

医療イノベーションの推進により目指すこと（他の疾患分野）

5年以内に目指すこと

○ **難病** ： 患者数が少なく治療法の確立していない難病について、国が重点的に研究を主導する。
これにより、各種の難病に対する画期的な治療法が病院などで利用できることを目指す。
(失明した難病患者の視力を回復する技術、神経変性難病患者の治療薬の開発など)

○ **肝炎** ： 肝炎は、感染者が約300万人を超える国内最大級の感染症であり、がん予防の観点からも、画期的な医薬品を開発する必要がある。特に、C型肝炎に比して有効な治療法が確立されていないB型肝炎に対する画期的な治療薬の開発を進め、治療を目指す。

○ **感染症** ： 近年、新型インフルエンザが発生するとともに、エイズが増加傾向にあることなどから、効果的なワクチンを開発することにより、感染症の発生を予防する必要がある。このため、次世代ワクチン（新たな混合ワクチン、万能ワクチン、遺伝子組み換えワクチンなど）、エイズ予防ワクチンの実用化に向けた治験などを促進する。

そのために取り組むこと

創薬支援ネットワークを活用し、以下の取り組みなどを促進

- **難病** ： 画期的な治療法に関する治験の推進
- **肝炎** ： 新規治療薬の開発を目指した創薬研究の推進
- **感染症** ： 次世代ワクチンなどの開発の推進

医療イノベーション5か年戦略（抄）

平成24年6月6日 医療イノベーション会議

Ⅲ 分野別戦略と推進方策

Ⅲ－1 革新的医薬品・医療機器の創出

Ⅲ－1－1 研究開発の推進と重点化

3. がん領域等研究開発の重点領域

（1）医薬品・医療機器分野の中で選択と集中を不断に行い、以下の領域を重点的に推進する。

① がん、難病・希少疾病、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管疾患、精神神経疾患、小児疾患等

② 最先端の技術（再生医療、個別化医療、バイオ医薬品等）

（2）（1）の重点領域については、以下のように研究開発を進める。

① がん、難病・希少疾病、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管疾患、精神神経疾患、小児疾患等

イ その他の疾患領域

Ⅲ－1－3の創薬支援ネットワークを活用しつつ、難病や肝炎等の希少性、難治性疾患等に対する革新的な実用化研究を推進し、5年以内に患者に希望をもたらす新規治療法等を提供することを目指す。また、インフルエンザ等の感染症に対する次世代ワクチンやエイズ予防ワクチンの研究開発を推進し、5年以内に実用化に向けた治験等の促進を目指す。その一環として、以下の具体的な取組を進める。

i 難病・希少疾病、小児疾患のための医薬品・医療機器開発のための臨床研究・医師主導治験等（毎年度実施する。：厚生労働省）

Ⅲ－１－４ 臨床研究・治験環境の整備

１．質の高い臨床研究の実施体制の整備（臨床研究中核病院など）と臨床研究の適正な実施ルールの推進

（１）国際水準の臨床研究や難病、小児領域等の医師主導治験の実施体制を有するとともに、複数病院からなる大規模ネットワークの中核として、窓口の一元化等を図り、多施設共同研究の支援を含めたいわゆる ARO (Academic Research Organization) 機能を併せ持ち、高度かつ先進的な臨床研究を中心となつて行う臨床研究中核病院を整備する。併せて、新規医薬品・医療機器について、世界に先駆けてヒトに初めて投与・使用する試験や開発早期に安全性、有効性を少数の対象で確認する試験等を行う早期・探索的臨床試験拠点を整備するため、５か所の医療機関に対して引き続き助成を行う。（平成２５年度までに１５か所程度整備する。：厚生労働省）

Ⅲ－１－１０ 希少疾病や難病などのアンメットメディカルニーズへの対応

○ 希少疾病用医薬品・医療機器の開発を支援するため、独立行政法人医薬基盤研究所による指導・助言体制や指定制度・助成金の充実・強化を行う。希少疾病用医薬品・医療機器の開発に対する支援について、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器の指定制度・助成金や専門的な指導・助言体制の充実・強化を行う。（平成２４年度から実施する。：厚生労働省）

Ⅲ－２ 世界最先端の医療実現

Ⅲ－２－１ 再生医療

Ⅲ－２－１－１ 研究資金の重点化

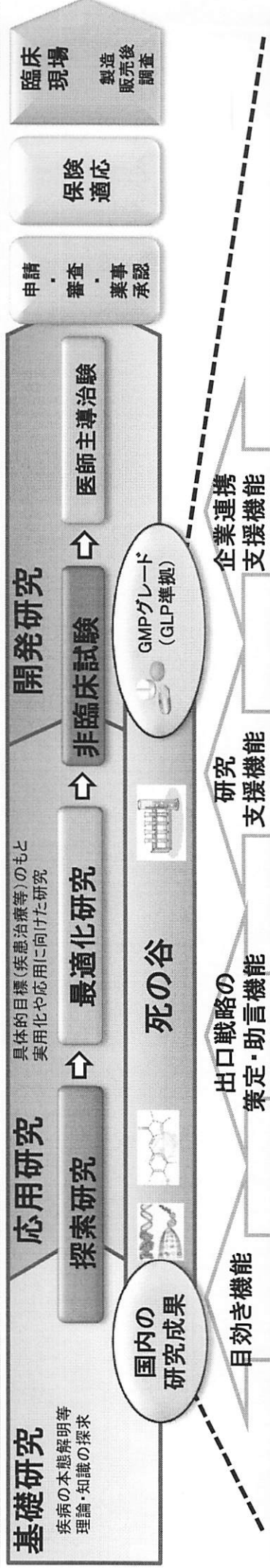
３．iPS細胞等を活用した難病治療法や創薬等に係る研究

（２）これまで治療法の無かった難病を克服するため、患者由来の iPS 細胞を用いた希少疾患・難病の原因解析や創薬等に係る研究を推進する。（毎年度実施する。：文部科学省、厚生労働省）

創薬支援ネットワークの構築

内閣府医薬イノベーション推進室
厚生労働省
文部科学省
経済産業省

アカデミア等の優れた基礎研究の成果を確実に医薬品の実用化につなげるため、厚労省の医薬基盤研究所が中心となって本部機能を担い、理研と産総研を中心に大学等との研究関係機関で構成する「創薬支援ネットワーク」を構築。
このネットワークでは、「死の谷」と呼ばれる応用研究（特に最適化研究～非臨床試験まで）の段階を中心に切れ目のない実用化支援を行い、企業への導出等を図る。

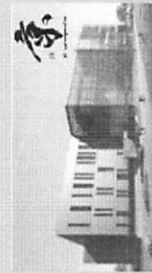


4

創薬支援ネットワーク

【理化学研究所の取組み】

SACLA、SPRING-8、京コンピュータ等の研究基盤を利用した探索研究および最適化研究の支援※



※製薬企業から化合物と創薬化学スタッフを補充することで、探索研究から最適化研究を経て権利化し、企業へ導出するまでの一貫した創薬プロセスを実現



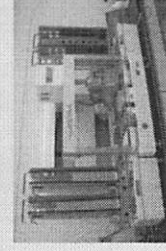
【医薬基盤研究所の取組み】

（ネットワークの本部機能）
創薬支援戦略室（仮称）の設置
・有望シーズの調査、評価、選定
・出口戦略の策定、助言
・応用研究等の支援
・研究開発費の投入（助成）
・企業連携支援 等



【研究関係機関】

HTS、薬効薬理、創薬化学（合成）、結晶構造解析等、創薬に必要な研究プロセスを支える研究関係機関が参加し、強固な連携のもと、創薬支援ネットワーク機能を担う。
（例）創薬オープンIC、阪大、東北大、がん研 等



【産業技術総合研究所の取組み】
計測基盤技術・ツールを用いた探索研究および最適化研究の実施
・これまでに構築したインフラとノウハウを活用して、ライブラリーのスクリーニング等を支援
【次世代天然物化学技術研究組合】
・世界最大級の天然化合物ライブラリー

創薬支援ネットワーク協議会・実務者会議による強固な連携・協力体制を形成

9

希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・デバイス） の開発支援について

制度の目的

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器の開発を支援する。

オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

対象者数

対象者数が国内において5万人に達しないこと

医療上の必要性

代替する適切な医薬品・医療機器又は治療方法がないこと、又は既存の医薬品・医療機器と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること

開発の可能性

対象疾病に対して、当該医薬品・医療機器を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること

これらの条件を
満たす医薬品・
医療機器を指定
(薬事法第77条の2)

支援等の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施

総審査期間の中央値
(平成23年度PMDA目標)

新医薬品（優先品目）9ヵ月（通常品目は12ヵ月）
新医療機器（優先品目）は15ヵ月（通常品目は20ヵ月）

申請手数料の減額

再審査期間※の延長

医薬品においては通常8年を10年、医療機器においては通常4年を7年に延長。

※再審査期間：先発品がこの期間中である場合は、後発品であっても承認申請の際に、先発品と同様の資料が必要。
(→その結果、この期間は先発品の開発企業のみが市場供給を行う場合が多い。)

試験研究費への助成金交付

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

税制措置上の優遇措置

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

未承認薬・適応外薬解消に向けての検討について

欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。

未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。募集期間は第Ⅰ回は2009年6月18日から8月17日まで、第Ⅱ回は2011年8月2日から9月30日まで。

＜公募した要望の要件（第Ⅱ回）＞

○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されていること。

○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されていること。

次の（１）及び（２）の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

（１）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）

イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

（２）医療上の有用性が次のいずれかの場合

ア 既存の療法が国内にない

イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

医療上の必要性を評価

【学会、患者団体等】
未承認薬・適応外薬に係る要望

→ 重複をまとめると

・第Ⅰ回要望は374件

・第Ⅱ回要望は290件

【関連学会、製薬企業】
要望に係る見解の提出

2012年4月まで

企業に開発要望

第Ⅰ回要望は167件

第Ⅱ回要望は67件

開発企業を募集

第Ⅰ回要望は19件

第Ⅱ回要望は13件

【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

・希少疾病用医薬品指定等により
開発支援

・公知申請への該当性の妥当性を
確認

・承認申請のために実施が必要な
試験の妥当性を確認

医療上の必要性の
高い未承認薬・適応
外薬検討会議

WG（分野ごと設置）

臨床研究・治験活性化5か年計画2012の概要(1)

文部科学省・厚生労働省 平成24年3月30日策定

1. 9年間の活性化計画を踏まえた更なる飛躍と自立

これまでの取組の成果を踏まえ、人材育成に取り組むとともに、より良い治験環境・治験実施体制を構築する

(1) 症例集積性の向上

共同IRB*の活用やネットワーク事務局の機能強化等による治験ネットワークの促進

(2) 治験手続きの効率化

「治験等の効率化に関する報告書」に記載された方策の徹底

(3) 医師等の人材育成及び確保

CRC*、IRB委員等を対象とした研修の継続的な実施
臨床研究・治験に精通する医師やその他の医療関係職種の育成

(4) 国民・患者への普及啓発

臨床研究・治験の意義に関する普及啓発

(5) コストの適正化

出来高払い制度の徹底と治験のコストの適正化についての検討

(6) IT技術の更なる活用 等

IRB等の業務のIT化 等

* IRB: 治験審査委員会 (Institutional Review Board) CRC: 臨床研究コーディネーター (Clinical Research Coordinator)

(注) 本計画では、今後2～3年以内に達成すべき事項を「短期的に目指すこと」、今後5年以内に達成、又は検討に着手すべき事項を「中・長期的に目指すこと」と整理している

臨床研究・治験活性化5か年計画2012の概要(2)

文部科学省・厚生労働省 平成24年3月30日策定

2. 日本発の革新的な医薬品、医療機器等創出に向けた取組 (イノベーション)

(1)臨床研究・治験の実施体制の整備

- ・質の高い臨床研究等を実施する拠点の整備(橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院、日本主導型グローバル臨床研究拠点)

(2)臨床研究における倫理性及び質の向上

- ・「臨床研究に関する倫理指針」について、その他の指針との関係を整理
- ・倫理指針において、被験者保護に加えて臨床研究の質に関しても規定するよう検討
- ・倫理審査委員会の認定制度の導入等により、倫理審査委員会の審査の質の向上を推進

(3)開発が進みにくい分野への取組の強化等

- ・小児疾患、希少・難治性疾患、医療機器、先端医療への取組等
- ・質の高い臨床研究に対する研究費等の優先的配分

(4)大規模災害が発生した際の迅速な対応

- ・災害発生時の被験者の安全やデータの信頼性の確保