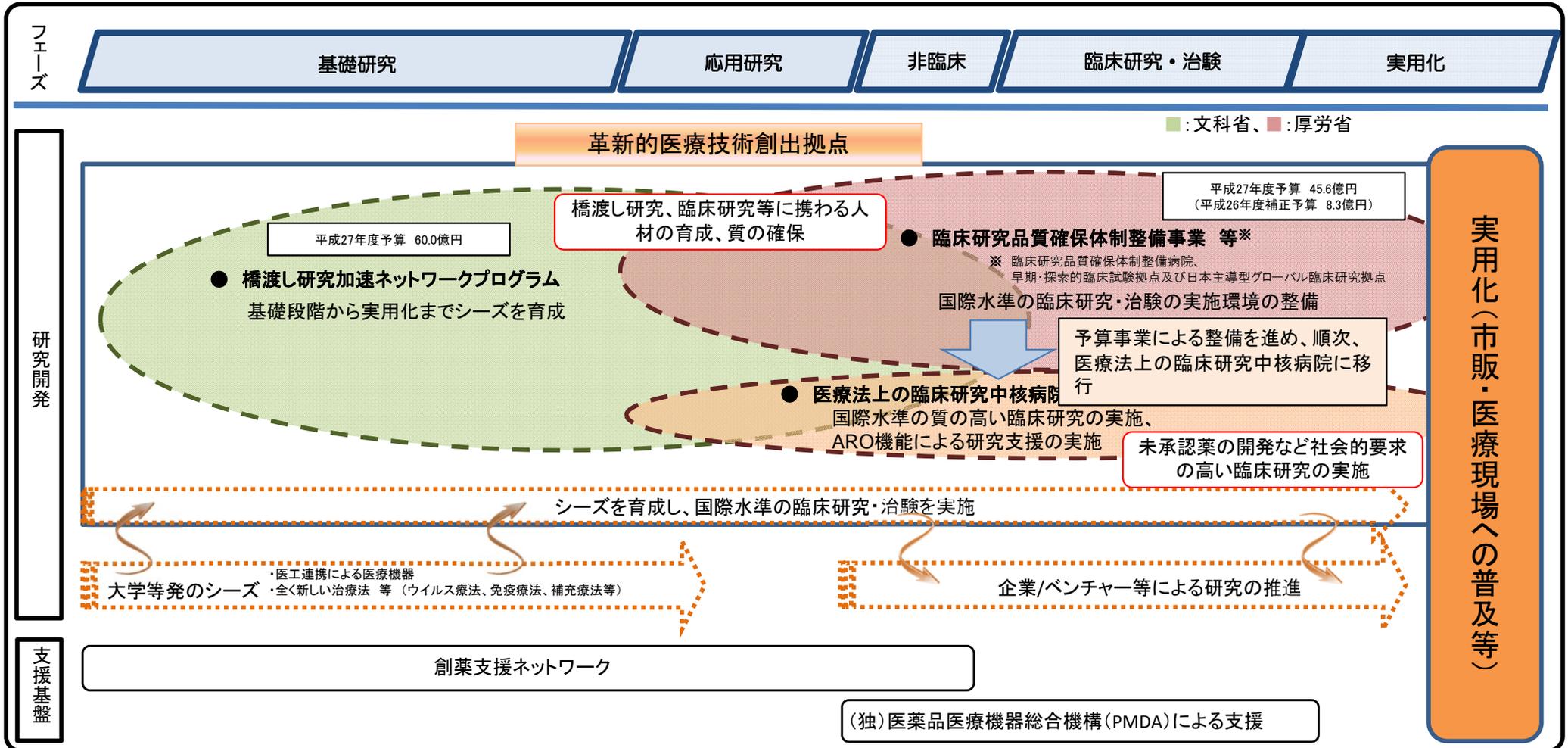
GMP施設での製造技術検証実験

## 2. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

## 2. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO※機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

※ARO：Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織



### 【2015年度までの達成目標】

- 医師主導治験届出数 年間21件
- First in Human(FIH)試験(企業治験含む) 年間26件

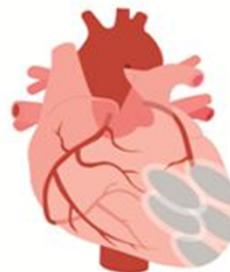
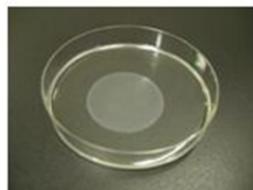
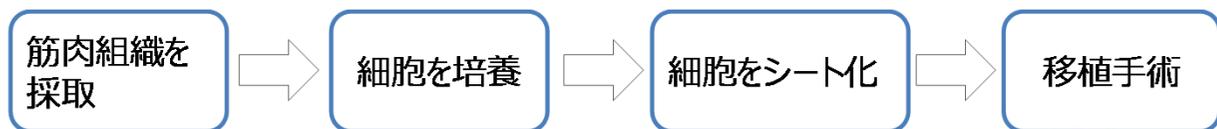
### 【2020年頃までの達成目標】

- 医師主導治験届出数 年間40件
- FIH 試験(企業治験含む) 年間40件

## 2. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

### 1. アカデミア発医療技術が実用化(薬事承認)

骨格筋芽細胞シートが薬事承認を取得。患者自身の骨格筋芽細胞を培養しシート化したものを心臓表面に移植することにより、標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全の治療が可能になった。



重症心不全の病態が改善

細胞シートが移植された心臓  
(イメージ)

### 2. 革新的医療技術の医師主導治験開始

主に発展途上国の居住者や旅行者に発症する腸管下痢症に対し、保存性や衛生面での利便性を飛躍的に向上させたコメ型経口ワクチンの医師主導治験等が開始となった。



ワクチン  
冷蔵保存困難

医療用廃棄物  
処理困難



解決



← ワクチン遺伝子導入

← GMP対応栽培システム

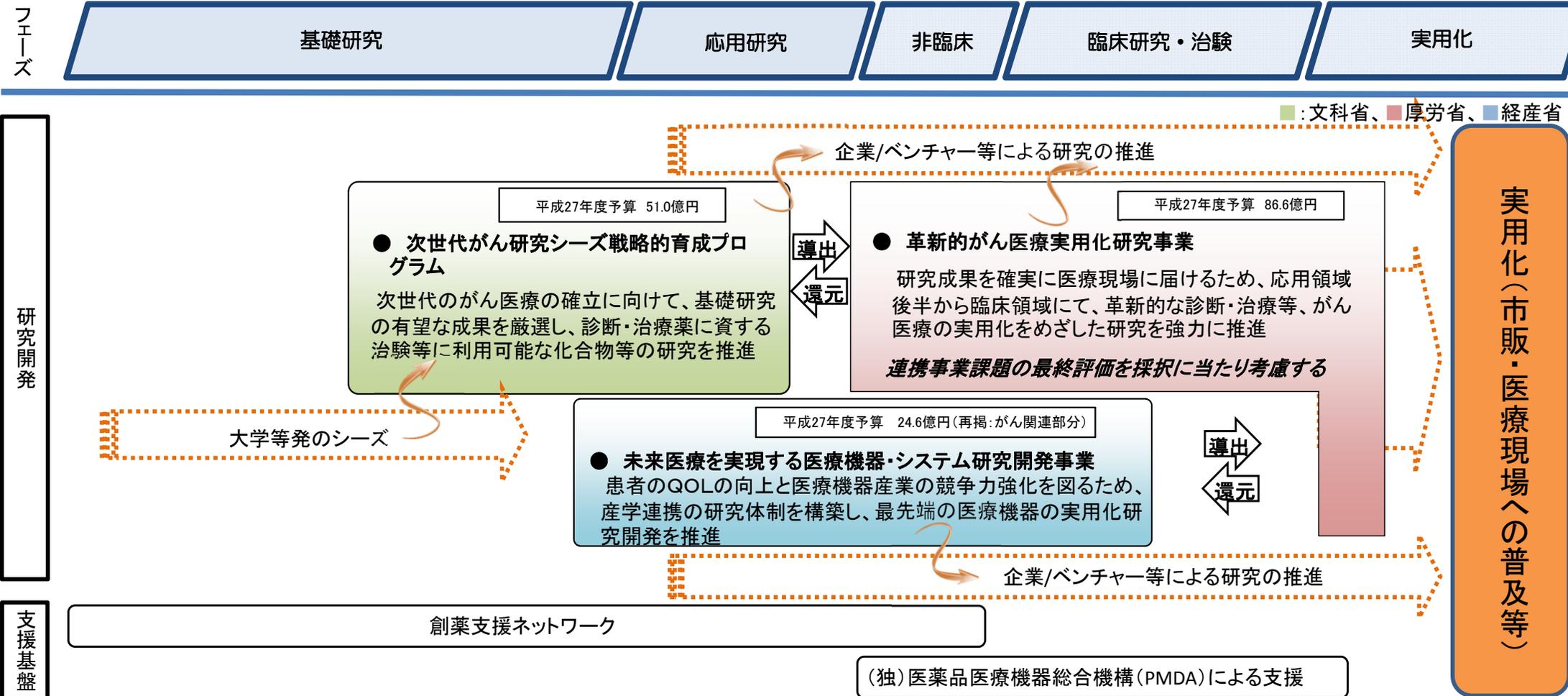
← 腸管粘膜免疫誘導

### 3. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

### 3. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト <参考1>

日本医療研究開発機構対象経費  
平成27年度予算 162億円(一部再掲)

基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究等へ導出する。また、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を「がん研究10か年戦略」に基づいて加速する。



**【2015年度までの達成目標】**

- 新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
- 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得
- がんによる死亡率を20%減少(平成17年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて平成27年に20%減少させる)

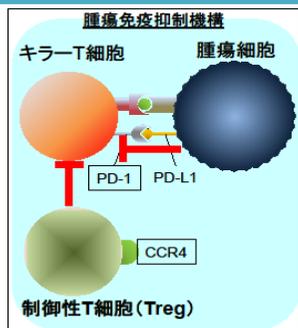
**【2020年頃までの達成目標】**

- 5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出
- 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
- 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)

### 3. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト<参考2>

#### 1. がん免疫療法における適切なバイオマーカーや評価法を検証し、医師主導治験の準備に着手した。

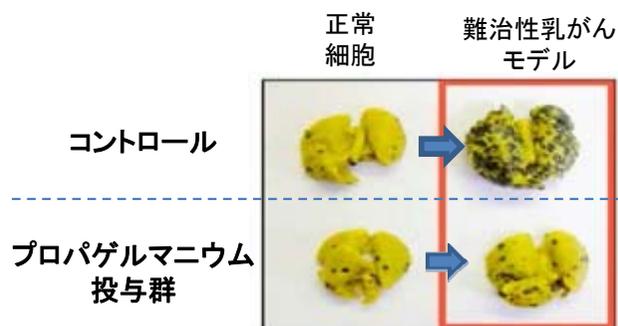
実施機関:大阪大学



- がん免疫療法における適切なバイオマーカー等を検証し、医師主導治験の準備に着手した。
- 今後、消化器がんを対象として、抗CCR4抗体による制御性T細胞(Treg)除去と抗PD-1抗体を併用する複合免疫療法の医師主導治験を実施していく予定である。

#### 2. 難治性乳がんモデルに対して慢性肝炎治療薬を投与する非臨床試験を実施し、医師主導治験に導出した。

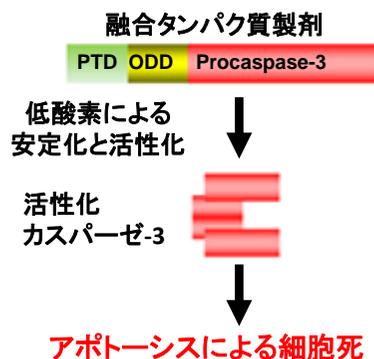
実施機関:九州大学



- マウスモデルを用いた非臨床試験において、プロパゲルマニウム(既にB型慢性肝炎治療薬として臨床的に使用されている既存薬)は、がん転移を強力に抑制した。
- 今後、難治性乳がんを対象として、本薬剤の安全性と有効性を評価する医師主導治験を実施していく予定である。

#### 3. 腫瘍内低酸素を標的とする抗腫瘍性融合タンパク質製剤を開発し、臨床応用に向けた製剤開発に着手した。

実施機関:東京工業大学



- 低酸素状態にある細胞に特異的に蓄積して、細胞死を誘導する融合タンパク質製剤を開発し、抗腫瘍効果を確認した。
- 今後、機能性タンパク質の製造方法の確立と品質規格を検討し、GMPタンパク質製剤として製造方法を確立し、非臨床試験へ展開する。

### 3. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考3〉

平成27年度 市民向け成果発表会

AMED

## すすむがん研究 変わる未来

— がん研究者たちの挑戦 —

**日時** 平成28年3月19日(土) 13:30～17:00 (13:00開場)

**会場** 品川フロントビル会議室 JR品川駅より徒歩3分  
東京都港区港南2-3-13 品川フロントビル地下1階

**定員** 先着300名 無料 対象：一般の方  
(事前申込制 / 定員になり次第締切)

**プログラム** AMED ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト概要説明  
**文部科学省事業**からの成果  
 ■「がん細胞の「アキレス腱」を狙い撃ちしてがんの増殖を封じる」  
 地倉 健吉 (国立がん研究センター)  
 ■「今は薬の効かないのがん患者さんをおいかに見つけていかに治すか？」  
 矢野 聖二 (金沢大学)  
**厚生労働省事業**からの成果  
 ■「乳がんをもっと早期発見するために～超音波検査が近く新たながん検診～」  
 大内 聰明 (東北大学)  
 ■「高圧処理で腫瘍をなくす一色養母斑 (黒あざ) の再生医療」  
 森本 尚樹 (関西医科大学)  
**経済産業省事業**からの成果  
 ■「患者さんががん治療法を選択するためのナビゲーションシステム」  
 白土 博樹 (北海道大学)  
**パネルディスカッション「がん研究の今後の方向性」**  
 堀田 知光 (AMED プログラム・ディレクター)  
 吉藤 浩平 (AMED プログラム・スーパーバイザー)  
 野田 哲生 (がん研究会)  
 天野 慎介 (全国がん患者団体連合会)  
 本田 麻由美 (読売新聞社) ほか

**申込・問合せ**  
 ①WEB <https://www.researchgrant.jp/amed0319>  
 ②電話 TEL 03-6438-2852 平日10時～19時 成果発表会運営事務局  
 (医療ネットワーク支援センター内)  
 ※お問合せはメールでも可 amed0319@medical-bank.org  
 当日専用問合せ TEL 090-4596-3986

主催 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED) AMED 発表

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
Japan Agency for Medical Research and Development  
AMED

## 第1回 AMEDがん若手研究者ワークショップ

### プログラム・抄録集

2015年11月4日(水)～5日(木)  
国立オリンピック記念青少年総合センター

戦略推進部 がん研究課

#### 平成27年度 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト市民向け成果発表会

- 研究成果のみならず、がん研究の社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的とし、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの3事業(文部科学省事業、厚生労働省事業、経済産業省事業)合同で、開催した。
- 具体的には、研究者が各事業での代表的な研究成果等を専門用語を極力用いず解りやすく紹介するとともに、患者会、研究者、マスコミ、事業運営担当者による多彩なパネリストが参加するパネルディスカッションで意見交換を行った。

#### 第1回AMEDがん若手研究者ワークショップ(革新的がん医療実用化研究事業)

- 革新的がん医療実用化研究事業では、公募時に若手研究者育成枠を設けている。
- 若手研究者育成の一環として企画された本ワークショップでは、国際的に実績のある著名な研究者によるレクチャー、研究課題の事前評価審査を模した模擬評価委員会によって、若手研究者の総合的な研究能力の向上を目指した。
- ポスターセッションや懇親会を通して、若手研究者同士や、若手研究者と経験豊かな研究者との交流を促進した。

## 4. 新興・再興感染症制御プロジェクト

# 4. 新興・再興感染症制御プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成27年度予算 41億円

インハウス研究機関経費  
平成27年度予算 17億円

新型インフルエンザ等の感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■:文科省、■:厚労省

- 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業
- 国立感染症研究所 インハウス研究

平成27年度予算  
日本医療研究開発機構対象経費 21.8億円  
インハウス研究機関経費 16.7億円

国内外の病原体情報及び疫学情報等を収集し、国立感染症研究所等において病原体・病態解明を行い、診断薬、治療薬、ワクチン開発等を推進する。また国際的なリスクアセスメントを行い、結果を海外研究拠点にもフィードバックする。

連携

- ・若手研究者の派遣、研修
- ・海外の病原体情報の共有、リスクアセスメント 等

企業/ベンチャー等による研究の推進

- 感染症研究国際展開戦略プログラム

日本医療研究開発機構対象経費  
平成27年度予算 19.3億円

海外研究拠点の基盤強化を図り、全国の大学や研究機関に開かれた研究拠点として活用し、各地でまん延する新興・再興感染症の病原体に対する疫学的調査及び診断治療薬等の基礎的研究を推進

連携

創薬支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

実用化(市販・医療現場への普及等)

研究開発

支援基盤

## 【2015年度までの達成目標】

- グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため)

## 【2020年頃までの達成目標】

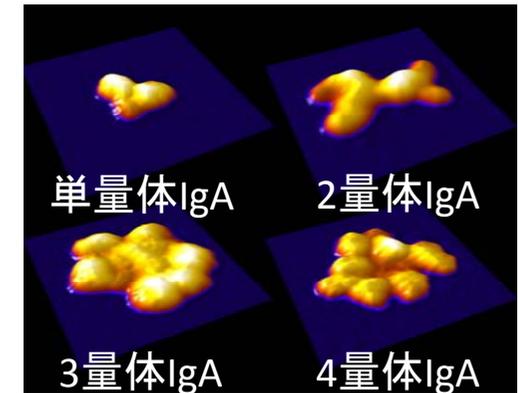
- 得られた病原体(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床試験及び治験の実施及び薬事承認の申請

## 4. 新興・再興感染症制御プロジェクト

### 1. 新興再興感染症に対する経鼻ワクチンの開発・実用化に関する研究

#### 研究概要

- ・ 新規経鼻インフルエンザワクチンは、インフルエンザの感染防御に有効であり、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多様な流行株にも効果を有すると示唆されている。
- ・ この新規経鼻インフルエンザワクチンについて、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチンの第I相臨床試験を開始した。
- ・ また、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。(PNAS 2015 Jun 23;112(25):7809-14.)



### 2. 薬剤耐性菌に関する疫学的研究

#### 研究概要

- ・ WHOが極めて重要と位置づける抗菌薬コリスチンに対する薬剤耐性菌の出現が、近年世界的な問題となっている。
- ・ このコリスチンの耐性遺伝子*mcr-1*は、すでに中国、ヨーロッパ、アジア、アフリカ等で確認されていたが、これまで日本では確認されていなかった。
- ・ 今回、本プロジェクトで整備を進めている薬剤耐性菌のゲノムデータベース「GenEpid-J」を探索し、国内で収集された家畜由来株が*mcr-1*を有するプラスミドを持ち、さらにそのプラスミドが中国で報告されたプラスミドと極めて類似した遺伝子配列を持つことを世界で初めて確認した。(Lancet Infect Dis. 2016 Mar;16(3):284-5. doi: 10.1016)

### 3. 数理モデルを使用したジカ熱の流行予測

#### 研究概要

- ・ 平成27年ジカ熱の流行が中南米を中心に発生し、平成28年2月WHOより「国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態(PHEIC)」が宣言された。さらに、平成28年6月にはリオデジャネイロオリンピック・パラリンピック開催によるジカ熱流行地への渡航者の増加等が予測され、引き続き国内への流入・感染拡大が危惧されている。
- ・ このジカ熱について、数理モデルを用いて感染症流行動態を予測し、その感染力がデング熱と同等であることを世界で初めて明らかにした。(J Infect Dis. 2016 Feb 26;45:95-97.)

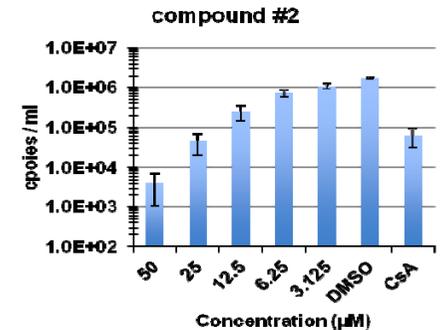


# 4. 新興・再興感染症制御プロジェクト

## 4. デングウイルス増殖阻害剤開発研究

### 研究概要

- 平成26年に国内で150例以上の発症報告例があったが未だ国内において承認されたワクチンや特効薬のないデング熱について早急な対策が求められている。
- デングウイルス複製に必須のRNA依存性RNAポリメラーゼ(RdRP)の阻害剤開発を加速し、2型デングウイルス由来のRdRPを用いた16,000化合物のスクリーニングを行って候補化合物を選別した。
- その結果、得られた候補化合物の一つが、実際にデングウイルス2型のVero細胞における増殖を阻害することが明らかになった。

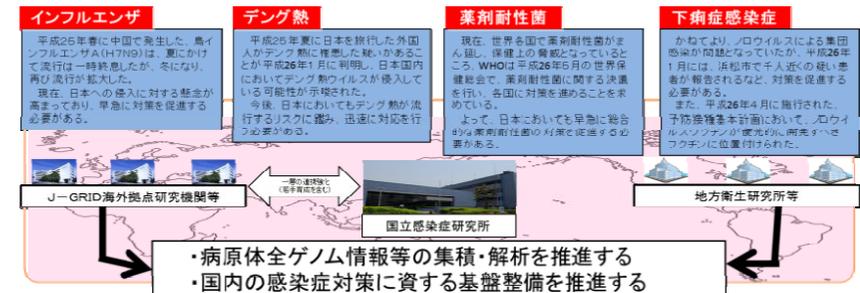


Vero細胞を用いてウイルス増殖阻害活性を測定

## 5. 迅速・網羅的病原体ゲノム解析法を基盤とした感染症に関する研究

### 研究概要

- グローバルな病原体・臨床情報の共有体制を確立し、病原体に関する全ゲノムデータベースを構築し、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法などの開発・実用化にむけた基盤整備を実施した
- 本データベースを利用し、前述のコリスチンに対する耐性遺伝子の確認も行った。



## 6. 新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID合同シンポジウムの開催

### 概要

- AMED、厚生労働省、文部科学省が連携して平成28年3月に国立感染症研究所において 新興再興事業・J-GRID合同シンポジウムを開催した。
- 各研究代表者や若手研究者を含めて約100人が参加した。
- 新興・再興感染症制御プロジェクトの課題である薬剤耐性菌、インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症についてテーマ演題を設定して各課題責任者を中心とした発表・質疑応答を行いプロジェクト全体の連携を確認した。

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
Japan Agency for Medical Research and Development

**新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID 合同シンポジウム**  
『感染症研究連携のフロンティア』プログラム

日時：平成28年3月25日(金) 13:30~18:00 (受付開始: 13:00)  
会場：国立感染症研究所 戸山庁舎 共用第一会議室

開会 13:30~13:45

開会挨拶 日本医療研究開発機構 新興・再興感染症制御プロジェクト  
プログラム・ディレクター 宮村 達男

来賓挨拶 文部科学省 研究振興局 先端医学研究企画官 小林 秀幸  
厚生労働省 健康局 結核感染症課 室長 中谷 祐貴子

## 5. 難病克服プロジェクト

# 5. 難病克服プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成27年度予算額 96億円(一部再掲)

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

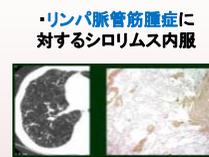
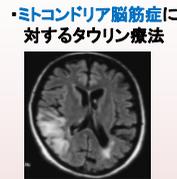
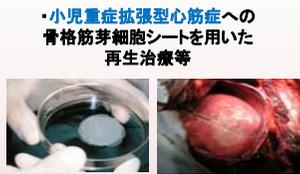
実用化

## ● 難治性疾患実用化研究事業

遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した臨床研究、医師主導治験等の推進(新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等)

平成27年度予算額 85.7億円

■:文科省、■:厚労省



・プリオン病に対する低分子シャペロン治療薬の開発  
・遠位型ミオパチーに対するNアセチルノイラミン酸の開発  
・HAMの革新的な治療法となる抗CCR抗体療法の実用化

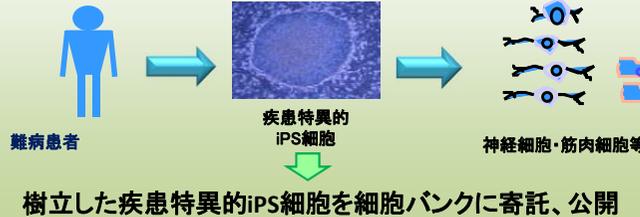
## ● 疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備

疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や、疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施

H24年度~『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』

iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

平成27年度予算額 10.5億円(再掲)



## ● 疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究



企業ベンチャー等による研究の推進

実用化(市販・医療現場への普及等)

研究開発

支援基盤

製薬企業との共同研究を実施

創薬支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

### 【2015年度までの達成目標】

○薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成  
(重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病等のプリオン病など)

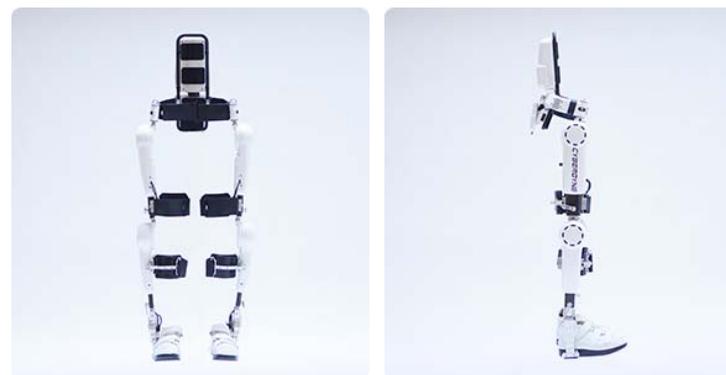
### 【2020年頃までの達成目標】

○新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成  
(ALS、遠位型ミオパチーなど)  
○欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

## 5. 難病克服プロジェクト

### 1. 「HAL医療用下肢タイプ」の承認(平成27年11月)

ALSや遠位型ミオパチー等の希少性神経・筋難病の進行抑制治療における歩行不安定の患者を対象に2分間歩行テストの歩行距離を主要評価項目とした医師主導治験を行い平成27年3月に医療機器としての薬事承認申請を行った結果、平成27年11月25日付けで承認を取得した。



### 2. 「サンコン Kyoto-CS」の承認(平成28年2月)

スティーブンス・ジョンソン症候群(SJS)及び中毒性表皮壊死症(TEN)では慢性期の後遺症として高度の視力障害とドライアイをきたす。独自のデザインを施したコンタクトレンズについて、患者を対象に視力改善を主要評価項目とした医師主導治験を行い平成27年6月に医療機器としての薬事承認申請を行った結果、平成28年2月15日付けで承認を取得した。



## 6. 臨床研究・治験実施環境の機能強化

# 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6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、東病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 慶應義塾大学病院
- ・ 名古屋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。



# 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)

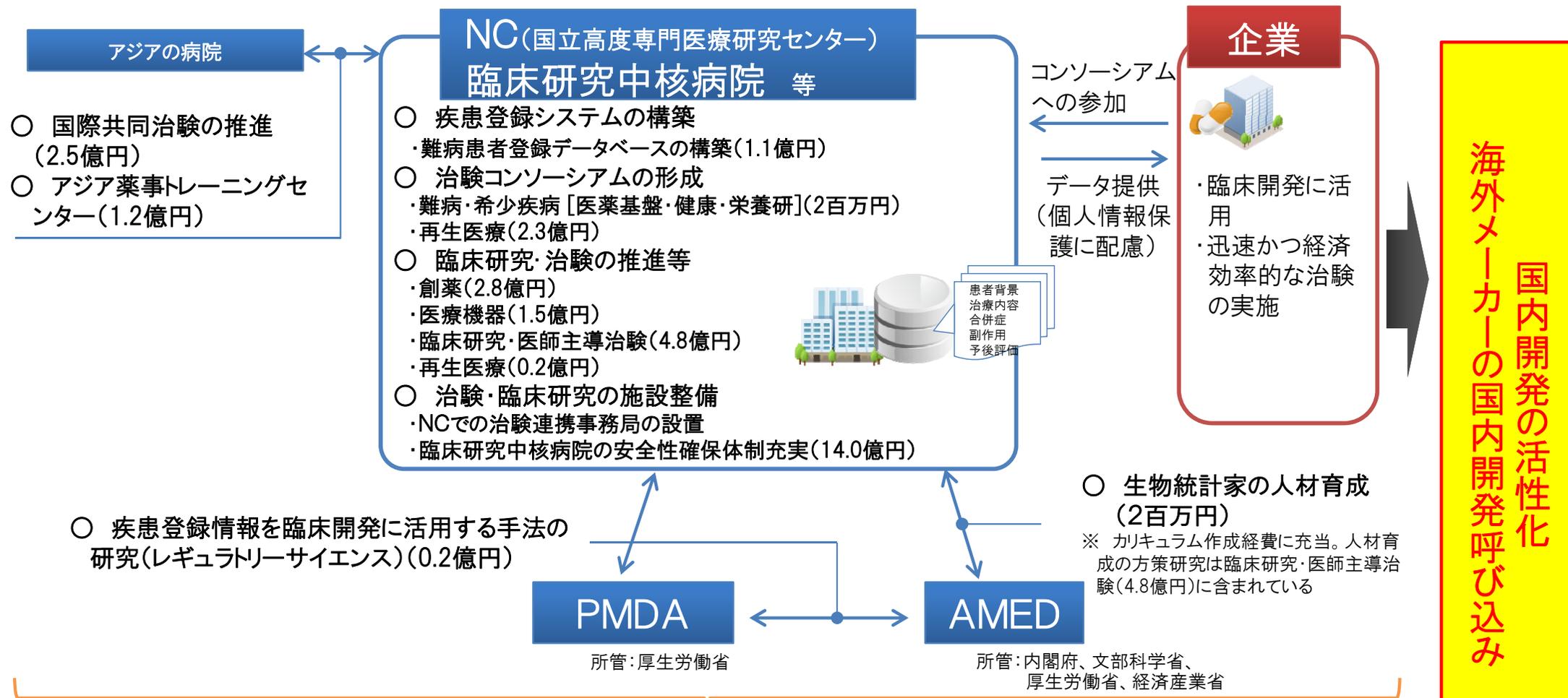
平成28年度予算額 31億円

## 【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。



- 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)

- 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(4.8億円)に含まれている

臨床開発環境整備推進会議: 産学官(NC、業界、行政など)が一体となった会議を形成し、プロジェクトを協力して推進。

## 7. 公正な研究を行うための法令等の環境の整備

# 臨床研究法案の概要

平成28年5月13日閣議決定・国会提出  
現在、継続審議中

## 法案の概要

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。

## 法案の内容

### 1. 臨床研究の実施に関する手続

#### (1) 特定臨床研究(※)の実施に係る措置

- ① 以下の特定臨床研究を実施する者に対して、モニタリング・監査の実施、利益相反の管理等の実施基準の遵守及びインフォームド・コンセントの取得、個人情報の保護、記録の保存等を義務付け。

※ 特定臨床研究とは

- ・ 薬機法における未承認・適応外の医薬品等の臨床研究
- ・ 製薬企業等から資金提供を受けて実施される当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究

- ② 特定臨床研究を実施する者に対して、実施計画による実施の適否等について、厚生労働大臣の認定を受けた認定臨床研究審査委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出することを義務付け。

- ③ 特定臨床研究以外の臨床研究を実施する者に対して、①の実施基準等の遵守及び②の認定臨床研究審査委員会への意見聴取に努めることを義務付け。

#### (2) 重篤な疾病等が発生した場合の報告

特定臨床研究を実施する者に対して、特定臨床研究に起因すると疑われる疾病等が発生した場合、認定臨床研究審査委員会に報告して意見を聴くとともに、厚生労働大臣にも報告することを義務付け。

#### (3) 実施基準違反に対する指導・監督

- ① 厚生労働大臣は改善命令を行い、これに従わない場合には特定臨床研究の中止等を命じることができる。
- ② 厚生労働大臣は、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のために必要な場合には、改善命令を経ることなく特定臨床研究の中止等を命じることができる。

### 2. 製薬企業等の講ずべき措置

- ① 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に対して資金を提供する際の契約の締結を義務付け。
- ② 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に関する資金提供の情報等(※詳細は厚生労働省令で規定)の公表を義務付け。

## 施行期日

公布の日から起算して1年を超えない範囲内において政令で定める日

## 8. 研究開発成果の実用化に向けた審査体制の整備等

# 特区内の臨床研究中核病院を活用した医療機器の開発迅速化について

## 特区薬事戦略相談制度の創設等による革新的医療機器の開発迅速化 (日本再興戦略 改訂2015)

- 日本発の革新的医療機器の開発を促進し、国家戦略特区を拠点とした医療イノベーションを強力に推進するため、特区内の臨床研究中核病院における治験期間を短縮し、開発から承認・市販までのプロセスを迅速化するための「特区薬事戦略相談」制度の創設及びPMDAにおいて重点的な支援を行う体制を速やかに整備する。
- また、全国的な措置として、医療機器ごとの製造販売承認までの治験実績を類型化した医療機器の臨床開発促進のためのガイダンスを速やかに作成する。

### 3つのアクションによる医療機器開発の迅速化

#### ① 特区薬事戦略相談の創設

(※ 関係通知を昨年11月20日に発出済み)

特区の臨床研究中核病院に対して、革新的かつ医療上の必要性が極めて高い開発案件について、臨床研究や治験段階から薬事申請までを迅速化するため、必要に応じ、PMDA職員を出張させ、現場での面談を行う「特区薬事戦略相談」を開始する。

#### ② 特区コンシェルジュの設置

上記の開発案件について、薬事申請・承認までの道のりを手厚くサポートすべく、PMDAの管理職を、開発方針に関する助言、開発者とPMDA・厚労省の関係部署との調整を行う 特区コンシェルジュ として配置することを、特区薬事戦略相談の創設と併せて運用開始。

#### ③ 医療機器の治験症例数ガイダンス

これまでの承認事例のレビューを行い、治験を必要とした医療機器の治験の症例数の考え方や治験の要否について整理・分析した上で、医療機器の治験に関するガイダンスを2年計画で策定することとしており、今年度すでに厚生労働科学研究班(主任研究者:中野壮陸((公財)医療機器センター))を設けた。この研究班には臨床医、業界、PMDAが参加。

# 先駆け審査指定制度

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、医薬品・医療機器では通常の半分の6ヶ月間で承認）を目指す「先駆け審査指定制度」を平成27年4月1日に創設。

## 指定基準

※医薬品の例

1. 治療薬の画期性：原則として、既承認薬と異なる作用機序であること（既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患に適応するのは初めてであるものを含む。）
2. 対象疾患の重篤性：生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく社会生活が困難な状態が継続している疾患であること。
3. 対象疾患に係る極めて高い有効性：既承認薬が存在しない又は既承認薬に比べて有効性の大幅な改善が期待できること。
4. 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思（同時申請も含む。）

## 指定制度の内容

 ：承認取得までの期間の短縮に関するもの

 ：その他開発促進に関する取組

### ①優先相談

〔 2か月 → 1か月 〕

- 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

### ②事前評価の充実

〔 実質的な審査の前倒し 〕

- 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

### ③優先審査

〔 12か月 → 6か月 〕

- 総審査期間の目標を、6か月に。  
※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

### ④審査パートナー制度

〔 PMDA版コンシェルジュ 〕

- 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

〔 再審査期間の延長 〕

- 通常、新有効成分含有医薬品の再審査期間が8年であるところを、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

# 先駆け審査指定制度の指定品目一覧

## ○医薬品

(平成27年10月27日付で指定)

No.	品目	予定される効能・効果	申請者	備考
1	シロリムス(NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ(株)	
2	NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	日本新薬(株)	国立精神・神経医療研究センターとの共同開発
3	S-033188	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	塩野義製薬(株)	
4	BCX7353	遺伝性血管浮腫の患者を対象とした血管性浮腫の発作管理	(株)Integrated Development Associates	
5	ASP2215	初回再発又は治療抵抗性のFLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	アステラス製薬(株)	
6	ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)	治療切除不能な進行・再発の胃癌	MSD(株)	

## ○医療機器、再生医療等製品

(平成28年2月10日付で指定)

No.	品目	予定される性能・効果	申請者	備考
機器 ①	<b>チタンブリッジ</b> (チタン製の蝶番型プレート)	<b>内転型痙攣性発声障害</b> (発声時に声帯が過剰に閉鎖することで声に障害)	ノーベルファーマ(株)	<u>アカデミア発シーズ</u> (京大・一色名誉教授。臨床試験は熊本大学・讃岐講師中心に実施。)
機器 ②	<b>癒着防止吸収性バリア</b> (トレハロース水溶液)	腹腔内に注入し、臓器の <b>癒着を低減</b>	(株)大塚製薬工場	<u>アカデミア発シーズ</u> (東大工学系研究科・鄭教授ら)
再生 ①	<b>STR01</b> (自家骨髄由来幹細胞)	<b>脊髄損傷</b> に伴う神経症候・機能障害の改善	ニプロ(株)	<u>アカデミア発シーズ</u> (札幌医科大・本望教授)
再生 ②	<b>G47Δ</b> (遺伝子組換えヘルペスウイルス)	<b>悪性脳腫瘍</b> (神経膠腫)	東京大学医科学研究所 藤堂具紀／第一三共(株)	<u>アカデミア発シーズ</u> (東大医科研・藤堂教授)
再生 ③	<b>自家心臓内幹細胞</b>	<b>小児先天性心疾患</b> の心機能改善	(株)日本再生医療	<u>アカデミア発シーズ</u> (岡山大再生医療部・王教授)

## 9. 薬事規制の国際調和

# 国際薬事規制調和戦略～レギュラトリーサイエンス ※イニシアティブ～

※ 医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性について、適切・迅速に、予測・評価・判断する科学

## I 戦略策定の目的

薬事規制に関する国際調和・国際協力の **中長期的なビジョン** や **施策のプライオリティ** を明確化

➡ 薬事規制に関する **我が国の知見** (レギュラトリーサイエンス) をアジアをはじめ **国際社会に発信** し、**世界の保健衛生の向上** に一層貢献。 **医薬品・医療機器産業を活性化**

## II 日本の医薬品・医療機器分野の現状(課題)

- ・ **市場規模** が米国と比べて小さく(米国は世界の約4割、日本は世界の約1割)、また、病院の規模が小さく **治験のコスト** が高いため、企業の **開発投資インセンティブ** が弱い
- ・ 日本の薬事規制やノウハウ・技術に関する **情報発信力** が弱く、厚労省やPMDAの **国際対応体制** も脆弱

## III 今後必要な対応～日本が世界の「レファレンスカントリー」になるために～

### 1 世界に先駆けて革新的な医薬品、医療機器等が承認される環境の整備

※各国が薬事制度を運営する上で参考とする国

- ・ 先駆け審査指定制度の確実な運用、**クリニカル・イノベーション・ネットワーク** の構築、PMDAに設置する **「レギュラトリーサイエンスセンター」** での **ビッグデータ** を活用したレギュラトリーサイエンス研究の推進

### 2 国際社会への積極的な情報発信

- ・ PMDAに **「アジア医薬品・医療機器薬事トレーニングセンター」** を設置し、アジア主要国に赴いた研修を含め、アジア規制当局のニーズに応じた効果的なトレーニング機会を提供

### 3 プライオリティを明確化した分野別(医薬品、医療機器、再生医療等製品)の戦略的な取組

例えば **医薬品** については、以下のような取組を推進。

- ・ **日米欧3極** での **国際調和の枠組み(ICH)** の一角として、**アジア地域** の薬事規制の構築に貢献
  - 短期: **ASEAN主要国の簡略審査制度** における **欧米と同等の位置づけ** を目指す
  - 中長期: **中核トレーニング施設** の国内からの選出による **共同治験の推進**、**審査協力の推進**

### 4 継続性・一貫性のある国際規制調和・国際協力の推進

- ・ 厚労省・PMDAに **国際担当組織** を設置。 **国・地域別の担当者制** を導入。 **戦略の進捗管理**、**見直し** の実施

# アジア諸国との規制調和推進と協力

## 背景

- 米国は、アジア各地への地域事務所(中国、インド等)の開設やシンポジウムの開催等により自国の医薬品・医療機器等に係る規制・制度を積極的に普及しており、欧米で承認を受けた製品は、アジア諸国において簡略審査制度等の対象だが、日本の製品は欧米と同等の位置づけを得られていない。
- 中国、シンガポールなどは国際共同治験の中心となるべくAPECの中核トレーニングセンターを設立。

## 対応： アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター(平成28年4月1日設置)

- アジア規制当局担当者に対するトレーニングの企画・立案・調整を行う**アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター(アジアトレセン)**をPMDAに設置し、アジア主要国に赴いた研修を含め、アジア規制当局の要望のある分野や審査・査察等の能力に応じた効果的なトレーニング機会を提供。
- 日本も、APECの国際共同治験の中核トレーニング施設を整備。

日本のレギュラトリーサイエンスのノウハウや医薬品・医療機器等に係る規制等についてのアジア規制当局担当者に積極的に発信して理解を促進。また、アジア全体の医薬品・医療機器等に係る規制のレベルアップにも貢献



10. 先端的研究開発及び新産業創出に関する教育及び  
学習の進展、広報活動の充実等

# 10. 先端的研究開発及び新産業創出に関する教育及び学習の進展、広報活動の充実等

## 臨床研究情報ポータルサイトの改修

国民・患者の視点から利用しやすいよう、①コンテンツ・項目の改修（一般向けサイト、病気・医薬品の解説の追加等）、②検索機能の強化（疾患分類の複数後検索、AND OR検索の追加等）、③デザインの改修 等を実施。

### 臨床研究情報ポータルサイト

患者様・ご家族など一般の方向け



入力したキーワードを含む治験情報及びその他の情報を検索可能。

治験に関する学習コンテンツを利用可能。

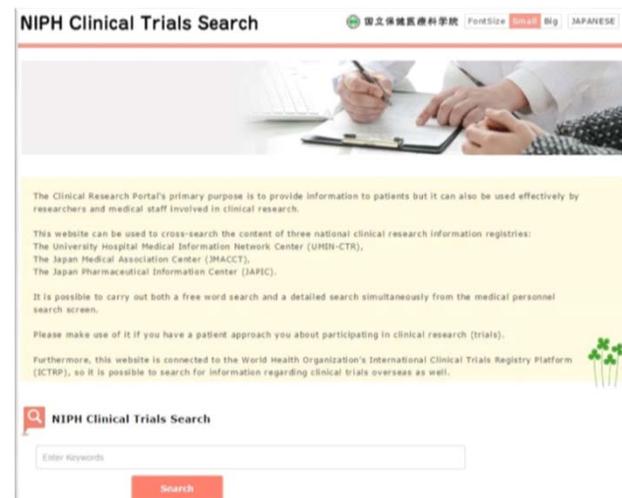
医療関係者の方向け



治験情報の各項目に対してそれぞれ検索条件を指定可能。

全文検索用のキーワード入力も可。

英語



国内外の専門家向け。  
英語による検索が可能。

11. ゲノム医療実現に向けた取組(「ゲノム情報を用いた医療等の実用化推進タスクフォース」について)

# ゲノム情報を用いた医療等の実用化推進タスクフォースについて

## ●ゲノムTF構成員

鎌谷 直之	東京女子医科大学膠原病リウマチ痛風センター客員教授
小森 貴	公益社団法人日本医師会 常任理事
斎藤 加代子	東京女子医科大学附属遺伝子医療センター 所長・教授
佐々 義子	特定非営利活動法人くらしとバイオプラザ21 常務理事
末松 誠	国立研究開発法人日本医療研究開発機構 理事長
鈴木 正朝	新潟大学法科大学院
高木 利久	東京大学大学院理学系研究科生物科学専攻 教授
高田 史男	北里大学大学院医療系研究科臨床遺伝医学 教授
辻 省次	東京大学ゲノム医科学研究機構 機構長
堤 正好	一般社団法人日本衛生検査所協会遺伝子検査受託倫理 審査委員会 副委員長(株式会社エスアールエル)
○福井 次矢	聖路加国際病院 院長
藤原 康弘	国立研究開発法人国立がん研究センター 企画戦略局長
別所 直哉	特定非営利活動法人個人遺伝情報取扱協議会 理事長
宮地 勇人	東海大学医学部基盤診療学系臨床検査学 教授
武藤 香織	東京大学医科学研究所ヒトゲノム解析センター公共政策 研究分野 教授
山本 隆一	東京大学大学院医学系研究科医療経営政策学講座 特任准教授(情報学環兼任)
横田 浩充	一般社団法人 日本臨床衛生検査技師会 医療政策委員
横野 恵	早稲田大学社会科学総合学術院 准教授

○は座長  
(敬称略)

## ●これまでの検討状況

- 第1回 平成27年11月17日
  - (1)ゲノム情報を用いた医療等の実用化推進タスクフォースについて
  - (2)ゲノム医療等をめぐる現状と課題について
  - (3)今後の検討課題と検討の進め方(案)について
  - (4)改正個人情報保護法について
  - (5)その他
- 第2回 平成27年12月2日
  - (1)改正個人情報保護法におけるゲノム情報の取扱いについて
  - (2)その他
- 第3回 平成27年12月25日
  - (1)改正個人情報保護法におけるゲノムデータ等の取扱いについて
  - (2)その他
- 第4回 平成27年1月27日
  - (1)ゲノム医療に関連する施策について
  - (2)今後の検討課題と検討の進め方(案)について
  - (3)医療における遺伝子関連検査について
  - (4)消費者向け遺伝子検査ビジネスについて
  - (5)その他
- 第5回 平成28年2月18日
  - (1)医療における遺伝子関連検査の品質・精度の確保について
  - (2)その他
- 第6回 平成28年3月11日
  - (1)ゲノム医療の提供のあり方について
  - (2)当面の対応と今後の研究開発の方向性について
  - (3)その他
- 第7回 平成28年3月30日
  - (1)ゲノム医療の質の確保について
  - (2)消費者向け遺伝子検査ビジネスについて
  - (3)その他
- 第8回 平成28年6月1日
  - (1)ゲノム医療等の質の確保について
  - (2)ゲノム医療等の実現・発展のための社会環境整備について
  - (3)その他

# ゲノム情報を用いた医療等の実用化推進TF における当面の検討課題

---

## 1. 改正個人情報保護法におけるゲノム情報の取扱い

- 「個人識別符号」との関係について
- 「要配慮個人情報」との関係について

## 2. 「ゲノム医療」等の質の確保

- 遺伝子関連検査の品質・精度の確保について
- 遺伝子関連検査の結果の伝え方について

## 3. 「ゲノム医療」等の実現・発展のための社会環境整備

- ゲノム情報に基づく差別の防止について
- データの管理と二次利用について

※ 本TFにおいては、ゲノム情報を用いた医療及びビジネスを検討の範囲として設定する。

# ゲノム情報を用いた医療等の実用化推進TF における当面の検討の進め方

H27.11.17

H27.12末

H28.3末

H28.夏

## TFにおける検討課題

1. 改正個人情報保護法  
におけるゲノム情報の  
取扱い

- 「個人識別符号」との関係について
- 「要配慮個人情報」との関係について  
(3回)

2. 「ゲノム医療」等の  
質の確保

- 遺伝子関連検査の品質・精度の確保について
- 遺伝子関連検査の結果の伝え方について  
(3~4回)

3. 「ゲノム医療」等の  
実現・発展のため  
の社会環境整備

- ゲノム情報に基づく差別の防止について
- データの管理と二次利用について  
(3~4回)

報告書のとりまとめ