

現行の「医療分野研究開発推進計画」に係るパブリックコメントについて

○パブリックコメント募集期間：平成28年9月5日（月）～10月4日（火）までの1か月間

※現行の「医療分野研究開発推進計画」の見直しに当たり、見直すべき点や新たに盛り込むべき事項等について意見を募集

○意見の件数：4件（内容は以下のとおり）

NO.	意見内容
1	<p>創薬はプロフェッショナルとして企業経験がなければ取り組めない課題である。</p> <p>基盤プラットフォーム事業は、アカデミアの素人に予算をばらまいているのみで成果は期待できない。AMED-iD3 か理研創薬プログラムの意向を反映した真に必要なとする基盤に組み替えるべきである。</p> <p>また創薬支援にあたってプロの目が必要であり、iD3 の採択課題は質が悪く、スクリーニング系もできておらず、コンフィデンスが低い。目利きとして雇用されているメンバーが機能していない。</p> <p>一方理研創薬プログラムは6年間成果を上げ続けており、そのノウハウとコアメンバーによるアドバイスのもとで支援事業の組織改編が必要である。</p>
2	<p>2. 各論の（5）「達成すべき成果目標（KPI）」について（P33）</p> <p>「オーダーメイド・ゲノム医療」の中の「うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始」の部分。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「うつ」は病名ではなく症状名なので、用語使用の見直しが必要かもしれません。</li> <li>・うつ病に対するゲノム医療は全く確立されていない分野で、倫理委員会の審査を通過するだけでもかなり苦勞が多いのではないかと考えます。「達成すべき」成果目標に入れるには、時期尚早ではないかと拝察致しました。</li> </ul>
3	<p>&lt;医療分野研究開発推進計画&gt;</p> <p>Ⅱ. 1.（1）②「循環型研究開発」の推進とオープンイノベーションの実現</p> <p>→ レギュラトリーサイエンスの推進に係る記述（16 ページ 25～28 行目）について、次の新たな記述を加える。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・小児医薬品の先行開発に資する安全性評価研究、連続生産などの新規の医薬品等の生産・流通方法に対応するためのレギュラトリーサイエンス研究、安全性評価における AI 活用の推進等を行う。</li> </ul>

NO.	意見内容			
4	<b>「医療分野研究開発推進計画」に関する意見</b>			
医療分野 研究開発 推進計画	なし	なし	健康医療戦略 p18 にはベンチャー支援に対する戦略が記載されているが、医療分野研究開発推進計画には記載がないため項目を作成して記載すべき。	ベンチャー支援に対する推進計画として「Venture Challenge 2020」や「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報告書」等が公開されているが、医療分野研究開発推進計画には記載がない。
医療分野 研究開発 推進計画	P12	(ii) 研究者・専門家の育成・人材確保	医療分野（創薬、再生医療など）の高度化・革新性からアカデミアと産業界の距離を縮め、また、間をブリッジするベンチャー企業が活発化する必要があり、そのための人材の交流を、「国としてどう活発化するかの具体策の検討を実施する」ということを記載していただきたい。	米国におけるアカデミアやベンチャー発の創薬が活発な理由のひとつは、人材の交流が活発なためである。
医療分野 研究開発 推進計画	P18	医薬品分野	下線部の記載を追加してはどうか。 「・・・ドラッグリポジショニングに向けた産学官の連携を含めた研究体制の構築・・・」	ドラッグリポジショニングの取り組みは産学連携が重要と思われるため。

NO.	意見内容				
4	医療分野 研究開発 推進計画	P23	(3)エビデ ンスに基づ く医療の実 現に向けた 取組	該当部分を下線部の記載に変更してはどうか。 「・・・生命倫理の課題等への対応の支援、疾患検体バンクの整備を行うとともに、 <u>匿名化されたデータや患者由来の試料などへ企業などがアクセスできる</u> ・・・」	近年の創薬研究では、ヒト臨床サンプルを使用した研究の重要度が高まっているため。
	医療分野 研究開発 推進計画	P23	(3)エビデ ンスに基づ く医療の実 現に向けた 取組	13行目最後に以下の文章を追加してはどうか。 「そのためには国民及び社会の理解と協力が不可欠であり、国民に対する啓発やコミュニケーション活動に取り組む。」	日本は海外に比べ、ヒト臨床情報、サンプルの利用が難しく、そのことが日本での創薬研究に関するnegative factorとなっている。早急に整備が必要だが、そのためには国民及び社会の理解は欠かせないと考えられる。（「ゲノム医療実現推進協議会 中間とりまとめ」に同様の文言が記載されている。）
	医療分野 研究開発 推進計画	P24	(4)ICTに関 する取組	該当部分を下線部の記載に変更してはどうか。 「・・・ICTによるビッグデータの活用を含む実践的なデータベース機能の整備とともに、 <u>匿名化されたデータへ企業などがアクセスできるよう早急な対応が求められる。</u> 」	健康・医療戦略 P10・34 行の「ICTに関する取り組み」の項目と同様、企業からのアクセスも盛り込むことが望ましいため。
	医療分野 研究開発 推進計画	P26、 27	(5)①再生 医療の実 現:27P 16 行目	下線部の記載を追加してはどうか。 「・・・ <u>推進し、研究の効率化・標準化や実用化に向けたコストの削減等を図る必要がある。</u> また、iPS細胞等のバンク化及び他家細胞移植治療」	産学連携の具体的な内容を記載した方が良いと思われるため。

NO.	意見内容				
4	医療分野 研究開発 推進計画	P26、 27	(5)①再生 医療の実 現:27P 26 行目	下線部の記載を追加してはどうか。 「・・・制に応じた規制も必要であり、 高い品質および安全性を確保するための 試験検査実施体制」	再生医療分野では、品質に並んで高い安全性が必要と いう認識になっているため。
	医療分野 研究開発 推進計画	P29、 30	②ゲノム医 療の実現	ゲノム解析機器、オミックス解析機器の 臨床実装を促進する施策について検討さ れてはどうか。	Precision Medicine を実践していくためにはクリニカル シーケンス等の臨床実装が必要である。また、健康・医療戦略 p7 に記載のような循環型研究開発をさらに推進していくためには医療現場でのゲノム・オミックス解析等を促進し、そのデータを研究レベルで応用できる基盤整備が必要であると考えられる。
	医療分野 研究開発 推進計画	P29、 30	②ゲノム医 療の実現 「オーダー メイド・ゲ ノム医療」	疾患及び健常者バイオバンクの構築に加 えて、前向きコホート研究の推進を追加 すべき。	健康医療戦略 P8 では、健常者に関する大規模コホートについて記述があるが、推進計画にはコホート研究について、どこにも全く記述がない。 健康長寿社会を先制医療を推進することで実現するためには、長期間にわたって、継続的に科学的に信頼しうるデータを収集する大規模前向きコホート研究を国策として着実に実施する必要があると考えます。

NO.	意見内容			
4	医療分野 研究開発 推進計画	P39	<p>(9)研究基盤の整備 「ビッグデータについて」</p> <p>ストレスフリーな状況下でオールジャンでの医薬品創出を行うために、臨床試験から得られる膨大なデータの取り扱いに関して、それらの情報を得るための貢献度に応じて所有するなど明確な基準・指針を示すように検討をしていただきたい。</p> <p>また、右記の状況を鑑み、被験者に対するインフォームド・コンセントにおいて、従来の項目に加え、遺伝情報もビッグ・データ構築のために用いること、企業に提供することなどを加えることにより、大学の負担の軽減できると共に、ビッグ・データを利用した医薬品創出のための環境整備につながると考える。</p> <p>さらに、これらの情報を管理するための法的な整備についても検討していただきたい。</p>	<p>臨床試験から得られる膨大なデータ、それらを解析した情報、さらに被験者の遺伝情報をも含めた情報は、今後ビッグ・データとして医薬品創出過程で重要なツールになるものと認識されており、今後もその重要性がますます増大すると考えられる。特に上記したドラッグ・リポジショニングにおいては、臨床データから得られる情報の重要性が高い。</p> <p>しかし、現状では、企業および大学におけるその取り扱いについて明確な基準や指針が存在せず、企業および大学の双方にとってストレスの原因となっている。</p> <p>特に医師主導型治験においては企業が医薬品候補化合物の提供等の負担をしているが、通常、それらの情報は大学が所有する。企業が創薬活動を行う際、新たな用途発明を獲得するために必要なデータについては、更なる対価を支払ってそれらの情報を購入しなければならない。一方、大学にとっても治験前の契約において企業と交渉しなければならない。</p>

NO.	意見内容			
4	医療分野 研究開発 推進計画	P40	(10) 知的 財産のマネ ジメントへ の取組「ド ラッグ・リ ポジショ ニングにつ いて」	<p>1) ドラッグ・リポジショニングについては、「医療分野研究開発推進計画」および「医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2016」において、知的財産教育の充実、知的財産管理専門家の育成や活用などの活動と異なり、具体的な取組が記載されていない。今後、具体的な方策・フレームワークの検討を要望する。</p> <p>具体的な方策のひとつの例として、AMED などでも未だ取り組まれていないと思われる、開発を中止した医薬品候補化合物の情報データベースを作成することがあげられる。以前作成されたリサーチツールに関するデータベースについては、その活用の結果ライセンス活動において一定の成果が見られた。ドラッグ・リポジショニングについても、そのような取り組みを行うことにより、企業が情報提供をし易くなり、AMED の行っている大学と企業とのマッチング活動の効率を上げる効果も期待できる。</p> <p>1) 新薬の創出が難しい昨今の環境下、オールジャパンでの医薬品創出のひとつの手法として、ドラッグ・リポジショニングの重要性が高まってきている。大学等のアカデミア（以下、大学という）におけるドラッグ・リポジショニング研究は、大学の研究者（医師）が、製薬企業の協力を得ながら進めているのが現状である。企業にも自社で創出した医薬候補化合物を活用して欲しいという気持ちもあり、大学に化合物の提供、知的財産権のライセンスアウト等を行っている。</p> <p>2) ドラッグ・リポジショニングについては医師主導型治験など一定の実績があるものの、その有用性の検証もなされていないのが現状である。</p>

NO.	意見内容				
4				<p>一方、候補化合物として、別の疾患に対する治療薬として上市済みのもの、臨床試験中のもの、対象疾患において十分な有効性が確認できなかったもの、ビジネス上の理由から開発しなかったもの、その他科学的な理由から開発を断念したものなどが考えられる。企業としてはドラッグ・リポジショニング研究を大学と共同して進めていく上で、どのようなリソース（例えば上記した候補化合物のステージ等）が必要とされているのかを理解することが重要である。</p> <p>このように、企業の情報提供のみではなく、大学のニーズを共有することも重要である。これも AMED の行っているマッチング活動との連携で対応できる可能性がある。</p> <p>2) 通常の創薬活動ではその成功確率が数字として出されているが、ドラッグ・リポジショニングの場合、どのくらいの確率で上市に至ったのかを具体的に示すなどの情報、成功例・失敗例などの情報があれば、上記データベースやマッチングとあいまってオールジャパンでの医薬品創出に資することになると考える。</p>	

NO.	意見内容				
4	医療分野 研究開発 推進計画	P41、 42	(1)①医療 に関する研 究開発のマ ネジメント ピア・レビ ュー方式の 導入の現状 について	個別研究課題の選定にピア・レビュー方式を導入することになっているが、選定段階の評価を行う委員名は非公開であることから、国民には現状が把握できない。まずは、レビュー制度の現状を開示してもらいたい。また、AMED 理事長は若手研究者にピア・レビューを経験させたいとおっしゃっていたが、その進捗はどうなっているのか。合わせて現状の説明をお願いしたい。	
	医療分野 研究開発 推進計画	P43	(2)基礎研 究から実用 化へ一貫し てつなぐプ ロジェクト の実施	医薬品創出の達成目標という数値目標も重要であるが、各研究プロジェクトの進捗管理・レビューを的確に実施することも強調していただきたい。	有望プロジェクトへのリソースへの優先投入とワン-イン-ワン-アウトを行うことが必要と思われる。
	医療分野 研究開発 推進計画	P49	<新興・再 興感染症>	達成目標の病原体名に「ジカ熱」が入っていないが入れて診断法、ワクチン開発を進めていただきたい。	ジカ熱は、妊婦が感染すると胎児が小頭症になるリスクが指摘され、感染しても発熱など症状が無い不顕性感染もあり、男性が感染した時は6ヶ月間の性交渉の禁止も推奨される等大きなリスクとなっている。医療分野研究開発推進計画に盛り込んで、東京オリンピックに向け対策を強化していただきたい。



NO.	意見内容				
4	医療分野 研究開発 推進計画	P50	<難病>	希少・難病に関するKPIが臨床試験の実施数となっているが、臨床試験の実施を促進するための具体的な施策とその目標を設定すべき	<p>希少・難病治療薬の研究開発が持続的・継続的に実施されるための仕組みと目標設定が必要である。特に臨床試験の実施を促進するため、産学官が連携して臨床試験のエンドポイントを設定する仕組み、臨床試験の資金援助を行う仕組みの設定が必要である。</p> <p>希少・難病は長期間を経て病状が進行し、治療の発現が緩和な傾向があり、治療効果を確認するのに時間がかかりすぎる。また、対象とする患者群と特定するためには、患者の自然歴を把握する必要がある。産学官が連携して前向き自然歴・コホート研究を実施し、その結果を踏まえて臨床試験をデザインする事が必須である。加えて、臨床研究で希少・難病に対して効果が確認された場合でも製薬企業として多大な臨床開発投資が必要となるため製品化を積極的に追求できない。希少・難病治療薬の臨床試験を促進するため、国からの資金援助等の対策も必要である。</p>
	医療分野 研究開発 推進計画	P55	別添：用語集  基礎研究の定義の明確化	臨床研究の定義は明記されているが、基礎研究の定義がはっきりしない。米国では、基礎研究は知識の獲得が目的であり、実質的な応用の義務のないものと定義していると聞きます。AMEDが考える基礎研究はそうではないと理解するが、基礎研究の定義を明確にすることで、TR研究の目的やゴールも明確になると考えます。	用語集に基礎研究の定義がないため。