

IV-5 各省施策から期待される成果

(1) 政策課題「がん等の社会的に重要な疾患の予防、改善及び治癒率の向上」

がんの医薬品・診断薬については、平成 27 年度までにがん細胞に特異的な分子を標的とした薬剤のプロトタイプや抗体等を 21 種類作製、早期がん診断用バイオマーカーを 3 種類開発（文部科学省）、また平成 29 年度までに次世代抗体の国産化に向けた長期にわたる安定な生産や品質解析の技術開発（経済産業省）、等によって、今後 10 年程度でこれら革新的医療を臨床段階へ移行させる。

がんの医療機器については、重粒子線がん治療技術について、360° 多方面から照射できる超伝導小型回転ガントリーの開発・導入や、呼吸による患部の動きや形状の変化に合わせて点描による照射を行う呼吸同期 3 次元スキニング照射等を平成 27 年度までに実現（文部科学省）、粒子線がん治療装置等を小型化、低コスト化するために高温超電導マグネットを実現する（経済産業省）。また、従来の PET 診断装置と比較して 10 倍の高感度かつ 10 倍の速度で診断ができ、世界初の開放型の PET 診断装置（Open-PET）を平成 27 年度までに開発（文部科学省）、高い空間分解能（2.5mm 以下）を持ち MRI に対応した PET 診断装置を平成 30 年度に販売等（経済産業省）、血液中のがん細胞を検出して遺伝子を診断するシステムを平成 29 年度から販売等、高線量 X 線ビームを臓器の動きに合わせて追尾照射して正常組織への被ばくを最小限に抑えた高精度 X 線治療装置を平成 28 年度から販売等、を目指し、微小がん（1cm）を早期に発見し、がんの特性を的確に把握して患者に最適な治療を実現する（経済産業省）。

精神・神経疾患（発達障害、うつ病、認知症等）については、平成 27 年度までに、発達障害の診断マーカー（画像等）、最適な治療法適用のために必要なうつ病等の分類に係る客観的指標、認知症に対する創薬候補物質の臨床研究につなげていくこと等を目指す（文部科学省）。また、認知症の発症と進展に係るマーカーを開発し、これを用いたアルツハイマー病治療薬の臨床試験を平成 32 年度までに開始させる（厚生労働省）。さらに平成 27 年度末までに、メンタルヘルス不調の発生と関連が深い職場での過度のストレスを健康リスクとして捉えたりスクアセスメント手法等を確立し、その普及を図る（厚生労働省）。

個人の特性に着目した予防医療については、平成 26 年度までに難治性自己免疫疾患（全身性エリテマトーデス等）や難治性皮膚疾患（小児アトピー性皮膚炎等）の発症予測バイオマーカーと治療標的分子の抽出、予防治療薬のスクリーニングを実施して、平成 29 年度までには予防治療薬の臨床試験の方法を検討する（文部科学省）。

(2) 政策課題「身体・臓器機能の代替・補完」

ヒト体性幹細胞を用いたヒト幹臨床研究については、角膜の再生は H24 年度までに、歯槽骨、関節軟骨等の再生は H25 年度までに、先進医療の承認等、実用化を目指す。他の基礎研究については臨床研究に進んだ段階で支援を開始し、4 年以内に先進医療の承認等を目指す。また、再生医療で課題となる免疫拒絶、造腫瘍性（がん化）等に関する研究、及び移植後の診断検査技術の開発を行い、安全かつ有効な再生医療技術

の確立を目指す（厚生労働省）。iPS 細胞あるいは ES 細胞を用いた研究については、加齢黄斑変性治療では平成 25 年度頃、角膜再生治療、重症心不全治療、パーキンソン病に対する幹細胞移植治療では平成 29 年度頃までの臨床研究への移行を目指し（文部科学省）、世界に先駆けた臨床研究を国として支援する（厚生労働省）。また、失われた組織・器官等を補助・代替し、機能回復するための再生医療デバイス等の開発・実用化に向けた研究を推進し、平成 26 年度末には臨床試験を開始するのに十分な前臨床試験データを蓄積する（経済産業省）。

平成 27 年度までに、幹細胞の自動培養、凍結保存、品質評価まで一体となった装置の実現を目指すほか（経済産業省）、iPS 細胞を利用した病態の解明や創薬スクリーニング系の開発を実施することにより（文部科学省、厚生労働省）、幹細胞の再生医療等への産業応用を促進するとともに周辺機器市場の競争力を強化する。

（3）政策課題「革新的医療技術の迅速な提供及び安全性・有効性の確保」

医薬品及び再生医療については、革新的医療技術である核酸医薬、ナノ技術応用 DDS（薬剤送達システム）、遺伝子治療薬、再生医療/細胞・組織加工製品について、安全性等に関する新たな評価手法の開発・標準化、評価の考え方や評価基準とともにガイドラインとして平成 29 年度までを目標に順次整備する（厚生労働省）。

医療機器については、実用化が見込まれる新規性の高い医療機器等を対象に、工学的安定性等に関する詳細な評価基準を合計 24 件の開発ガイドラインとして平成 25 年度までに取りまとめ、医療機器開発の効率化・迅速化を図り、実用化を促進する（経済産業省）。数年先の実用化が見込まれる医療機器やその周辺技術に関して、新規医療材料や IT・ロボット技術を用いた医療機器の評価試験法について、改良・改善が定期的に行われるという医療機器独自の特徴を踏まえつつ、その評価技術要素毎に平成 27 年度までに順次確立させ、平成 29 年度までに JIS 化及び国際標準化も目指す（厚生労働省）。

（4）政策課題「少子高齢化社会における生活の質の向上」

高齢者及び障がい児・者の認知機能・身体的機能を BMI 技術やネットワーク技術、ロボティクス等を利用し補助・代償する機器の開発、虚弱高齢者を対象とした要介護状態を予防するための介護予防プログラムの開発、介護者の身体的・精神的負担を大幅に軽減するための機器の開発、在宅における見守りサービスによる介護の質の向上と効率化のための機器・システムの研究開発、及びこれらの機器・システムを社会へ導入するための整備に取り組む施策を推進する（総務省、文部科学省、厚生労働省、経済産業省）。

小児の障害の予防と予後の改善の基盤整備等のため、妊娠中に母親から胎児に感染し、重篤な障害を引き起こす感染症について、対策の強化を行う。具体的には母子感染の実態把握、感染のスクリーニング及び標準的治療法の開発を図る。また、重篤な遺伝性疾患（原発性免疫不全症等）に対する新生児スクリーニング法を開発し、スクリーニング陽性者に対してはゲノム解析にて遺伝子診断を行うとともに、ゲノムコホ

ートの基盤整備を行う。個人の遺伝子変異情報に基づき最適な遺伝子・細胞治療法の適応及び時期を決め、遺伝子・細胞治療の開発を図る（厚生労働省）。

また、小児にも適用可能な、小型で長期在宅使用が可能な植込み型補助人工心臓を開発し、平成 32 年には実用化を達成して、心臓移植待機患者へ速やかに人工心臓が提供されることを目指す（経済産業省）。

IV-6 関連する国家戦略等

ライフイノベーション分野の対象施策の特定にあたっては、日本再生戦略（平成 24 年 7 月 31 日閣議決定）のライフ成長戦略及び医療イノベーション5か年戦略（平成 24 年 6 月 6 日 医療イノベーション会議）と方向性を一にし、これらに示された目標の達成に向けて各省の取組が着実に実施されるよう考慮している。なお、東北メディカル・メガバンク計画については、その社会的意義に鑑み、去る 8 月 31 日付の総合科学技術会議の評価結果に則して、今後、既存のバイオバンク及びコホート研究との連携を含め、組織体制を早急に整備するとともに、事業目的に沿った綿密かつ実現性の高い計画書を作成し、事業を実施・推進していく必要がある。

参考 重点的取組毎の施策数一覧

「震災からの復興・再生並びに災害からの安全性向上」

政策課題等	重点的取組	総務省	文部科学省	厚生労働省	農林水産省	経済産業省	国土交通省	環境省	計
命・健康を、災害から守る	① 地震発生情報の正確な把握と迅速かつ適切な発信						1		1
	② 津波発生情報の迅速かつ的確な把握		1				1		2
	③ 迅速かつ的確な避難行動をとるための備えと情報提供		1(1)				1(1)		2(2)
	④ 災害現場からの迅速で確実な人命救助	1							1
	⑤ 被災者に対する迅速で的確な医療の提供と健康の維持				2				2
仕事を、災害から守り、新たに創る	⑥ 競争力の高い農林水産業の再生		1		1				2
	⑦ 革新的技術・地域の強みを活用した被災地での雇用創出・拡大と産業競争力強化		2(1)						2(1)
	⑧ 災害時の行政機関・事業所等の事業継続の強靱性の向上								0
居住地域を、災害から守り、新たに創る	⑨ より低コストな液状化被害防止						1		1
	⑩ 地理的条件を考慮した配置・設計によるまちの津波被害の軽減		1						1
	⑪ 災害に対する構造物の強靱性の向上	1	1				4		6
	⑫ 大量の災害廃棄物の迅速、円滑な処理と有効利用							1	1
	⑬ 産業施設等による火災等の二次災害の発生防止機能の強化	2							2
	⑭ 新しいコミュニティづくりを促すコア技術の開発と実装								0
モノ、情報、エネルギー等の流れを、災害時も確保し、新たに創る	⑮ 迅速かつ的確に機能する強靱な物流体系の確保		1						1
	⑯ 必要な情報の把握・伝達手段の強靱性の確保	2					1		3
	⑰ 電力、ガス、上下水道の迅速な機能回復								0
放射性物質による影響	⑱ 放射性物質による健康への影響に対する住民の不安を軽減するための取組		1					1	2
	⑲ 除染等作業を行う者の被ばく防止の取組				1(1)				1(1)
	⑳ 放射性物質の効果的・効率的な除染と処分		1		1			1	3
	㉑ 農水産物、産業製品の放射性物質の迅速な計測・評価、除染及び流通の確保				1			1	2
㉒ 被災地である東北が故に可能な、あるいは、積極的に東北から全国・海外に発信可能な取組			1						1
計		6	11(2)	4(1)	2	0	9(1)	4	36(4)

()内は、特定施策のうち、AP新規施策(新規事業及び継続事業ながらH25年度アクションプランに初めて提案のあった施策)の数を示す。

「グリーンイノベーション」

政策課題	重点的取組	総務省	文部科学省	厚生労働省	農林水産省	経済産業省	国土交通省	環境省	計
クリーンエネルギー供給の安定確保	① 技術革新による再生可能エネルギー利用の飛躍的拡大		2		1	5	1	1	10
	② エネルギー供給のクリーン化					1(1)			1(1)
分散型エネルギーシステムの拡充	③ 革新的なエネルギー供給・貯蔵・輸送システムの創出	1	2(1)			3(1)			6(2)
エネルギー利用の革新	④ 技術革新によるエネルギー消費量の飛躍的削減	2	4(3)			22(5)	1		29(8)
社会インフラのグリーン化	⑤ 地球環境情報のプラットフォーム構築	1	2				2	1	6
	⑥ エネルギー・環境先進まちづくり		1		2	1	1		5
計		4	11(4)	0	3	32(7)	5	2	57(11)

()内は、特定施策のうち、AP新規施策(新規事業及び継続事業ながらH25年度アクションプランに初めて提案のあった施策)の数を示す。

「ライフイノベーション」

政策課題	重点的取組	総務省	文部科学省	厚生労働省	農林水産省	経済産業省	国土交通省	環境省	計
がん等の社会的に重要な疾患の予防、改善及び治療率の向上	① 個人の特性に着目した予防医療(先制医療(早期医療介入))の開発		1(1)						1(1)
	② がんの革新的な予防・診断・治療法の開発		5	1		4(2)			10(2)
	③ 生活習慣病の合併症に特化した革新的な予防・診断・治療法の開発								0
	④ うつ病、認知症、発達障害等の革新的な予防・診断・治療法の開発		1	2(1)					3(1)
身体・臓器機能の代替・補完	⑤ 再生医療の研究開発		1	2	1	2			6
革新的医療技術の迅速な提供及び安全性・有効性の確保	⑥ レギュラトリーサイエンスの推進による医薬品、医療機器、再生医療等の新たな医療技術の開発			1		1			2
少子高齢化社会における生活の質の向上	⑦ 高齢者及び障がい児・者の機能代償・自立支援技術の開発	1	1	3		2(1)			7(1)
	⑧ 小児期に起因する疾患の予防と予後の改善等に関する研究開発			1(1)					1(1)
計		1	9(1)	10(2)	1	9(3)	0	0	30(6)

()内は、特定施策のうち、AP新規施策(新規事業及び継続事業ながらH25年度アクションプランに初めて提案のあった施策)の数を示す。

第4回ライフィノベーション戦略協議会意見書提出 2012年9月24日

委員 桃井眞里子

ライフィノベーション阻害要因について

1) 研究段階での阻害要因

① 医学研究の基盤整備の欠如

研究者が自由に使用できるヒト試料バンクの整備等がなく、各研究者、研究グループが小規模の試料集積で研究を実施するため、国際的に競争できず、入手可能な外国の試料で研究することも少なくなく、日本からの、あるいは日本人の解析に基づく成果がでにくい。

バンク構築に財政支援した後に自立して運用できる体制、ルートの確保が不可欠（試料収集と運用に関する研究財団を設立しやすくする等）

① ‘医学研究の基盤である保健・医療統計整備体制の不足

癌登録の例でもわかるように、現場の医師が院内登録に時間を費やす体制では十分な登録ができない。医学研究の基盤整備としての疾病登録、統計、のためには、(1)財政支援、(2)人材育成、(3)電子カルテのあり方の検討、(4)国民の保健医療統計のあり方の検討、を要する。

例：乳幼児健診の調査票は市町村単位で作成、周産期医療連絡票は多くは県単位で作成、など、医療情報が活用できない体制である。

2) 研究から技術への移行段階での阻害要因

① 医薬品と治療機器、診断機器は異なる審査体制を要する：

医薬品と医療機器が同様に扱われるのは実情に合わない面がある。使用しつつ改善を頻回に進める必要のある医療機器については、効果の実証よりも安全性を主体にした審査体制が求められる点、薬剤とは基本的に異なる。

さらに、医療機器は治療機器と診断機器は分ける必要がある。診断機器の効果効能を治療機器と同等に薬事申請するのは現実的ではない。

診断機器の有効性評価も、迅速な実現化推進への工夫を要する。

② 人材不足： 基礎研究、研究領域間の連携、 研究・企業連携 等を橋渡しできる専門的知識を持つ人材の育成と職種の創生

3) 財政支援に関する問題

- ① 重要課題について何をすべきかのビジョンの共有がない：
最終的な目的、ビジョンを共有した上で、何を AP と設定するかの議論がない。
- ② 一定の課題が各省庁で分断されて研究費が立案されるため、無駄が多く、成果につながりにくい：
癌、生活習慣病、発達障害、認知症、うつ、等、国民の健康に関する重要課題に対して、基礎研究、開発研究、臨床研究、患者教育、療育、保健教育等、包括的な多様な研究が進行し、最終的に成果を挙げられるシステムがないため、各研究者が最終目的の共有がなされない。イノベーション戦略は、省庁ごとの立案ではなく立案、実施、評価するシステムが必要。

4) 国民の自己責任意識の涵養

何らかの問題が生じた場合に、「国の責任を問う」国民性が、イノベーションを阻害している側面もあるのではないかと。特に医療は、新たな医薬品、医療機器の使用については、一定程度、「自己責任」の認識がないため、様々なラグが生じている。「イノベーションの成果とその使用に関する自己責任」教育も同時に、重要である。

国民の保健医療推進への当事者意識の差は、コホート研究の質にも直接影響する。

「イノベーションの成果の実用化について」

吉岡康弘

再生医療・細胞治療におけるイノベーションの成果の実用化

	項目	課題	対策
1	再生医療・細胞治療の定義と分類	<p>再生医療、細胞治療の定義が不明確で人によってとらえ方が異なり議論がかみ合わない。</p> <p>1 [再生医療の定義 (広義)]</p> <p>○外傷や病気、さらには加齢などによって、機能欠損や機能不全に陥った臓器や組織の再生を促進し、機能を回復させる医療または医学</p> <p>2 [細胞治療の定義 (広義)]</p> <p>○ヒト細胞を輸注、移植することにより行う治療法の総称。細胞プロセッシング (Cell Processing) という細胞の調整、培養、加工などの工程が含まれる。</p> <p>3 [再生医療の分類]</p> <p>1) <u>細胞を使うもの</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・移植した細胞が体内に定着して機能を発揮するもの → 再生医療の概念に近い ・移植した細胞の出す生理活性物質により一時的に効果を発揮し、移植した細胞はいずれなくなるもの → 細胞治療の概念に近い ・自家細胞を使うもの →基本的には病院で行われる医療行為。外部のCPCを使って細胞加工をするケースは細胞加工業として企業がかかわる可能性がある (J-TEC の例) ・同種 (他家) 細胞を使うもの 多量に培養して工業製品として扱えるため産業として発展する可能性が大きい。この時、細胞のソース、その所有権は誰にあるのかが問題になる。 <p>2) <u>細胞を使わないもの</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・生理活性物質を使うもの →生理活性物質によりもともと体内にある細胞を活性化させ機能を再生させるもの。医薬品の概念に近い。 ・足場材料 (スキャフォールド) を使うもの →細胞が活動する足場を提供することで細胞の活性化を図り組織の機能を再生させるもの。医療機器の概念に近い。 	<p>再生医療、細胞治療の定義、用語の使い方を明確にして、ケースに分けて分類し、規制のあり方、実用化、産業化への展開を議論する。</p> <p>(参考)</p> <p>自家培養表皮 (J-TEC)</p> <p>自家細胞を病院外のCPCで培養してから患者に移植。 → 医療機器の扱い</p> <p>特定の施設で体表面積の30%以上の熱傷の患者に対して施設基準を満たす25施設限定で培養表皮20枚/人が適用範囲。(現在は120施設40枚に緩和) → これでは採算性なし</p> <p>自家培養軟骨</p> <p>自家軟骨細胞をアテロコラーゲン中で培養してから患者に移植 → 医療機器の扱い</p> <p>骨格筋芽細胞を心臓に移植 骨格筋が細胞を別施設で細胞シートに培養してから患者の心臓に移植する。移植した筋芽細胞は心筋にはならないが分泌する生理活性物質で心筋細胞を活性化させ</p>

		・人工臓器 →非生物学的に体の機能を補うもの（医療機器）	ると考えられている。 → 医薬品の扱い
	項目	課題	対策
2	実用化の定義 (実用化、事業化、産業化の違い)	産官学医でどこをゴールとしているのかあいまいなまま進めていることが多い。 [実用化] 人への投与の実現 [事業化] 経済的に再生産性が可能な提供体制 [産業化] 事業を支える周辺インフラまで含めて経済的に成り立つ状況	どこを目指すのかゴールを明確にする。 ・研究レベルで終わるのか ・国が補助をして続けるのか ・経済的に自立させるのか 産業化であれば、市場規模、コストの観点が重要
3	産学の連携	再生医療のイノベーションを産業に結びつけるには企業の視点が重要。学の成果を産に移そうとしても事業性がない場合が多く企業が引き取ることができない。一方で企業としては経済性が不明確な分野への初期投資がやりにくく研究のマンパワーを確保しづらい。特に再生医療は周辺技術が未整備であり多分野の企業の力を結集する必要があるが、資金、知財等の関係が複雑になり参画しづらい状況がある。	研究の初期から産学でプロジェクトを組み目標を明確にして研究、開発を進める。 国からの経済的な支援で企業研究者を派遣するなど企業が研究に参画しやすい環境を作る。
4	臨床研究から臨床試験へのシームレスな支援	臨床研究（先進医療）および臨床試験（企業治験）における継続的な支援が必要。 臨床研究データが治験データとして使えずデータを取り直す必要がある。	・各段階での経済的支援 ・治験における臨床研究データの活用基準の確立
5	再生医療、細胞治療の規制	再生医療の特殊性に合わせた規制が必要。 再生医療、細胞治療の分類ごとに実態に合わせた規制体系を確立する必要がある。細胞という個性のある生ものを扱うという点で、現在の医薬品、医療機器の範疇では対応できないことが多い。個々の細胞間差異、症例数の制限などから統計的に有効性を示すことが困難。安全性を最重視しつつも新しい治療を早期に患者に届けられるよう柔軟な対応が必要である。	再生医療、細胞治療を実態に合わせて分類し、それぞれに合った規制、制度を構築する。 安全性を確認した上で仮承認。市販後調査で有効性を確認し、確認できた時点で本承認する等の対応。
6	審査部門の専門力強化	急速に進歩している再生医療、細胞治療の分野では最新のサイエンスに基づいた判断が必要となる。専門家の登用、人材育成はもちろんであるが、産官学での専門家の異動、情報共有を活発にし、迅速な審査ができるようにする必要がある。知識が足りないとリスクを恐れるがあまり結果的に患者の利益を奪ってしまうことになりかねない。リスクとベネフィットのバランスをいかに判断するかがポイントであり、常に最新の科学、技術を持って判断する必要がある。	再生医療、細胞治療の専門家の登用、育成。 産官学での専門家の異動、情報共有化の推進

	項目	課題	対策
7	経済的支援	<ul style="list-style-type: none"> ・再生医療関連の研究開発はまだ市場が形成されていないために事業性が読みにくく企業として投資に踏み切ることが難しい。 ・事業化に進もうとすると安全性、信頼性が担保された専用の設備が必要となり初期投資がきわめて大きく投資判断が難しい。 ・臨床研究、治験に向けて多額の費用が必要であるにもかかわらず、適用範囲など承認の条件が予想できず採算性が判断しにくい。 ・アカデミアの成果を実用化に結びつける役割がバイオベンチャー企業に期待されているが、日本ではベンチャー企業への経済的支援が十分になされていなく、資金繰りができないためなかなか結果に結びつけられないでいる。 ・再生医療そのものがまだ事業として成り立っていないので企業としては大きな投資ができる環境になく、ベンチャーへの投資、支援も難しい状況がある。 	<ul style="list-style-type: none"> ・研究、開発の各段階での経済的な支援 ・大学、企業が共用できる研究施設、製造設備等の提供 ・臨床研究、治験への経済的支援 ・国家資金によるベンチャーへの経済的支援 ・企業の再生医療への研究投資に対する税制面での優遇措置など
8	合理的な価格、適用範囲の設定	<p>製造コスト、市場規模等を考慮し経済的に成り立つ価格付けができなければ事業として成り立たない。また、過度の規制はコストに跳ね返るため、リスク vs. ベネフィットを重要な判断基準とするべきである。</p>	<p>経済性を考えた合理的な判断をする。</p> <p>リスク vs. ベネフィットの考え方を判断基準とする。</p>

「イノベーションの成果の実用化について」 意見 (再掲)

2012年7月31日

原澤 栄志

ライフイノベーション戦略協議会の今後の検討にあたっての留意点について、医療機器産業の視点から述べる。

社会システムの変革について <規制改革や戦略的推進等の社会システムの変革について>

1、透明性と予測可能性の確保

国民の理解を得る上でも、また、ビジネスを積極的に展開するにあたって、透明で予測可能であることが最も重要である。医療には様々な規制があり、また専門性の高い分野であるが、「透明で、予測可能であること」を基本として社会システムを検討することが望ましいと考える。

また、効率的であるか否かについては、個々に示される一部分ではなく、ケア・サイクル全体を検証してコストと患者への効能効果が適切であるか、を議論するのが望ましい。

医療機器は高度な医療へのアクセスを高め、また、経済的効果ももたらし得るもので、開発した商品を一日も早く医療現場で使っていただき、さらにそこから医療者とともに改善・改良を進める。それが産業としての競争でもある。

2、医療機器に合った法規制の整備と運用（薬事法）

医療機器の関係者は長い間、医薬品と医療機器は根本的に異なるものであるにもかかわらず医薬品の考えから規制されていることに異議を唱え、医療機器に合った法規制に改めることを求めてきた。今般の「医療イノベーション5か年戦略」では、その主張に沿って規制の見直しが示されているが、法改正を含め、その実行を急がれたい。

また、規制の運用についても、つねに改善が自発的に図られるような仕組みづくりが求められる。国民のために安全をしっかりと確保することは勿論であるが、規制の運用によっては商品開発を制限し、期間を遅らせ、販売後の流通も制限することになるなど、ビジネスへの影響は多大である。規制する側もビジネスであることを意識（約束を守る、対価に見合うサービスを提供するなど）し、グローバル視点で、つねに自らを検証して是正が出来るような仕組みづくりが必要である。

3、医療機器の臨床研究・治験の活性化

平成22年度の医療機器の認証は2158品目、臨床試験なしでの承認は1573品目、臨床試験による承認は58品目（このうち新医療機器は18、改善が40）であり、全体に占める臨床試験の割合は少ない。

新規の医療技術・医療機器を日本で薬事承認を得て臨床に供するためには、臨床試験が求められるが、その有効性の評価は医薬品と区別して論じることが望ましく、

また臨床研究や治験の進め方も医薬品とは異なることが多い。総じて医療機器と医薬品では臨床試験の意義が異なると理解すべきである。医薬品は医薬品自体が有効性を有するのに対し、医療機器は電氣的、機械的、物理・化学的に作用をして使用方法（使用者の経験や技量も含め）と合わせて評価される。

臨床試験には期間も費用もかかり、実施可能な施設も限定され、また、企業が社内に専門の組織・人員を確保することも難しいのが実情であるが、医療機器の研究開発を委縮させず、積極的に挑戦出来るようにするためには、まず、臨床試験が必要なのか否かの判断を容易にし、目的に照らして臨床試験に代わる方法を多様に認めるべきである。

医療機器は医療者が使うものであり、市販前に医療機器だけの評価をいかに厳しく行っても限度がある。市販前の評価は医療機器の安全確認に重点を置いて臨床試験の必要の可否や内容を判断し、有効性については市販後の評価、臨床データのフォローアップに委ねるなどの方法は医療機器の実情に合っており、これを検討することが望ましい。

医療機器産業研究所の調査研究(米国の医療機器臨床機器の現状分析;2011年3月)によれば、米国では市販後の臨床研究が約40%と多く、医療機器は改善・改良(約2年のサイクル)が重要という特徴と良くマッチしていると述べている。

厚生労働省が進める「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」のアクションプランによって、医療機器の臨床研究・治験を活性化させる検討が進み、拠点整備やネットワーク構築が行われ、実情に合った環境整備が早期に実現することを期待する。

4、イノベーションの評価

国の医療費は経済成長率を超える勢いで増えており、高齢化とともに、この傾向はますます強まると予測されている。

そのような中で医療イノベーションを推進するのは、医療イノベーションによって国民の医療ニーズに応え、健康寿命を延伸して国の生産力が高めることや医療の効率化を促すことを期待するからである。そして、その医療イノベーションを活性化するためには適切なインセンティブによって競争を促し、活動を活発化させる必要があるが、保険収載が努力に見合っただけで適切に行われているかについては特に医療材料や医療技術(医療機器)で議論があり、産業側からはつねに改善を求めている。それは、イノベーションの評価を予測可能にし、納得できるものにするのが産業の健全な発展につながるからである。

日本でもHTAの議論が始まろうとしているが、軽々に進めることを避け、その影響を深く考える必要がある。

実用化に向けた隘路について <到達すべき目標>

1、到達すべき目標；グローバル競争に打ち勝つ

日本の医療機器市場は国別では世界第2位であり、成長を牽引する産業として医療機器産業への期待は大きい。

上場企業の IR 情報などによれば、企業は中長期的に高い成長目標を掲げて意欲的であり、また、異業種から参入する企業も多く、産業基盤の拡大が見込めるものの従来から指摘されているように治療器の分野で弱く、輸入依存の構造的課題の解決の展望は未だ見えない。

医療機器の開発にあたって考慮すべきことは、ひとつひとつの医療機器の市場規模は決して大きくないことから国内市場だけで開発投資の回収を図ることは難しく、(対象品目の)世界市場をわずか数社で分け合うという競争に打ち勝つことが求められることである。

それには実施に至るスピード、世界に通用する有効性の実証、競争力のあるコストなどが実現出来なければならないが、隘路はこれらに対して存在する。

ジェトロの資料(米国医療機器産業の活性化に向けた政府支援策と企業の事例; 2012年3月)を参考にして米国について述べたい。米国医療機器産業(企業数は約7000社)では、主に中小企業(従業員20名以下の会社が全体の62%)が、イノベーションを実現する役割を担い、大企業は中小企業から獲得した新技術で具体的な商品に仕上げ、臨床試験を行い、承認を得て、世界規模の販売網で市場展開をしている。活発な産学連携の中であってエンドユーザーである医師自身が医療機器開発に深く関与(1990~96年の医療機器関連特許のうち、20%は医師の貢献による)しているが、さらに距離を短くする工夫が求められている。

加えて、米国政府が研究開発助成や税制優遇、輸出支援、承認取得の迅速化などを行なうが、医療機器開発が盛んなマサチューセッツやミネソタ、カリフォルニアなどの州政府も科学研究支援、企業支援、人材育成、設備投資支援などを行う。

米国は世界最大の市場を抱え、多額の予算と人的資源、競争力を生み出す開発環境で世界をリードしているのである。

また、台頭著しい中国や韓国でも医療特区を置き、政府が強力に後押ししようとしていることにも注目しておかなければならない。

日本が目指すべきは、薬事法などの規制改革や臨床研究・治験体制の整備など世界に伍していける開発環境を早期に整えて、国民の医療ニーズに応える取組みや不得手な分野(治療機器など)でも比較的市場規模の大きい品目については足掛かりをつくって長期的に対応することである。

そして、同時にアジアの新興国への戦略的取組みも進めねばならない。

平成24年度アクションプランの施策一覧で見ると、未だ省庁縦割りの構図であり、全体像の把握すら難しい。がんや糖尿病、うつ、認知症、発達障害など疾病課題ごとに各省の施策全てを網羅的にとりまとめ、ケア・サイクルを通じて打ち手をわかりやすく示すことで民間の活動をも多様に誘発し、それをまた有効に支援出来るようにして、成果を膨らましていくようにすべきである。

成功事例となるいくつかのアクションプランから日本独自のイノベーション創出方法を導き出したい。

2、到達すべき目標；実用化

社会環境の変化や医療ニーズと技術進歩の動向から実用化に向けた取り組みを定め、成功に導くように進めるが、その隘路も含めて考えて見る。

(1) 技術の融合による商品づくり

医薬品と医療機器の融合、再生医療と連携する医療機器、診断と治療の一体化など、従来からのカテゴリーには収まらない技術の融合が進む。

従来枠の規制によって阻害するのではなく、むしろチャレンジを支援する取り組みが出来るように前もって検討を加えるべきであり、レギュラトリーサイエンスの研究、人材育成を推進する必要がある。

(2) 高齢化社会での QOL 向上、ヘルスケアへの進展

加齢に伴って増加するがんや認知症、呼吸循環系疾患などへの取り組みは本命中の本命と言えるものであるが、高齢化社会においては QOL を高めて健康寿命を延伸させる取り組みも重要である。

直接的には生命に危険の及ばない骨や眼、歯の病気でも高齢化に伴って増加し、寝たきりや歩行困難などで重度の要介護や致死性の呼吸循環器疾患などの誘因となる。よって、幅広く、①低侵襲の診断・治療技術の研究開発促進、②在宅・介護の場での医療拡大に資する医療機器の開発、③QOL 向上のための予防・診療・介護の連携、を進めるとともにセルフメディケーションを促す国民への啓発活動が行われることが望ましく、産業側も努力したい。

隘路となるのは、バリューチェーンが途切れていないか、ということである。薬事法は商品の製造、販売に対する規制であり、流通の在り方や使い手の資格、施設条件などに係る規制は別である。幅広くバリューチェーンに沿って確認し、発展を阻害しないようにする必要がある。

(3) 医療 ICT

ICT による高度医療の実現や電子カルテなどを通じての ICT の臨床への活用、そして広くヘルスケアに広がる産業活動は、その技術の急速な進歩と共に世界規模で様々に展開されようとしている。

ICT は従来に無い医療サービスビジネスをもたらし、また、ボーダーレスでグローバルに展開することを可能にするが、医療分野で、どのようなビジネスが成功するかは誰も予測しえない。

隘路となるのは、やはり国際標準や規制の在り方であり、ビジネスモデルに係るバリューチェーンである。

日本においても欧米に倣って医療ソフトウェアの薬事法での取り扱いについての議論が始まっているが、新しいビジネスの発展に寄与するものであってほしい。BAN（ボディアエリアネットワーク）に関する無線通信規制についても同様である。

この分野は医療産業だけでなく、IT 産業など他の産業も関与して複合的に進展するであろうから、まさにオールジャパンで、大きな戦略のもとに積極的に推進すべきである。

基礎研究について <強化と役割>

基礎研究は医療科学技術を大局的に見定め、長期展望のもとで日本に必要なシーズを人材とともに確保するものであってほしい。

以上

<第6回ライフイノベーション戦略協議会 意見表明>

2012.9.26(7/31版から修正・追記)

東レ(株) 成戸 昌信

「イノベーションの成果を実用化につなげるための課題」

<提案部分の要約>*****

1、3. イノベーションを実用化につなげるための戦略的推進

- (1) 司令塔機能を設置し、分野毎に推進「プロデューサー」を明確化する(育成)
他の類似研究を含めて分野ごとに全体図を明らかにし、統括する。
- (2) 大型プロジェクトについては 出口イメージ(製品イメージ)やポジショニングを明確にし、
研究・開発の戦略、計画、推進、運営を前項司令塔が統括する。
(ただし、小型の基礎研究の自由裁量は残すように工夫する)

2. 開発を困難にしている規制、施策などへの意見

- (1) 医薬、医療機器、再生医療などの特性に合わせた薬事規制に改訂
- (2) 特に医療機器、再生医療での製品安全リスクへの国家レベルでの対応

4. 今後推進いただきたい具体的テーマ(アクションプランの計画に加えて)

- (1) 日本の良質で先端的な医療(システム、サービス)のグローバル展開
医療技術、診療の運営などの先進ノウハウをパッケージとしてアジアなど新興国に導出
- (2) 「身体・臓器機能の代替・補完」に追加
iPS細胞/再生医療に加えて
革新材料、材料修飾技術、システム化技術による革新的医療機器の研究開発を推進
(革新的人工血管、人工骨・関節、人工臓器など欧米に遅れている重要臓器代替医療機器の開発)
- (3) 国民の健康を維持しながら、医療費総額を削減することを目的とし、特定の疾患や高額医療の研究開発に偏らない、研究開発のバランスの取れた推進

<本文>*****

1. 背景：隘路分析

(1) 研究段階の隘路

- ① 類似の研究が府省庁間で個別のプロジェクトとして分散しており、それらの全体像が見えにくい
- ② 大きな出口を構築する要素としての計画記述(目標と構想)が不十分
それぞれのプロジェクトが現在の研究テーマの延長線上の積み上げになりがちである
(ニーズ指向でなく、シーズ指向的)
- ③ 学術成果、技術成果は出ても、イノベーションの成果の実用化につながりにくい
個別プロジェクトについて研究自体が目的の研究になるきらいがある

(2) 研究から開発の受け渡しの隘路

- ① 企業などが受け取らない（将来の産業を支える技術・製品の実用化に繋がらない）
- ② 企業側に目利きの不在（新しい価値の判断ができない）
 - リスク・ベネフィットの判断
 - 開発リスク（成功確率を踏まえた費用負担のリスク）
 - PLリスク（製品安全性のリスク、特に医療機器など）
- ③ ベンチャーを創っても、当初はともかく継続的に資金が集まらない。
 - 出口を含めたグランドデザインの欠落

(3) 開発段階の隘路

- ① 出口（目標と構想）の不明確
- ② 多額な開発費用
- ③ 責任と権限の不明確
- ④ プロモーター、プロジェクトリーダーの不明確（人材不足）
- ⑤ 開発を阻害もしくは抑制する規制（薬価の低下を含む）
- ⑥ 製品安全（賠償可能性）に対する懸念

(4) (1)～(3)の統括(司令塔機能)の不足

日本では「ディレクター」的な研究技術者が統括しがちだが、研究からマーケットまでを視野にいたれた「プロデューサー」的な人材が必要。

2. 規制に関する課題と対応

「国民の安全・利益確保」は基本としつつも、科学技術、産業によって国を発展させるために、規制についてはバランス感覚が必要

(1) 革新的な製品の開発を阻害もしくは抑制する薬事規制

対応策： 医薬、医療機器、再生医療などの特性に合わせた薬事規制に改訂

(2) 薬価政策などについては、「ジェネリック品の使用促進による医療費削減」と、「新薬の適正薬価・薬価維持によるイノベーション推進（研究開発への再投資）」のバランスが必要(3) 製品安全リスク（副作用など開発企業のリスク、審査側のリスク）

日本では企業規模が充分でなく、特に医療機器、再生医療などでは製品安全リスクへの懸念が開発推進を阻害している。「リスクの適切な分担・分散」のシステムが望まれる。

対応策： 広範囲でのリスク分担システム（保険的考え方など）

3. イノベーションを実用化につなげるための戦略的推進（隘路分析からの対応策）

基礎研究の重要性を認識しながら、目的研究・開発の重点化とのバランスをとることが重要
 基礎研究は幅広くある程度研究者の裁量に任せて、ただし時間・マイルストーンを決めて。
 目的研究・開発は戦略的に。

- (1) 司令塔機能を設置し、分野毎に推進「プロデューサー」を明確化する(育成)
 類似研究を含めて分野ごとに全体図(グランドデザイン)を明らかにし、統括する。
 基礎研究は生かしながらも、より大きなプロジェクトを構築する。
- ① 産学官の十分な協議、府省連携でより大きなプロジェクトを構築する(グランドデザイン)
 10-20年先の市場(世界)を見て、日本を支える産業、製品はどうあるべきかを充分議論し
 目標を設定する。
 目標を達成する複数の要素技術(研究技術開発)を総合化する。
 基礎研究から重点化アクションプランまでの全体構想(マップ)を描き、
 基礎研究と各アクションプラン間の関係を明らかにしながら、重点プロジェクトを設定する
 個別プロジェクトの役割を明確化し、ピースの総合で大きな絵になるように描く。
 一つ二つの要素(プロジェクト)が欠けても代替技術で目標に到達するデザインとする。
- ② 前項を統括する司令塔機能の設置
- ③ 重点化プロジェクトについて産学官から適切人材をプロジェクトリーダー
 「プロデューサー」として設置
- (2) 大型プロジェクトについては 出口イメージ(製品イメージ)やポジショニングを明確にし、
 研究・開発の戦略、計画、推進、運営を統括する。
- (2)-1 出口イメージ(製品イメージ)を明確にする(ニーズ指向)
- ① 市場調査(新市場の予測)
 ② ベンチマークの調査
 ③ 目標の明示、製品優位性の明示と売り上げ、マーケットシェアの予測
- (2)-2 ポジショニングを明らかにする
- ① 技術のポジショニング、特許のポジショニングによる競争力
 ② 競合状態
 ③ 技術の成功確率
 ④ 技術確立のための課題(マイルストンの明示)
- (2)-3 研究・開発の戦略、計画、推進と運営(メリハリをつけた推進運営)
- ① プロジェクトリーダーとバックアップ体制の設置 責任と権限の明確化
 ② 出口とポジショニングを基材としたグランドデザイン(総合戦略)を描く
 グランドデザインに基づく長期にわたる具体的な計画
 マイルストーン(途中目標)達成、非達成時の対応策の準備
 ③ 競合を意識した勝てる研究技術戦略と、スピード
 ④ PDCA→フレキシブルな運営と予算措置(改廃、重点化・非重点化、増減)
 費用計画(特に、プロジェクト成功時の次段階への計画)
 研究開発を阻害もしくは抑制する要因の列挙と除去計画
 ⑤ フレキシブルな費用の運用
 年度間・費目間
 ⑥ 関係者のコミュニケーション

1, 3項の参考(企業での一例): プロジェクト計画時にチェック・評価すべき項目

#印: H25アクションプラン個別施策ヒアリング(ライフ分野)時の提案書個票で
記述が充分でないと見受けられた項目

- ①戦略的な適合性と重要性
- # (他の重要プロジェクトとの関係と整合性)
- ②保有技術とのシナジー(コアコンピタンスの利用)
- ③市場の存在、ニーズの存在、市場魅力度
- ④研究技術計画(勝てる戦略、スピード、マイルストーン、PDCA計画)
- # ⑤技術・製品のポジショニング(優位性、リーズナブルな競合比較)
- # ⑥技術的な実現可能性(リーズナブルな成功確率)
- # ⑦致命的な要因がない(特許上の問題など)
- # ⑧収益の可能性(製品化後の市場と売上、マーケットシェア)
- # ⑨収益対費用・リスク(NPVもしくはIRR)

4. ライフイノベーション関係で今後検討いただきたいテーマ(提案)

H25 年度アクションプラン(H24.7.19)・ライフイノベーションに追加して

(1)日本の良質で先端的な医療(システム、サービス)のグローバル展開

医療技術、診療の運営などの先進ノウハウをパッケージとしてアジアなど新興国に導出
モノづくりだけの反省から、コトづくり(システムの産業)へ進むことで日本の医療の普及
により国内医療費の一部への還元を図る。

例: 繊維製造産業...	SPA(GAP、ユニクロ)...	ファッション・小売産業
水処理膜の製造...	水処理産業	
透析膜の製造...	透析医療産業	
幹細胞培養・治療...	再生医療(産業)	

(2)「身体・臓器機能の代替・補完」

iPS細胞/再生医療に加えて、革新材料、材料修飾技術、システム化技術による
革新的医療機器の研究開発をわが国の大型プロジェクトに加えたい(欧米からの大きな
遅れを取り戻すため)
(人工血管、人工骨・関節、人工臓器、対外循環治療器など最終製品化を含めて、欧米に
遅れている重要臓器代替医療機器の開発)

(3)国民の健康を維持しながら、医療費総額を削減することを目的とした研究開発の推進

特定の疾患や高額医療の研究開発に偏らず、「糖尿病・糖尿病合併症」、「うつ病・認知症
など」、「小児期に起因する疾患」などにも注目した、老人医療を含めた医療費総額を削減
することを目的としたバランスの取れた研究開発の推進が必要。

以上

平成 23 年度科学技術戦略推進費
「社会システム改革と研究開発の一体的推進」プログラムを活用した課題：

「健康研究成果の実用化加速のための研究開発
システム関連の隘路解消を支援するプログラム」

先端医療開発特区（スーパー特区）における
薬事上の課題抽出及び対応方策の検討を行う調査研究

平成 23 年度 研究報告書

主任研究者

国立医薬品食品衛生研究所 川崎ナナ

平成 24 年 3 月

【目 次】

研究要旨	1
A. 目的	1
1) PMDA 対面助言及び S 調査研究班薬事相談を活用した支援の充実化	3
2) 臨床研究から治験，製造販売承認申請へのスムーズな移行のためのアドバイス	3
3) 分野別意見交換会の継続的開催	3
4) 実用化を進める上での隘路の抽出とその解決策の検討	3
B. 研究方法	4
1. 調査研究員の配置	4
2. 調査研究活動拠点「S 特区対応部門」の設置	4
3. S 調査研究班月例会議（運営会議）の開催	5
4. ホームページによる情報伝達	5
C. 結果	6
1. 今年度の S 特区薬事調査研究の概況	6
1.1 個別薬事相談	6
1.1.1 訪問調査・相談	6
1.1.2 メール・電話対応調査・相談	6
1.1.3 事務所面談	6
1.2 厚生労働省・PMDA 相談の立ち合い	7
1.2.1 厚生労働省面談立会い	7
1.2.2 PMDA 相談の立会い	7
1.3 分野別意見交換会	7
1.3.1 再生医療分野	7
1.3.2 医療機器分野	9
1.3.3 医薬品分野	10
1.4 PMDA 薬事戦略相談室の立ち上げへの協力	10
1.5 S 調査研究班の事業に係るアンケート調査の実施	12
2. 平成 23 年度分野別採択課題の概況	12
2.1 再生医療	12
2.2 医療機器	12
2.3 医薬品	12
2.4 複合療法	12
D. 考察	13
1. 分野別課題	13
1.1 再生医療	13
1.1.1 臨床研究から始まる再生医療—治療を継続的に提供できる制度を整備すること	14
1.1.2 再生医療製品の承認取得のための非臨床試験の要件を早期に確認	14

平成 23 年度 研究報告書

「社会システム改革と研究開発の一体的推進」プログラムを活用した課題：

「健康研究成果の実用化加速のための研究開発
システム関連の隘路解消を支援するプログラム」

先端医療開発特区（スーパー特区）における
薬事上の課題抽出及び対応方策の検討を行う調査研究

主任研究者	国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部長	川崎ナナ
分担研究者	北里大学大学院准教授 千葉大学大学院助教	成川 衛 小林江梨子
研究協力者	国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部特任研究員	片倉健男 加藤恭一 北澤義夫 黒河内雅夫 宍戸芳雄 鳥井賢治 内藤浩志 渡辺 猛 松下愛美

研究要旨

先端医療開発特区薬事調査研究（S 調査研究）は、平成 21 年、S 特区採択課題者からの薬事相談等を通して、革新的医薬品・医療機器の開発及び早期実現を阻む薬事上の課題を抽出し、対応方策を検討することにより、開発・実用化を加速させることを目的として開始された。平成 23 年度は、薬事相談や分野別意見交換会を通して得られた経験・知識を基に、再生医療、医療機器、医薬品、及び複合療法分野において、先端的医薬品・医療機器の実用化の過程における課題を抽出するとともに、PMDA 薬事戦略相談の設置及び開始に貢献した。

A. 目的

革新的医薬品・医療機器の開発及び早期実現は、有効な治療法のない患者へ新しい治療法を提供するだけでなく、低迷する国内医薬品・医療機器産業の活性化につながることから、患者・産業界をはじめ医療関係者の期待は極めて大きい。しかし、優れた研究成果を上げているベンチャー企業やアカデミアの多くは、大手製薬企業・医療機器企業と異なり、レギュ

ラトリーサイエンスを理解する人材、医薬品・医療機器ライフサイクル¹への理解とマネジメントシステム、とりわけ治験・製造販売承認申請に通じる知識やノウハウに乏しく、研究成果を治験・製造販売承認申請・上市につなげるまでには大きな障壁がいくつも存在する。そのような障壁を打開するため、平成20年5月先端医療開発特区(スーパー特区；S特区)事業が開始された。

S特区は、最先端の再生医療、医薬品・医療機器について、重点分野を設定した上で、先端医療研究拠点を中核とした他の研究機関や企業との複合体を選定し、研究資金の統合的かつ効率的な運用の特例や規制等を担当する厚生労働省等との開発段階からの意見交換や相談等を行い、より開発・実用化の促進を図ることを目的とし、内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省が協力して推進する事業である。現在、次の5分野、24課題がS特区に採択されている。

- ・第一分野 (iPS細胞応用) 2 課題 (採択課題 No.1~2)
- ・第二分野 (再生医療) 5 課題 (採択課題 No.3~7)
- ・第三分野 (革新的な医療機器の開発) . 8 課題 (採択課題 No.8~14 及び No.21)
- ・第四分野 (革新的なバイオ医薬品の開発) 5 課題 (採択課題 No.15~19)
- ・第五分野 (国民保健に重要な治療・診断に用いる医薬品・医療機器の開発研究)
. 4 課題 (採択課題 No.20 及び No.22~24)

* 資料編：p.2~p.26 参照

スーパー特区薬事調査研究班(以下、「S調査研究班」)は、その指導・協力によりS特区に採択された研究機関(主にベンチャー企業やアカデミア等)が、薬事申請の基本的考え方(ノウハウ)を習得・蓄積することによって、研究・開発を加速させ、S特区制度を実のあるものとするとともに、その成果を今後のわが国の医薬品・医療機器開発の資産として有効に活用できるようにすることを目指して、平成21年6月1日に開始されたプロジェクトである。本調査研究においては、以下の①~④に示すような薬事相談等の研究班活動を通して、S特区チームのベンチャー企業やアカデミアが直面している薬事上の課題や対応方策について調査研究を行う。

- ① 適時の相談対応...S特区に取り組んでいる研究者からの相談に対して電子メールや電話等により対応
- ② 24特区への訪問調査...特任研究員が研究開発の現場に赴き、実際のデータやプロトコールなどの状況を把握した上で、薬事上の問題点を把握
- ③ 特任研究員が研究者と相談し、指導することで、迅速に治験段階へと進めるように支援

¹ ライフサイクル；この報告書では、「ライフサイクルとは開発から、製造販売承認申請、市販後まで」(ICHの定義)をいう。

④ 相談を通して行う薬事上の課題の抽出及び対応方策の検討

平成 21 年度は、採択課題研究者に対する相談業務等を通じて、早期実用化の阻害因子となっている薬事上の課題や対応方法の検討に務めた。

平成 22 年度は、薬事相談に加え、新たに意見交換会を開催することにより、革新的医薬品・医療機器開発研究の成果が実用化に至る過程で遭遇する様々なボトルネック（隘路）を具体的に明らかにするとともに、課題克服の方策について考察した。本研究の成果は、個々の採択課題はもとより、S 特区内外の多くの革新的医薬品・医療機器開発研究に対して、早期実現への道筋を提供することにつながるものであった。

平成 23 年度は、次の事項を中心に活動を行った。

1) PMDA 対面助言及び S 調査研究班薬事相談を活用した支援の充実化

PMDA の対面助言業務において、S 特区採択課題は優先的に対応してもらえるなど特段の扱いを受けており、研究開発の進捗に合わせ利用している採択課題研究者及び研究協力企業は少なくない。S 調査研究班はその利用に際して、対面助言メニューを選択したり、相談事項を明確にしたりするなど、事前にアドバイスをを行い、対面助言を効率的かつ効果的に利用できるよう協力する。

2) 臨床研究から治験、製造販売承認申請へのスムーズな移行のためのアドバイス

研究成果の実用化にあたっては、医薬品あるいは医療機器企業の製造販売承認申請が必須であるが、研究協力企業が不在のまま研究開発が進んでいた事例が見受けられた。課題解決には研究者と協力企業とのタイアップが必要であることを研究者が理解し、開発すべき製品の輪郭を出来るだけ早く明らかにして、スポンサーとなるべき企業にとって魅力あるエビデンスを示すように、S 調査研究班への相談、及び分野別意見交換会等を通してアドバイスする。

3) 分野別意見交換会の継続的開催

24 課題を再生医療、医療機器、医薬品及び複合療法の 4 分野に分け、分野内に共通して存在する問題点や薬事規制上の隘路等に焦点を当て、研究者と規制当局間で協議や情報の共有を行うことにより問題解決を図る意見交換会を、今年度は医療機器、再生医療について実施した。医薬品については、意見交換の企画のための情報収集など準備を行う。

4) 実用化を進める上での隘路の抽出とその解決策の検討

研究課題を推進する段階で行ってきた種々の相談等により把握した、新しい科学技術を実用化につなげる際に直面する隘路を抽出し、その隘路を解消して実用化に結びつけられるような解決策の検討、考察を行う。

B. 研究方法

1. 調査研究員の配置

S 調査研究の遂行にあたって、採択課題研究者と厚生労働省及び医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）などの規制当局・関連部署との間に位置して、研究者、特にアカデミア(製品化に協力する協力企業を含む)やベンチャー企業等に対して実務経験に基づく助言を行い、規制当局との連携促進、あるいは緩衝剂的な役割を担う調査研究員（特任研究員）の役割は極めて重要である。

前年度と同様、本 S 調査研究班には、以下の通り 4 名の医薬品担当特任研究員、4 名の医療機器担当特任研究員、並びに 1 名の支援員が参加した。前年に各課題の進捗状況や研究内容の変化を考慮して、一部課題に対して担当者の配置替えを行ったが、本年度は担当課題の変更は行わなかった（採択課題ごとの主担当（担当窓口）及び副担当は資料編 p.28, 29 に示す）。

医薬品担当

加藤恭一，北澤義夫，黒河内雅夫，内藤浩志

医療機器担当

片倉健男，宍戸芳雄，鳥井賢治，渡辺 猛

医薬品・医療機器支援

松下愛美

特任研究員は、前年度同様に個別の薬事相談に応ずるとともに、意見交換会等の企画運営に中心的に関わった。また、日常の相談・助言に係る業務に反映させるため、特任研究員は、担当採択課題研究者が発表する、あるいは関連する学会・セミナー等に参加し、開発研究の現況と課題への理解に務めるとともに、必要に応じて発表関係者と直接コンタクトして、課題解決への対応策を検討した。

2. 調査研究活動拠点「S 特区対応部門」の設置

3 年目となる本年度も前年度に引き続き、東京都千代田区内幸町 2-2-3 日比谷国際ビル 1F-121 区に国立医薬品食品衛生研究所の S 調査研究活動拠点「S 特区対応部門」を設置した。当該地に設置した理由は、1)厚生労働省、PMDA との連携が迅速に行えること、2) 採択課題研究者や協力企業の担当者が訪問しやすいこと、3) S 特区推進省庁（内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省）と連絡及び相互訪問しやすいことである。

なお、薬事規制に関連する科学的事項や専門的な研究内容に関する相談に対しては、国立医薬品食品衛生研究所の各研究部門とも連携を取って対応した。

*S 特区対応部門のアクセスは資料編 p.27 を参照。

3. S 調査研究班月例会議（運営会議）の開催

原則として月 1 回、S 特区対応部門の事務所において、主任研究者、分担研究者、特任研究員及び審査管理課並びに医療機器審査管理室の担当官等をメンバーとする運営会議を開催した。各採択課題の進捗状況や課題等に係る調査状況について特任研究員が報告し、各プロジェクトの個別テーマに関する状況確認を行った。また、情報の共有化を図るとともに、課題解決のための対応策を協議した。

4. ホームページによる情報伝達

今年度も前年度に引き続き、国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部ホームページ内に、S 特区のホームページを開設し、S 特区採択課題研究者への薬事法・関連通知等に関する情報の伝達・周知を行った（下記 URL 参照）。今年度の閲覧実績は、採択課題研究者のみならず一般閲覧者も含めて月平均 280 人であった。

http://www.nihs.go.jp/dbcb/super_tokku/super_tokku_taioubumon.html

採択課題研究者には、パスワード入力で非公開情報を閲覧できることとした。非公開情報として、S 特区に関わるイベント等の情報についても随時追加するとともに分野別意見交換会の開催案内や開催実績の掲載、採択課題研究者への新しい薬事関連の情報等を速やかに提供できるようトピックスとして掲載する構成とした。また、採択課題研究者に関連がある臨床研究、研究開発に関連する行政通知等を選択して閲覧できるようにした。

緊急性の高い特任研究員への相談や、来訪せずとも文書でのやりとりが可能な相談については、eメールによる問い合わせ機能でフォローできるよう配慮した。

*資料編：p.110 参照

C. 結果

1. 今年度のS特区薬事調査研究の概況

今年度も、S特区採択研究機関（主にアカデミア及び協力研究企業等）に対する個別相談等を通して、薬事規制上の課題や対応方法の検討を行い、最先端の再生医療、医療機器、医薬品及び複合療法の実用化促進を図ってきた。本年度の個別薬事相談、厚生労働省・PMDA相談立会、分野別意見交換会の実施状況を表1に示す。

表1 今年度の研究活動結果のまとめ

個別薬事相談	訪問調査・面談	30回
	メール・電話対応調査相談	20回
	事務所面談	42回
厚生労働省・PMDA 相談の立会	厚労省面談	1回
	薬事戦略相談 PMDA 対面助言 (事前面談含む)	22回
意見交換会	再生医療	平成23年9月5日
	医療機器	平成23年12月1日
	医薬品	次年度に向け準備中

1.1 個別薬事相談

1.1.1 訪問調査・相談

S特区採択24課題内のサブテーマに対して、窓口となっている特任研究員が研究実施施設等に赴き、研究の進捗状況を把握するとともに、研究者等から直面している問題や今後の課題等について直接聞き取り、課題解決の方策等について調査・検討を行った。

1.1.2 メール・電話対応調査・相談

即時対応が必要な質問・相談等については、研究者、協力企業担当者等からのメール及び電話等を介して受け付けた。その場での対応が困難な案件については、特任研究員間または規制当局等とも相談の上、適宜対応をした。

1.1.3 事務所面談

S特区採択個別テーマの研究者、協力企業の担当者等の来訪に対して、S特区対応部門の事務所において、薬事規制クリアのための助言、PMDA対面助言のアプローチ等の相談に応じた。

1.2 厚生労働省・PMDA 相談の立ち合い

1.2.1 厚生労働省面談立会い

今年度は、複合療法分野において、診療実施機関と治療実施機関が異なる場合の治験体制における治験責任医師の設置に関して、厚生労働省審査管理課と研究者側との面談をセットし立ち会った。

1.2.2 PMDA 相談の立会い

表1に示す通り平成23年7月1日に開始された薬事戦略相談を含め、22回のPMDA相談に立ち会った。研究者側から見ると、PMDA相談は、製造販売承認・認証申請をスムーズに進めるために審査側と情報を共有できること、また、申請までの過程を無駄なく効率的に進めるための手順を確認できることから、重要な位置づけとなっており、S調査研究班としても研究者への支援を優先的に継続して行った。

1.3 分野別意見交換会

平成22年度、薬事等相談会の反省をもとに、今後の薬事等相談会の在り方について研究者にアンケート調査を行い、より迅速に開発研究を進めるための方策を模索した。その結果、分野別での開催、また規制当局等による一方通行的な説明の場ではなく、サブテーマの研究者にとってより具体的な内容を議論することが可能な「意見交換会」の開催に多くの要望が寄せられた。それを受け、「再生医療」分野、「医療機器」分野、「医薬品」分野、そして医薬品と医療機器の組合せの「複合療法」分野に分けての分野別意見交換会を開催した。研究者に好評であったことから、平成23年度も分野別意見交換会を計画し、「再生医療」及び「医療機器」分野では年度内に実施した。

1.3.1 再生医療分野

1.3.1.1 概要

概要を表2に示す。

表2 第2回再生医療分野意見交換会

日 時	平成 23 年 9 月 5 日 13:00-15:00
場 所	東京都千代田区 KKR ホテル東京 11F 孔雀の間
参加者数	約 85 名
議事次第	1. はじめに 2. 薬事戦略相談に関する詳細説明 医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 3. ヒト幹指針臨床研究から治験への移行にあたっての課題 国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門 4. 造腫瘍性試験の現状について 話題提供 国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部 佐藤陽治 5. 質疑
配布資料	資料1 薬事戦略相談に関する詳細説明 資料2 ヒト幹指針臨床研究から治験への意向にあたっての課題 資料3 造腫瘍性試験の現状について 参考資料1 薬機発第 0630007 号平成 23 年 6 月 30 日 医薬品・ 医療機器薬事戦略相談事業の実施について

*資料編：p.30～p.69 参照

1.3.1.2 意見交換会の議事要旨

- 1) はじめに
 特任研究員より、開催内容に関する趣旨説明。
- 2) 薬事戦略相談に関する詳細説明 (PMDA 審査マネジメント部)
 - ・ 薬事戦略相談設定背景説明
 - ・ 薬事戦略相談の対象範囲(優先分野)
 - ・ 事前面談で準備すべき事項 等
- 3) ヒト幹指針臨床研究から治験への移行にあたっての課題 (国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門)
 再生医療に関する日本国内の標準的なプロセスの説明
- 4) 造腫瘍性試験の現状について
 話題提供 国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部 佐藤陽治
 - ・ 細胞/組織加工製品を対象とする造腫瘍性試験の国際ガイドラインは存在しない。
 - ・ WHO TRS 878 における造腫瘍性試験の位置づけ説明。この系の能力と限界を踏まえ、個別の製品で示すべき具体的な目的に合うかで取捨選択すべき。

上記について以下の質疑が行われた。

- ・造腫瘍性試験の必要性と方法論について

1.3.2 医療機器分野

1.3.2.1 概要

概要を表3に示す。

表3 第2回医療機器分野意見交換会

日時	平成23年12月1日(木) 13:00-15:00
場所	東京都千代田区 KKR ホテル東京 11F 孔雀の間
参加者数	52名
議事次第	<p>1. 講演 [制度を利用した機器開発]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・新たな医療機器開発のための国の制度について 「次世代医療機器評価指標」「ニーズの高い医療機器」 国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区特任研究員 <p>2. パネルディスカッション</p> <p>【アカデミアと総合機構の連携について】</p> <p>パネリスト:</p> <ul style="list-style-type: none"> 国立循環器病研究センター 研究開発基盤センター長 研究所副所長 妙中義之 東北大学未来医工学治療開発センター シーズ探索・知財創出部門長 黒川良望 厚生労働省医薬食品局審査管理課 医療機器審査管理室長 浅沼一成 医薬品医療機器総合機構 審議役 重藤和弘
配布資料	<p>1. 当日配布資料</p> <ul style="list-style-type: none"> ・新たな医療機器開発のための国の制度について「次世代医療機器評価指標」「ニーズの高い医療機器」 ・薬事戦略相談に関する詳細説明 ・パネル討論イントロとして <p>2. 当日追加資料</p> <ul style="list-style-type: none"> ・先端的循環器系治療機器開発特区 ・橋渡し研究支援拠点の実績と課題 ・スーパー特区の現状

*資料編：p.70～p.109 参照

1.3.2.2 意見交換会の議事要旨

1) 講演「制度を利用した機器開発」

- ・新たな医療機器開発のための国の制度について（国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区特任研究員）

効率的な医療機器開発にあたって、各省の制度を説明。具体的には、「ニーズの高い医療機器²」「次世代医療機器評価指標作成事業³」「課題解決型医療機器開発事業⁴」について紹介した。制度を利用した医療機器事例としては、補助人工心臓を提示した。

2) パネルディスカッション【アカデミアと総合機構の連携について】

特区プロジェクトに関わる2名のアカデミア代表者、厚生労働省、PMDA 医療機器審査担当より以下のコメントが出された。

- ・新たな医療技術評価は、開発側が主導しないと考え方は出てこない。
- ・医療技術評価について、医学専門家によるリスク・便益性評価が重要。
- ・審査において医学専門家とアカデミアの論議が重要。
- ・医工連携（Needs と Seeds の出会いの場の設定の必要性）

上記について以下の質疑が行われた。

- ・医療機器に使用されるソフトウェアの取り扱いについての要望
- ・メディカルライティングのできる人材と資格制度について
- ・医学部における医療機器教育について
- ・情報交換及び人材交流の活発化について
- ・PMDA の対面助言における提案型助言について

1.3.3 医薬品分野

医薬品分野も意見交換会の開催に向けて検討を行い、S 特区採択課題に共通して存在するテーマを模索した。本年度は意見交換会の開催には至らなかったが、意見交換会にこだわらず薬事等相談会としてのテーマ取り上げも可能であり、平成24年度に向けての開催を検討する。

1.4 PMDA 薬事戦略相談室の立ち上げへの協力

これまで再生医療製品の臨床試験開始にあたっては、確認申請を行って品質・安全性に関する審査を受けた後に、治験届を提出することとなっていた。再生医療の実用化の遅れの原因として、この確認申請の審査に時間がかかることが指摘されていた。平成21年より検討が開始された「再生医療の制度的枠組み検討会」において、この課題解決の方法として、申請審査という形ではなく、開発早期からの相談を行うことにより、個別テーマの具

² 医療ニーズの高い医療機器の早期導入に関する検討会

³ 次世代医療機器評価指標検討会

⁴ 課題解決型医療機器の開発・改良に向けた病院・企業間の連携支援事業

体的な進捗を図る方向へ変更することが決定された（医政発 0428 第 7 号 薬食発 0428 第 1 号（平成 23 年 4 月 28 日）「再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする制度的枠組みについて」）。また、アカデミア・ベンチャーが生んだ日本発の医薬品・医療機器等のシーズを製品につなげるために、厚生労働省より新たな相談事業（薬事戦略相談推進事業）が提案された。それらを受けて、平成 23 年度、新医薬品・医療機器創出のための薬事戦略相談事業が設置され、その運用等について、医薬品・医療機器薬事戦略懇談会により議論・決定がなされた。そして、平成 23 年 7 月に PMDA 審査マネジメント部に薬事戦略相談室が設置され、薬事戦略相談が開始された。

S 特区対応部門はこれまで、課題採択者（特にアカデミア研究者等）に対して難解な薬事用語等をわかりやすく解説するなど、研究者と PMDA 審査部との間のコミュニケーションを円滑にするための役割を果たしてきた。薬事戦略相談室設置にあたって S 特区対応部門は、その準備段階から 3 回にわたって PMDA 審査マネジメント部と会合を持ち、薬事相談を円滑に行うための情報提供・意見交換を行い、戦略的薬事相談開始に大いに貢献した。すなわち、S 特区対応部門は、S 特区内の個別テーマに対して S 特区対応部門が行ってきた薬事相談の事例・経験や、S 特区ホームページを通じて採択課題研究者向けに公開している薬事相談に関する留意点等を示した案内（ガイド）等を PMDA に提供した。また、薬事戦略相談の対応者であるテクニカルエキスパートには、特区相談の経験より、開発経験のある企業経験者が適切であることも提案した。

薬事戦略相談開始以後も、S 特区対応部門は、特区テーマで議論すべき案件等を継続的に情報提供した。また、S 特区採択課題研究者の薬事戦略相談にあたっては、事前打ち合わせに同行・助言を行った。S 特区採択課題研究者より、薬事戦略相談と S 特区対応部門の役割分担が分かりにくいとの指摘を受けたので、WEB 上に図 1 を掲載することによって、2 つの相談窓口の役割を明確にした。

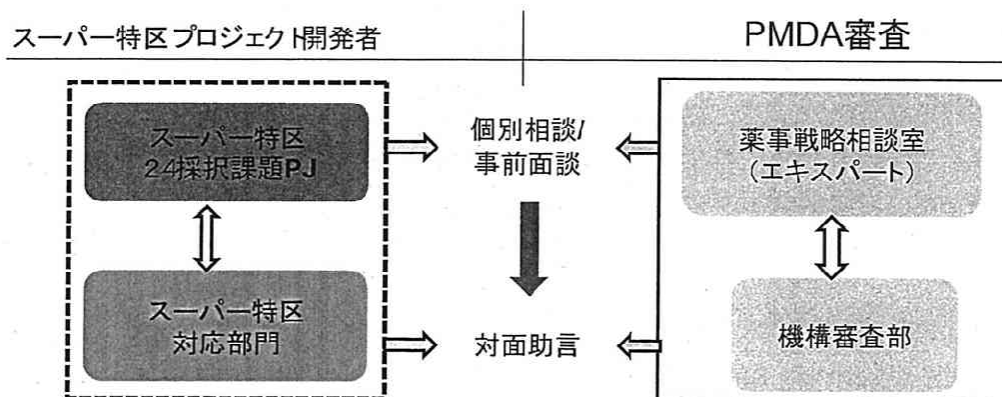


図 1 薬事戦略相談とスーパー特区対応部門の役割分担

1.5 S 調査研究班の事業に係るアンケート調査の実施

S 調査研究班の活動の向上をめざして課題採択者を対象にアンケート調査を実施し、S 調査研究班の活動内容に対する評価や要望を収集した。主な意見・要望は以下の通りであった。

- ・厚生労働省・PMDA と S 調査研究班との連携強化
- ・PMDA 薬事戦略相談における開発者側への支援
- ・従来からの S 調査研究班業務（薬事相談や分野別意見交換会）の継続
- ・革新的技術の開発を阻害している要因を克服する対応策の提言

2. 平成 23 年度分野別採択課題の概況

2.1 再生医療

再生医療は、新たな領域ということもあって、アカデミアのアイデアをヒト幹臨床研究で実証した後、治験あるいは高度医療に向かうといった進め方が行われている。厚生労働省の科学技術部会の資料（平成 24 年 3 月開催第 70 回科学技術部会資料）を見ると、ヒト幹臨床研究提案は、制度制定（平成 18 年）から累計して 54 施設からの提案が承認されている。特区テーマについても、基本はヒト幹臨床研究から進められており、ヒト幹テーマ承認を受けて臨床研究が進められているテーマが 7 件ある。その中でヒト幹臨床研究を基にして、本年度に治験届を提出したテーマは 1 件であった。このように大臣承認を得た臨床研究から治験（企業あるいは医師主導）へと進むプロセスは定着してきているが、臨床研究から企業治験へと進んだテーマは上述 1 件のみであり、なかなか企業参加が進んでいないのが現状である。

2.2 医療機器

医療機器分野の実績は、昨年度承認取得して上市（製品化）した品目 1 件（内脂肪測定装置；クラスⅡ）、製造販売承認を取得した品目 1 件（手術用ナビゲーションシステム；クラスⅡ）、承認申請中 3 件、治験中 1 件、治験相談中 1 件であり、徐々にではあるが、開発ステージの前進が見られた。

2.3 医薬品

医薬品分野においては、製薬企業と共同研究を行っているテーマからの S 調査研究班への相談件数は減少傾向にあった。複合療法分野の医薬品については、医薬品単独の規制ステップをクリアする必要があるが、当該テーマについて医薬品担当研究員が相談対応を行った。共に治験相談 2 件、治験移行 1 件ずつの支援実績であった。

2.4 複合療法

今年度の S 特区対応部門の実績は、医薬品と医療機器を組み合わせることにより初めて効果を発揮する治療法の第 I 相試験開始に向けた相談への対応であり、我々の支援によりその事前面談にこぎ着けた。また、対応を通して厚生労働省審査管理課より、複合療法を進めるにあたって 2 施設で診療と治療が行われるケースにおいては、それぞれの医療機関に治験責任医師を設置すべきことが示されたことは、今後同様なケースで治験体制を構築する際にも役立つことと思われる。

D. 考察

平成 23 年度は、1) PMDA 対面助言及び S 研究班薬事相談を活用した支援の充実化、2) 臨床研究から治験、製造販売承認申請へのスムーズな移行のためのアドバイス、及び 3) 分野別意見交換会の継続的開催を実施することにより、4) 実用化を進める上での隘路の抽出とその解決策の検討を行った。実用化を進める上での隘路として抽出された課題を、まず、分野別にまとめたい。

1. 分野別課題

1.1 再生医療

S 特区の中で、新規性の高い領域は再生領域である。そのためか、製品化を進める上で必要な種々のインフラが整っていない。また、実用化を進める過程において浮かび上がってくる新たな課題も多数存在する。新しい医療技術を市場導入する際に出てくる共通課題とも考えることができよう。

S 特区内における再生医療テーマで、国内において企業が製品化を進めているテーマは現段階では非常に数が少なく、ようやくヒト幹細胞指針に準拠した臨床研究が開始された段階にある。今まで、「医療技術の実用化＝製品化」として捉えられてきたが、再生医療の場合は必ずしも製品化がゴールとはいえないかもしれない。現在、主として進められている自己細胞を用いた再生医療は、通常の医薬品開発とは違った個別医療が主たるものであり、市場規模から考えても、既存の医薬品・医療機器メーカーが取り上げにくいテーマだからである。その一方で、ヒト幹細胞を用いた臨床研究が積極的に進められている。その結果については公開されていないものが多いが、想定通り医療上の有用性が明らかになったとしても、製品化が進まなかった場合、当該医療を期待していた患者の落胆は大きなものとなるであろう。

また、当該医療を行う際には、細胞組織を加工した製品にとどまらず、その製品の移植に用いられる医療機器や薬剤等、多種多様の製品の併用が必要となることが予想される。既に承認されている皮膚、あるいは審査中の軟骨は、細胞加工したものだけで成り立っている製品であり、薬事審査上のポイントも明確であるが、複数の新規医療技術を組み合わせた再生医療製品の審査はこれからであり、そのような製品に対する承認審査が停滞しないことを願望する。

今年度大きく進展が見られたこととして、iPS 細胞、及び ES 細胞の臨床使用に関わる薬事制度の整備があげられる。欧米における ES 細胞を用いた研究の進行、日本発の技術である iPS 細胞の臨床応用の加速のために、ヒト幹細胞を用いた臨床研究に関わる指針の改訂が行われ、日本国内においても体性幹細胞以外の細胞を臨床に用いることが可能となる段階に進んできた。まだ iPS 細胞を用いたヒト幹臨床研究は提案されていないものの、理化学研究所の網膜再生テーマ等、国の研究費の投下による臨床研究が推進されようとしている。

以下に、再生医療における課題をまとめる。

1.1.1 臨床研究から始まる再生医療—治療を継続的に提供できる制度を整備すること

再生は、まずは「ヒト幹細胞を使用した臨床研究」から開始し、ついで医師主導治験、もしくは「高度医療」に進む事例が多く、企業による製品化にはまだまだ時間を要する状況にある。市場性などから考慮して製品化が無理なテーマではあっても、臨床研究の結果、患者が要望する治療になりうるということが判明するケースもあると思われる。そのような治療については、高度医療等へ進み、全額患者負担とならない制度を利用して、治療を継続的に提供できる制度を設けることが必要と考える。

下図に、現在の再生医療の実用化プロセスをまとめた。

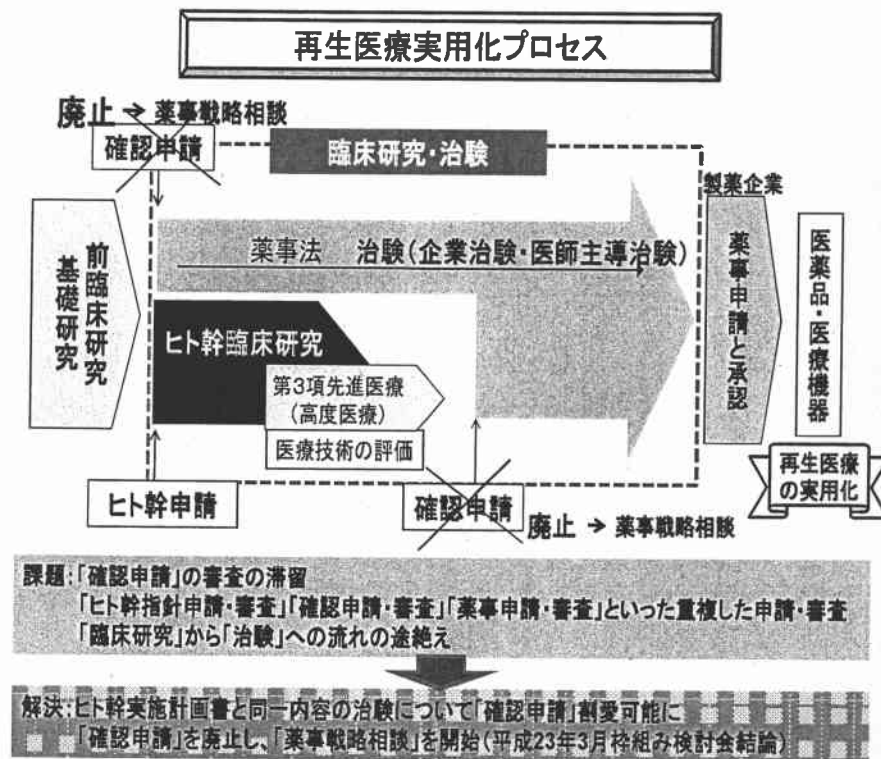


図 2 再生医療実用化プロセス

1.1.2 再生医療製品の承認取得のための非臨床試験の要件を早期に確認すること

国内における承認実績は未だに培養表皮ジェイス1品目のみであり、承認申請に必要な項目がどのようなものであるかは、まだ明確になっていない。厚生労働省及び経済産業省が連携して行っている「次世代医療機器評価指標作成事業」において、再生医療製品である心筋シート、角膜シート及び培養軟骨などの評価指標が作成されているが、再生医療製品の開発において必ずしも活用されている状況ではない。新規の医療技術については、その開発者が品質・安全性評価の要点を最も理解しているはずであり、開発者自らが合理的な説明のでき

るデータを取りそろえる必要がある。まずはそのようなデータを開発者がある程度取りそろえた上で、開発者と行政・審査側が必要な試験項目に関して議論の機会をもつことが重要と考える。平成24年2月2日、近畿大学早川らがまとめた、MCP (Minimum Consensus Package : 非臨床試験を中心とした、品目に関わるリスクを考慮した上での非臨床試験の必要項目に対する考え方) が公開され、意見募集が開始された。再生医療製品開発に係わる研究者・企業は、研究開発にあたっての基本的な考え方として本 MCP を参考とされたい。S 特区調査研究班も、今後も積極的な情報提供を行っていくことを考えていきたい。

1.1.3 他家細胞製品の開発に必要な原料細胞を確保する道筋をつけること

他家細胞を用いた製品は、レディーメイド製品へと代わる可能性があることから、従来の自己細胞製品よりは安価に作製できると考えられている。しかしながら、日本国内ではヒト由来細胞は流通(販売)されておらず、細胞の入手方法として、1) 国外から入手した細胞を用いる(角膜等)、2) 国内の病院でストックされた組織を用いる、あるいは3) 国内でバンク化された組織を用いる、が考えられるが、1)の海外からのヒト由来材料の供給については、厳しい生物由来原料基準によりほとんど見込み薄である。他家細胞と自己細胞に関する薬事規制上の相違はほとんどなく、注意すべき事項は「提供者の同意」「無対価原則」である。また、臓器移植法で縛られているのは特定臓器(心臓、肺臓、肝臓、腎臓、脾臓、小腸、眼球)に限られており、皮膚、軟骨は対象外である。

しかし、一方では、組織採取を行う施設との契約を条件に製品化が進められるのであれば、原材料として規格を満たした細胞・組織を継続的に入手可能か否かが、次の課題となるのではないか。また、血液細胞については、献血といった制度が広く知れ渡っており、社会的にもその必要性が認識されているものの、特定企業の製品に他人の生きた細胞が用いられることに対して、日本国内で社会的に受容できるか否かを確認せずに実施することはリスクが高いと考えられる。臓器移植法を定めたときと同様に、社会学者や倫理学者等を含む有識者を交えた、公の場での公開討論も必要かも知れない。

1.1.4 再生医療周辺機器の薬事規制及び保険上の取り扱いを検討すること

提案テーマの中には、加工した細胞本体のみならず、移植手術にあたっての準備、移植時の適用外薬剤の併用、さらには適用外(あるいは新規)医療機器の複合療法が予定されているテーマも多い。さらに、使用する細胞を分離する機器についても、再生医療における有用性検証が必要とされており、臨床試験データの添付が要求されることが多いが、それが原因で企業が開発中断する事例が出始めている。開発者は、このような細胞分離機器の扱いも含めて、厚生労働省医療機器審査管理室及び PMDA 機器審査部、さらには生物系審査部と内容を詰めておく必要があるのではないか。以下にその概略を図にまとめた。

再生医療で使用される医療機器等について

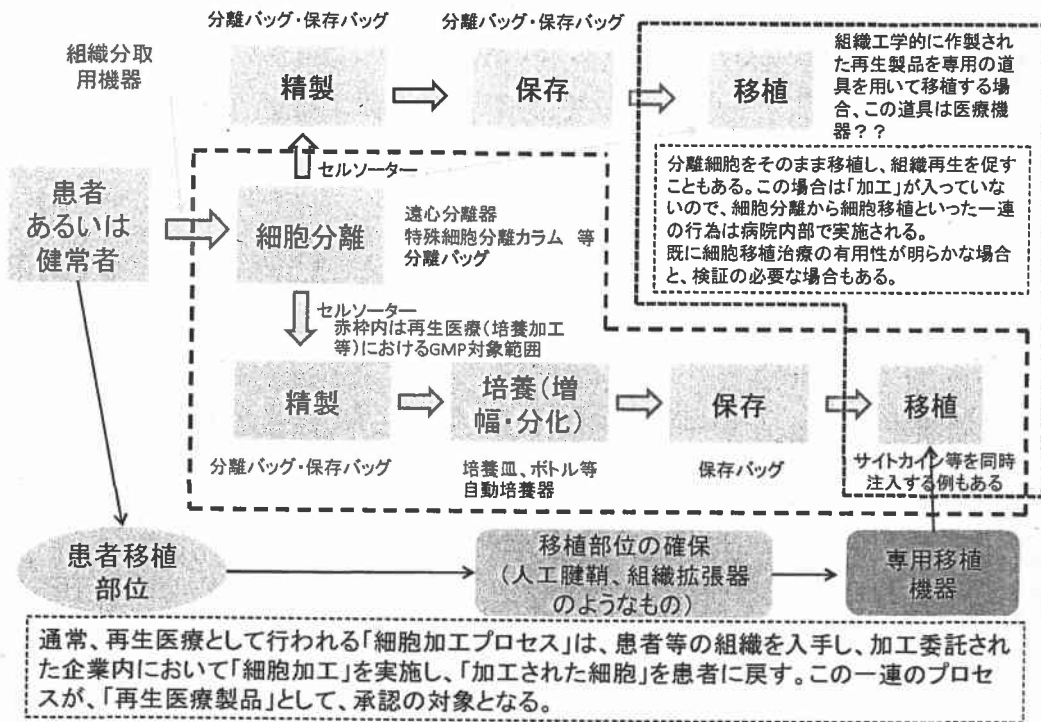


図3 再生医療で併用される機器等

さらに、細胞組織加工製品を用いる際に、手術そのものに特殊な機器を用いたり、手術すべき部分を確保する手段に専用の機器を用いたりする場合、周辺機器を抱き合わせた「キット」あるいは「セット」として提供することが考えられるが、細胞組織加工製品単独での価格試算ではなく、このような周辺機器も組み入れた価格体系を考えるべきではないか。既承認「培養表皮」や審査中の「培養軟骨」は専用周辺機器が必要ではなく、検討されることはなかったが、今後は予想されることであり、事前の検討が必要であろう。

1.1.5 再生医療に関わる細胞組織加工製品を製品化するには、製薬企業、医療機器企業の企業戦略を理解すること

ヒト幹細胞の指針に準拠した臨床研究（ヒト幹臨床研究）が次に進む方向として、企業治験が考えられる。しかし、今までヒト幹臨床研究から企業治験へ移行した事例は、テルモ社による骨格筋芽細胞シートによる心筋再生（阪大臨床研究）1件のみである。ヒト幹臨床研究の結果は、大臣承認を得た臨床研究であるにも関わらず、承認申請に活用することはできない。データの信頼性、サンプルの同一性など議論すべき事項はあるにせよ、治験環境の整っていない日本国内において、どのような条件を充足していれば承認申請における添付資料として使用可能か、等を検討すべきではないか。

再生医療は企業の関与なしに臨床研究を進められる数少ない例の一つであり、臨床研究段階において、その有用性が特定施設においてのみ評価されることも多い。製品化を進める企業にとっては、実績が特定病院に限られている技術を製品化に結びつけるのはリスクが大きく、少なくとも複数施設における臨床成功例を待って、製品化へステップアップしたいと考える企業も少なくない。このような企業は、単独施設のヒト幹臨床研究について、医師主導の多施設治験あるいはヒト幹臨床研究の多施設臨床研究の結果を期待しており、アカデミアは製品化を考える場合、このような企業の姿勢を理解する必要がある。

1.2 医療機器

医療機器分野には、承認取得して上市（製品化）したテーマと、製造販売承認を取得したテーマがあり、開発ステージに前進が見られたといえる。しかしながら、再生医療、医薬品及び複合療法分野に比して、比較的開発期間が短いはずの医療機器分野においては当初の期待通りとはいえない面もあり、多くの個別テーマについて課題が山積しているものと考えられる。以下に、いくつかの課題と対応策について述べる。

1.2.1 アカデミアと協力企業は互いの価値観・立場を理解し、テーマ・開発計画を設定すること

設計責任、製造販売責任を持つべき協力企業自らの検証が不十分であったために、非臨床データに不備が見られ、非臨床試験をやり直しせざるを得なかったテーマがある。これは、企業の方が薬事を理解しているにも関わらず、アカデミアが開発計画立案において前面に立ってしまったことが原因である。再度のデータ収集実施のように無駄に時間を費やさぬよう、アカデミアは、POC 終了段階で申請に必要なデータ収集活動を企業へバトンタッチすることを理解しておくべきではないか。

また、企業は、採算性の確保（適切な利益追求）と承認後の継続供給（安定供給）が担保されないと、製品化に踏み切れないことを、アカデミアは理解する必要がある。アカデミアの主張が強く、製品に過剰なスペックを付加しようとしているテーマでは、企業としての投資回収は期待できないため、企業が協力を辞退する、あるいは協力企業として手上げしないケースが出てくる。一方、協力企業は、テーマ設定時に、アカデミアと開発計画を十分協議し、最終スペックについて合意しておく必要があるだろう。

1.2.2 薬事規制及び開発プロセスを熟知したメンバーを参加させること

効率的な開発を進めるためには、薬事規制や製品開発プロセスを熟知したメンバーの参加、さらには製品化にあたって重要な知財担当者を揃える必要があるが、アカデミア内部で、そこまでテーマ推進体制が整備されているプロジェクトは少ない。アカデミアの発案テーマであっても、最終的にはその提案を受けて製品化するのは協力企業であり、企業が薬事担当者、開発担当者、知財担当者をそろえることになるだろう。しかし、S 特区採択課題、とりわけ医療機器分野においては、製品化を進めるためのステップごとの要件を明確に把握している研究者が特に少ないように思われる。医薬品の場合は、コンセプトメイクがアカデミアで、以後

の企業での有効成分の製造、製剤化、薬効・薬理、安全性評価、臨床評価、及び承認申請の道筋が定型化されており、専門分野の連携方式で開発が進められているが、医療機器の場合は、特定の開発リーダーが、すべての開発ステージに係わる開発パターンをとる企業が多く、定型的な分業パターンが決められていないのが現状である。しかし、今後は、薬事規制、開発プロセス、及び知財に詳しい者を適切に配置し、タイミングをみてステップアップを図らないと、製品の市場導入の遅れ、コンセプトの陳腐化を招くことになりかねない。早い段階からのアカデミアと協力企業の協業体制の構築と、企業側の努力が必要となろう。

1.2.3 安全性、性能、臨床データ要件、及び承認申請書記載要領に対する理解を高めること

アカデミアも協力企業も、医療機器の承認取得に、医療機器自体の安全性及び性能を確認する必要があることを理解しているが、有効性（医療上の有用性）確認の必要性に対する理解が十分でないため、いたずらに PMDA 対面助言を重ねている状況がある。また、PMDA 対面相談における相談事項として多いものは、製造販売承認申請の申請区分及び治験要件（臨床試験データの必要範囲）に関することであった。これらは、行政通知として発出されているものばかりであるが、特区プロジェクト関係者はもとより、申請経験の浅い企業にとっては、通知だけでは理解できないのが現状である。S 特区調査研究班は、承認申請書及び資料概要作成について、記載の考え方を説明することで支援してきたが、ベンチャー企業の場合、記載内容の添削まで求められる事例があった。分野別医療機器意見交換会でもアカデミアからメディカルライターの人材育成の要望が出ていたように、今後、広く検討する必要があるのではないかと。これらの問題解決に向けて、今後 S 特区は、以下の対応を考えている。

- 1) 意見交換会等を通して、S 調査研究班が仲介するような形で、PMDA とアカデミア・企業間の情報の共有化を図る。
- 2) S 特区における相談事項を含めて抽象化した形で、製造販売承認申請に必要な資料や臨床試験データの要否等に関する FAQ を作成する。なお、医療機器の臨床試験データの要否等については機器の特性に応じて個々に判断される場合が多いことから、PMDA の「臨床評価相談」等の対面助言制度の活用を推奨していきたい。
- 3) 厚生労働省及び PMDA の公開情報（各種通知類をはじめ、新医療機器の審査報告書や PMDA 対面助言の相談区分及び未承認医療機器の取扱いなどに関する文書）を、アカデミアが容易に検索・閲覧できるシステムを提供する。具体的には、①S 特区ホームページを活用し、アカデミアや協力企業に有用と考えられる通知類（未承認医療機器の臨床研究への提供、適正な情報提供、展示会等への出展等に関する通知を含めて）を整理して掲載する。②新医療機器審査報告書などの希望するサイトを容易に閲覧できる簡易マニュアルを作成・公開する。

1.3 医薬品

S 特区内の医薬品テーマにはすでに協力企業がついているものが多く、それらは当該企業の開発方針で進められているようで、S 特区研究班の支援で医師主導治験へ移行したものは少ない。全般的に前年度非臨床ステージにあったテーマは、臨床のステージに移行し、第 I 相試験にあったテーマは第 II 相試験へと移行しているようである。一方、S 特区研究班が支援したテーマは、当研究班の支援に加え、PMDA 内に発足した薬事戦略相談室の支援により、順調に前進しているものと思われる。我が国のアカデミア発の科学技術を早期に創薬・実用化に結びつけるために、S 特区研究班は、今後も薬事戦略相談室との連携を強めながら、大学・ベンチャーへの支援を一層強化していきたい。本年度の活動を通して抽出された実用化への課題は以下のとおりであった。

1.3.1 承認申請を念頭に置き、臨床研究だけでなく治験実施を目標とする

医薬品分野では、臨床研究を先行させる例が散見される。その理由は、①臨床効果を確認してから治験に進みたい、②アカデミア内に GCP 組織が整備されていない、③治験を行う企業が見つからない、等であった。しかし、現状では臨床研究は承認申請において参考資料とはなるものの審査資料としては受け入れられないことを理解し、治験を早期に開始することが望ましい。治験実施を目標に設定することは、承認申請に必要な資料を理解すると共に、治験計画届等の早期段階で審査側と接触する機会ができ、開発と並行した問題解決が可能となるので、早期承認へとつながる利点もある。目標を高度医療認定としているテーマもあるが、S 特区の最終目標は、広く国民に革新的新規医薬品を供給することであり、その通過点に薬事承認があることを理解して、薬事申請を念頭に置いた治験実施を目標とする必要がある。

国際的な競争に打ち勝つためには、ガイドラインに則った非臨床試験を実施し、将来取得しようとする効能を意識した適切な開発を進めることが肝要であろう。そのためには、治験センター等アカデミア支援組織の活用も有益かもしれない。

ベンチャー企業においては、社内のヒューマンリソースや開発経験、薬事知識が十分でなく、開発推進体制を構築できなかつたり、種々の業務を外注しているケースが見られる。例えば、製剤は治験薬から市販品まで一貫した同等性が求められるので、治験薬の委託製造先は、早い時期から承認後の生産体制を考慮して選定し、円滑な企業移管や承認申請に向けた対応を立てる必要があるが、そのような戦略を立てられないケースがある。臨床に入ってから製剤研究を再度行うため、安定性試験のやり直しや同等性の証明をするなどの追加試験が必要になる。このような基礎的段階での停滞を避けるため、今後、PMDA とは異なる観点から早期の薬事・開発戦略相談に応じる組織の創成が必要であろう。

1.3.2 難病・希少疾病用薬：開発の活発化に向けて一層の開発推進策が必要である

S 特区では、難病・希少疾病克服に対する挑戦がアカデミア、ベンチャー、企業で推進されており、その実を上げつつある。また、いわゆるウルトラオーファンドラッグに対する治

療法の検討も進められ、国際的な共同治験体制の構築などが期待されている。日本では対象患者が極めて少ないため、国内治験が進められず、米国で治験が開始されたテーマもある。難病・稀少疾病薬の開発を促進するためには、税制の特例、ウルトラオーファンドラッグに対する助成金など、その実現に向けた施策が実施されつつあるところである。今後、医薬品開発を活性化させるためには、疾病の状況（家族性、長期・短期投与など）・必要性に応じて、承認申請資料の一部省略など、緊急度に応じた対応等の一層の開発促進策の導入が望まれる。

1.3.3 新型ワクチンとアジュバント開発：品質・安全性・有効性評価指針作成への支援が必要

がんワクチンと次世代感染症ワクチンに共通の課題として、免疫賦活化を期待するアジュバントの開発がある。S特区内においても、両領域に関連する複数のテーマにおいて、別途に試行錯誤でアジュバントの開発が行われているところである。このアジュバント開発は、世界的に広く研究が進められている分野であり、日本はこの分野の研究で遅れを取ってはならないと考える。そのためには、開発と並行してアジュバントについてアカデミア研究者と審査側の間で科学的な議論を行い、品質・安全性・有効性評価要件の方向性を見いだすことが望ましい。医薬基盤研が中心になって、アジュバントの安全性・有用性についての検討を行う「次世代アジュバント研究会」が発足し、がん及び感染症の専門家及び企業が参加してその議論は始まったところである。S特区対応部門としても薬事上の課題抽出、特区対応プロジェクトへの情報提供や協議の場の設定など支援をしていきたいと考えている。

1.4 複合療法

複合療法は、医薬品及び医療機器の併用により薬効を発揮する、薬効を高める、あるいは医療機器の治療効果を高める医療方法であり、例えば、臓器内の治療効果を高めるとともに周囲組織への影響を少なくするために、単独では作用しない医薬品を投与して臓器に蓄積させ、医療機器を用いてエネルギーを照射し、薬効を発揮させる施術である。複合療法における医薬品と医療機器の組み合わせ、並びに複合療法の承認申請に必要な資料・試験（一部）に関する論点に関しては、平成23年3月23日に開催した「S特区意見交換会（複合療法分野）」で次のように整理されている（図4，5）。

S 特区採択課題の中で、複合療法をサブテーマとして挙げている 4 課題を、医薬品と医療機器との組み合わせに基づいて分類すると以下のようになる。

- ① 既承認どおり（申請不要医薬品）と新しい機器（新医療機器）
- ② 新しい効能・効果（新効能医薬品）と新しい機器（新医療機器）
- ③ 新しい効能・効果（新効能医薬品）と新使用法追加（一変申請により使用方法追加）
- ④ 新しい物質（新有効成分医薬品）と新しい機器（新医療機器）

このような分類の中で実用化を阻む要因と対応策を次に示す。

1.4.1 医薬品単独、複合療法時の毒性試験等の非臨床試験要件を理解すること

複合療法に使用される新医薬品には、単独での毒性試験、用量反応性、血中動態への影響等の試験の他、複合療法時の安全性試験が求められるが、研究者側の理解が得られていない状況がある。平成 23 年 7 月から発足した PMDA の薬事戦略相談と併せて S 特区対応部門として研究者側の理解を深めることが必要と考えている。

1.4.2 医薬品企業と医療機器企業との連携を進めること

協力企業の協力が得られないケースとして、医薬品企業が、複合療法により薬効を高めることにより、その医薬品の売上減が予想される等を懸念していることがある。複合療法においても、他の分野同様に企業の協力が得られるよう、研究者には開発の最終ゴール、実用化にあたっての明確な目標を設定するなどの戦略を構築することが重要である。医師主導治験が進められている場合においても、実用化に向けては企業の参画は不可欠であり、連携を進める必要がある。

1.4.3 PMDA の新薬審査部と医療機器審査部との連携を希望する

現状では、複合療法であっても医薬品は新薬審査部、また、医療機器は医療機器審査部にて審査が行われるため、複合療法としての審査が効率的に行われているかが懸念される。今後、コンビネーションプロダクトの審査体制の検討が必要になる可能性があり、それを含めて厚生労働省担当課及び PMDA との意見交換会等で、審査体制の明確化を要望していきたい。

1.4.4 前例のないケースの治験にあたっては、当局との事前協議が必要である

本年度、特殊な事例として、診断する医療機関と治療する機関が異なる場合の治験体制について相談があった。厚生労働省の担当課との協議により、治験責任医師を両医療機関に設置することとなった。この案件については、研究者側の理解が得られ対応したが、このように、前例のないケースに関しては早期に厚生労働省との協議が必要であるといえよう。

ここまで述べてきた複合療法は、大型医療機器と薬剤の組合せであるが、それ以外にも種々の組合せが想定される。例えば再生領域においても、細胞組織医療製品と適用時に併用する医薬品、手術時に用いる医療機器、さらには一連の治療体系の中で使用される様々なツール

などが考えられる。これらの薬事規制上の位置づけが明確にはなっておらず、治療実施後の保険償還の中でどのように費用回収するかも含めて、今後の整理が必要である。複合療法領域においては、医療機器単独あるいは医薬品単独で進めることが困難であることから、幾つかの前提条件を整えておく必要がある。

2. 分野間で共通性の高い課題と、考えられる対応方策

各分野から抽出した課題には、いくつかの共通点があることが分かる。分野間に共通して存在すると考えられる課題を整理すると、1) 研究テーマ設定上の課題、2) 治験・申請に向けた体制上の課題、3) 薬事規制上の課題 に分けられるのではないだろうか。つぎに、共通する3つの課題を整理し、現段階で考えられる対応方策を考察してみたい。

2.1 研究テーマ設定上の課題：研究テーマ及び研究計画が製品化を目的として設定されているか

各プロジェクトで進められている個別テーマをみると、S特区調査研究班活動の開始時に既に研究成果が得られていたものから、S特区の本班活動を契機に研究が開始されたものまで多種多様である。特区採択24課題の中で、企業プロジェクト課題は一つであり、他はすべてアカデミア（大学及びその他の研究機関）が中心となっているものである。実用化には企業への技術移管が不可欠であり、企業にとって魅力的なテーマか否かが重要ポイントとなる。この視点で個々のプロジェクトが進めている個別テーマを分類すると、以下のようになる。

- ①研究者及び企業の双方にとって優先度が高いシーズを持ち、研究の方向性（治療方法、対象疾患等）が一致している。
- ②研究者及び企業の双方にとって優先度が高いシーズを持つが、研究者が進める方向性は、企業にとって優先度が必ずしも高くない。
- ③企業にとって優先度の高いテーマではなく、実用化に向けて研究者が独自に対応しなければならない。

S特区事業は、基本的に実用化（製品化）を目指した事業であるので、S特区課題採択者は、応募の際に上記①のようなテーマ選び及び進め方になっていたはずである。未だ実用化への道筋が見えていないテーマにおいては、今一度、シーズと方向性を見直し、実用化に向けた計画を練り直し、取り組むべきであろう。

2.2 治験・申請に向けた体制上の課題：

S特区各テーマの中心はアカデミアであるが、多くのプロジェクトに中小企業あるいは大手企業が参画している。製品化が前提である事業である以上、最終的には企業による製品化が必要であり、製品開発責任を持つ企業が前面に出て製品化に向けた対応を進めるべきであ

る。しかし、企業の体制が十分ではなく、技術移管が必ずしも円滑に行われていないケースが見られる。特に医療機器分野では、アカデミアに対して、製品化に向けた開発戦略や、投資回収戦略を適切にアドバイスできる企業研究者が極めて少ない。効率的な製品開発を進めるためには、アカデミア内部に薬事規制、並びに開発プロセスを熟知したメンバーを、さらには製品化にあたって重要な知財担当者を配置する必要があるが、そこまでの体制を整えられているプロジェクトは少ない。また、ベンチャー企業においては、ベンチャー内の開発体制が十分に出来ていないケースが見られ、プロジェクトマネージャーの元に各専門分野の担当者が組織化されるような体制作りを急ぐことが望まれる。外注で補う場合でも、薬事や知財に精通した者は必須であり、そのような人材の確保、あるいは人材育成体制の確立が不可欠であろう。

2.3 薬事規制上の課題：薬事規制についての理解促進方策

S 調査研究班業務を進める中で、アカデミア及び研究協力者は、当該研究テーマについて行政から発出されている行政通知、ガイドライン等の存在を知らない、あるいは、それらのガイドライン及び関連情報の入手方法を知らないケースが見られ、S 特区相談もそこから始めることになることが多い。研究者側がこれらの情報を知ることにより、より効率的、的確な研究の推進が可能になることは容易に想像がつく。

行政通知は、各大臣等がその所管事務に関して所管の諸機関や職員に命令又は示達する形式のもので、アカデミアに直接示達されるものではないこと、及びこれらの情報は、厚生労働省の HP「所管の法令等」及び PMDA HP「承認審査業務情報」に公開されているが、アカデミアの閲覧者が多いとは思われず周知されていない状況にある。

一方、研究協力企業においては、薬事担当者は精通していても研究開発担当者が精通しているとは思えない。行政通知は、通知の標題を見ても記載内容が一目で分かるようになっていないのが現状である。

3 年間の S 調査研究の経験から、医薬品及び医療機器の開発前・非臨床試験・臨床試験・申請準備までの各ステップごとに発出されている関連通知・ガイドラインリストと記載内容概要並びに関連情報の入手方法を整理し、S 特区の HP 上で公開することで、課題採択者が行う PMDA 対面助言等においてより深化した相談が受けられるようになるであろうと思われる。

3. 来年度に向けて

来年度も、引き続き、意見交換会や薬事相談を通して、隘路抽出と分析を行っていきたい。また、本年度整理した共通する 3 つの課題の中で、前項 2.2) 体制上の課題、及び 2.3) 規制上の課題の中から、S 特区対応部門における対応方策の検討が期待されると思われる項目について、関係省庁との緊密な連携を図りながら、解決策を見出していきたい。

3.1 分野別意見交換会の継続的開催

S 特区内のプロジェクトが抱える分野別の共通問題や特定テーマに焦点を当て、分野別意見交換会を開催する。事前に研究者と規制当局間の調整を行う等により、相互理解が深まるよう努めたい。本年度実施した「再生医療分野」及び「医療機器分野」の 2 分野では、良好

な評価を受けた。平成 24 年度は、最終年度でもあることから、分野別意見交換会にこだわらず、薬事等相談会でのテーマ取り上げを含めて総合的に開催を検討していきたい。

3.2 PMDA 薬事戦略相談及び対面助言の活用，並びに S 調査研究班事前薬事相談の強化

薬事戦略相談には、その設置当初から協力しており、来年度も連携体制を強化していく。また、S 特区採択課題は、PMDA の対面助言制度において優先的な対応を受けられるなど特段の扱いを受けており、対面助言制度を利用している採択課題研究者及び協力企業は少なくなことを踏まえ、S 調査研究班は、その利用に際して、対面助言項目の選択やデータパッケージの充足化、相談事項の明確化等について事前にアドバイスを行い、対面助言を効率的かつ有効的に活用できるよう支援する。さらに、S 特区採択課題研究者に対して、薬事戦略相談、対面助言、S 調査研究班事前薬事相談を有効に活用することを積極的に紹介し、利用を促したい。これらの活動を通して、入り口（臨床研究）から出口（治験・申請）へのスムーズな移行を実現するため、研究者と協力企業間に存在する課題解決に向けた活動、すなわち事務所面談等の S 調査研究班への相談を分野別意見交換会等で積極的利用を呼びかける。

3.3 薬事規制周知の方策の検討

本年度の活動を通して、薬事専門家でなければ開発に関するガイドライン等を入手し難いシステムになっていること、また、初心者には該当するガイドライン等を適切かつ効率的に選別できないケースが多いことが明らかになった。この隘路に対する具体的対応方策として、S 特区対応部門では、これまでの相談内容を考慮した上で薬事規制の分類・項目立てを行い、アカデミア・ベンチャー企業に向けた FAQ を作成したいと考えている。

E. まとめ

先端医療開発特区薬事調査研究（S 調査研究）は、平成 21 年、S 特区採択課題者からの薬事相談等を通して、革新的医薬品・医療機器の開発及び早期実現を阻む薬事上の課題を抽出し、対応方策を検討することにより、開発・実用化を加速させることを目的として開始された。平成 23 年度は、24 課題採択者からの個別相談等 115 回（訪問調査、事務所面談、厚生労働省・PMDA 面談立会等含む）、再生医療および医療機器分野別意見交換会の開催、並びに 12 回の S 調査研究班月例会議での議論を通して、早期実用化を阻む隘路と考えられる課題を抽出し、対応方策を検討した。

各分野別に見られる課題に対する対応策は以下の通りと考えられた。

〈再生医療〉

- ・ 治療を継続的に提供できる制度を整備すること
- ・ 承認取得のための非臨床試験の要件を早期に確認すること
- ・ 他家細胞製品の開発に必要な原料細胞を確保する道筋をつけること
- ・ 再生医療周辺機器の薬事規制及び保険上の取り扱いを検討すること
- ・ 開発者は、製薬企業・医療機器企業の企業戦略を理解すること

〈医療機器〉

- ・ アcademia と協力企業は、相互の価値観・立場を理解し開発計画を設定すること
- ・ 薬事規制及び開発プロセスを熟知したメンバーを参加させること
- ・ 承認申請に必要な資料の記載要領への理解を深めること

〈医薬品〉

- ・ 承認申請を目指した治験の早期実施を目標にすること
- ・ 難病・希少疾病用薬の開発に向けた推進策を検討すること
- ・ 新型ワクチン及びアジュバント開発に向けた評価指針作成を支援すること

〈複合療法〉

- ・ 医薬品単独及び複合療法時の非臨床試験要件を理解すること
- ・ 医薬品企業と医療機器企業の連携を強化すること
- ・ PMDA 内の新薬審査部と医療機器審査部との連携を強化すること

尚、製品化に向けた目標を明確に設定すること、治験・申請に向けた体制をつくること、及び薬事規制への理解を深めることは、分野間に共通して見られる課題に対する対応策であった。

別途、S 特区調査班は、PMDA 薬事戦略相談室設置にあたって、戦略的薬事相談が課題解決につながるよう、その準備段階から 3 回にわたって審査マネジメント部と会合を持ち、薬事相談を円滑に行うための情報提供・意見交換を行うなどして協力した。

来年度は、引き続き分野別意見交換会・薬事等相談会の開催、PMDA 薬事戦略相談及び対面助言の活用、並びに S 調査研究班の事前薬事相談の実施を通じた課題抽出と対応策の検討を行うとともに、FAQ の作成などの方策の具現化を行っていきたい。

第4期科学技術基本計画（システム改革関連箇所）

II. 将来にわたる持続的な成長と社会の発展の実現

4. ライフイノベーションの推進

(3) ライフイノベーション推進のためのシステム改革

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
1	国は、レギュラトリーサイエンスを充実、強化し、医薬品、医療機器の安全性、有効性、品質評価をはじめ、科学的合理性と社会的正当性に関する根拠に基づいた審査指針や基準の策定等につなげる。	<ul style="list-style-type: none"> 再生医療、細胞治療を実態に合わせて分類し、それぞれに合った規制、制度を構築 医療機器に合った法規制の整備と運用(薬事法) 医薬品と治療機器、診断機器は異なる審査体制を要す 医薬、医療機器、再生医療などの特性に合わせた薬事規制に改訂 特に医療機器、再生医療での製品安全リスクへの国家レベルでの対応 薬事法などの規制改革 	<ul style="list-style-type: none"> 安全性、有効性及び品質管理の評価方法など、開発から市販後安全対策までの規制等について、科学的合理性などに基づいた整備を行うためのレギュラトリーサイエンス研究を推進する。【厚労省】 医療機器について工学的安定性等に関する詳細な基準を開発ガイドラインとして取りまとめ、医療機器開発の効率化・迅速化を図り、実用化を促進する。【経産省】
2	国は、医薬品及び医療機器の承認審査を迅速かつ効率的に行うため、審査機関の体制を大幅に整備、強化するとともに、当該審査機関におけるレギュラトリーサイエンスの研究機能の充実、これらに精通した人材の養成及び確保を推進する。	<ul style="list-style-type: none"> 再生医療・細胞治療の専門家の審査部門への登用、育成 産官学での専門家の異動、情報共有化の推進 	<ul style="list-style-type: none"> 革新的医薬品・医療機器等の実用化を推進するため、医薬品・医療機器総合機構(PMDA)及び国立医薬品食品衛生研究所において、レギュラトリーサイエンス研究機能の充実、アカデミアとの間で審査員・研究者の人材交流を行うことによる最先端の医療技術に関する知識の共有化を図りながら、有効性と安全性を評価するためのガイドラインを整備する。【厚労省】 併せて、審査の迅速化、安全対策の強化のため、PMDAの体制の強化を図る。【厚労省】
3	国は、大学、公的研究機関、産業界との連携の下、新たな創薬や医療機器開発につながるシーズを生み出し、その実用化を加速するため、官民を挙げた創薬・医療技術支援基盤の整備を推進する。特に、「橋渡し」研究拠点を充実、強化するとともに、研究提案を公募し、全国の大学や企業等に開かれた医療機関ネットワークを構築する。	<ul style="list-style-type: none"> 臨床と基礎の新融合領域の設立(clinical molecular epidemiology) 探索臨床橋渡し拠点での開発中止薬物の別疾患に対する再評価 研究の初期から産学でプロジェクトを組み目標を明確にして研究開発を進める 基礎研究、研究領域間の連携、研究・企業連携等を橋渡しできる専門的知識を持つ人材の育成と職種の創生 医療機器の臨床研究・治験を活性化させる検討が進み、拠点整備やネットワーク構築が行われ、実情に合った環境整備が早期に実現することを期待 	<ul style="list-style-type: none"> アカデミア等における我が国の優れた研究成果を確実に医薬品の実用化につなげることができるように、基礎研究等から医薬品の実用化まで切れ目なく支援するためのオールジャパンでの創薬支援体制として、医薬基盤研究所を中心に関係府省・創薬関連研究機関等による創薬支援ネットワークを構築する。【内閣官房、文科省、厚労省、経産省】 国立高度専門医療研究センターの機能を活用した、産官学・海外・研究所と病院の連携による、医薬品・医療機器・医療技術の開発を支援する。【厚労省】 実用化が見込まれる有望な基礎研究の成果を臨床へと繋げるための橋渡し研究支援拠点の活動を更に充実・強化するとともに、拠点間のネットワーク化を促進する。【文科省】
4	国は、医薬品及び医療機器の臨床研究と治験を一体化した制度に関して、海外の類似した制度(例えば、米国におけるIND(Investigational New Drug)、IDE(Investigational Device Exemption)等)を調査研究し、その導入について検討するとともに、大学等に対して、国際標準に基づく臨床研究の実施を求める。	<ul style="list-style-type: none"> 再生医療・細胞治療においては臨床研究(先進医療)から企業治験へのシームレスな支援が必要 治験における臨床研究データの活用基準の確立 臨床研究・治験体制の整備と継続的な支援 	<ul style="list-style-type: none"> 臨床研究の質を向上させるため、国際水準(ICH-GCP準拠)の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院の整備を進めるとともに、国際水準の臨床研究や医師主導治験等の実施を支援している。【厚労省】

5	<p>国は、臨床研究の成果を円滑、効率的に創薬や医療機器開発に結びつけるため、研究開発の早期の段階から規制当局による相談や助言を受けられる体制を整備するとともに、臨床研究から治験、承認申請、さらには承認後の市販後安全対策までを一体的に進めることができるよう、相談や届出の窓口、承認審査及び安全対策の体制を充実、強化する。</p>	<p>・医療機器の臨床研究・治験の活性化(市販後の臨床研究を含む)</p>	<p>・日本発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な品質・非臨床試験及び治験に関する指導・助言を実施する「薬事戦略相談」を、PMDAにおいて平成23年7月1日から開始しているが、引き続き、充実強化に努める。【厚労省】 ・併せて、審査の迅速化、安全対策の強化のため、PMDAの体制の強化を図る。【厚労省】</p>
6	<p>国は、革新的な医薬品及び医療機器の開発につながる新たなシーズの創出に向けて、バイオベンチャーを長期的視点から支援するための取組を進める。</p>	<p>・ベンチャーに継続的に資金が集まる仕組みが必要 ・再生医療分野はまだ市場が形成されていないため事業性が読みにくく企業として投資に踏み切ることが難しいため、研究、開発の各段階での経済的支援、大学や企業が共用できる研究施設、製造設備等の提供、臨床研究や治験への経済的支援が必要</p>	<p>・再生医療の事業化を促進し、当該分野に対する投資を活性化するためには、いち早く「成功事例」を生むことが不可欠であるため、25年度概算要求に、再生医療等産業化促進事業を新規事業として含め、財務省と調整中。【経産省】</p>

5. 科学技術イノベーションの推進に向けたシステム改革

(1) 科学技術イノベーションの戦略的な推進体制の強化

② 産学官の「知」のネットワーク強化

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
7	<p>国は、大学間連携の強化や金融機関をはじめとした関係機関との連携を視野に入れた産学官のネットワーク構築を推進する。</p>		
8	<p>国は、大学及び公的研究機関が、優れた研究成果の提供、そのための権利調整を迅速に行う体制の整備など、産業界との連携を円滑に行うための機能を強化することを求める。また、大学が、広域的な機能を持つTLOの編成、産学官連携本部とTLOの統合、連携強化など、産学官連携機能の最適化を図ることを期待する。</p>	<p>研究の初期から産学でプロジェクトを組み目標を明確にして研究、開発を進める。 国からの経済的な支援で企業研究者を派遣するなど企業が研究に参画しやすい環境を作る。</p>	
9	<p>国は、大学による国内外の特許取得の支援を強化するとともに、特定領域における重要な技術であって海外で特許侵害されるなど国益を損なうおそれがあるものについて支援を行う。また、国は、大学及び公的研究機関に対し、海外の大学や企業との共同研究や受託研究の拡大に向けて、知的財産保護等に関する連携ルールの整備、専門人材の育成、確保など、研究マネジメント体制の整備を求める。</p>		
10	<p>国は、大学及び公的研究機関が、取得特許の管理や活用、博士課程学生等が参画する場合の知的財産の取扱いや秘密保持の原則に関する考え方の明確化を図るとともに、企業内研究室や企業の大学内研究室の設置など、柔軟な産学官連携体制を整備することを期待する。</p>		

11	<p>国は、大学や公的研究機関における有望なシーズの発掘から事業化に至るまで、切れ目無い支援を強化する。その際、関係投資機関とも連携しつつ、マッチングファンド等により、民間資金の活用も促進する。また、公的研究機関は、大学が持つシーズを社会に結びつける役割も期待されるため、産学官連携に係る機能を充実、強化する。</p>	<p>・アカデミアが保有する創業のアイデアを実現するための創業支援ネットワークの構築と活用による革新的な医薬品の開発 ・創業支援ネットワークではノウハウを蓄積している民間の既存基盤を活用 ・産官のマッチング基金による産官学連携創業拠点の整備</p>	<p>・アカデミア等における我が国の優れた研究成果を確実に医薬品の実用化につなげることができるように、基礎研究等から医薬品の実用化まで切れ目なく支援するためのオールジャパンでの創業支援体制として、医薬基盤研究所を中心に関係府省・創業関連研究機関等による創業支援ネットワークを構築する。【内閣官房、文科省、厚労省、経産省】</p>
12	<p>国は、産学官連携の成果を総合的に検証するため、特許実施件数や関連収入などの量的評価を推進するとともに、市場への貢献、研究成果の普及状況、雇用の確保など質的評価を充実する。また、これらの評価に必要な体制を整備する。</p>		

③ 産学官協働のための「場」の構築

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
13	<p>国は、基礎から応用、開発の段階に至るまで、産学官の多様な研究開発機関が結集し、非競争領域や前競争領域における共通基盤技術の研究開発を中核として、「競争」と「協調」によって研究開発を推進するオープンイノベーション拠点を形成する。特に、大学や公的研究機関が集積する拠点において、相乗効果を発揮し、イノベーションを促進するため、機関の垣根を越えた施設、設備の利用、研究成果の一体的な共有や発信を推進する。</p>	<p>(1) ライフサイエンス分野のデータベース拠点を形成する。 ・データセンター(データベース統合利用センター)の整備 ・生物研究材料(バイオリソース)の整備・活用 ・ゲノム情報等先端的基盤データ支援の仕組み ・医療情報DBの利活用の推進 ・子どもの生活、疾患に関する全国的database構築 (2) 創業プロセス初期段階におけるオープンイノベーション拠点を形成し、ヒトへの外挿性を高めた創業によりイノベーションを促進する。 ・創業標的分子の同定と臨床有用性検証のための疾患組織リソース拠点整備 ・human resource bankの整備 ・研究者が自由に使用できるヒト試料バンクの整備</p>	<p>・エコチル調査により採取・収集された生体試料により、全国最大規模のバイオバンクを確立するなど、オールジャパンのコホート・バイオバンクに貢献することにより、ライフサイエンス分野のデータベース拠点の形成に寄与する。【環境省】 ・ライフサイエンスデータベースプロジェクト(平成23年度開始)において、経済産業省の研究開発事業により生み出されたデータを、科学技術振興機構(バイオサイエンスデータベースセンター)に統合する取組を実施している。【経産省】</p>
14	<p>国は、革新的技術の研究開発に関して、産学官の連携を主導し、事業化までを見据えた研究開発体制を構築するとともに、継続的な支援を行う。また、国は、ここで得られた成果の活用、普及を促進するため、国際標準化を促進する。</p>		
15	<p>国は、産学の間で設定された研究領域で緊密な産学対話を行いつつ、従来の組織の枠を越えて、協働して研究開発と人材育成を行うバーチャル型の中核拠点(「共創の場」)の形成を推進する。</p>		

16	国は、産学協働によるイノベーションの場として「先端融合領域イノベーション創出拠点」の形成を推進する。		
----	--	--	--

(2) 科学技術イノベーションに関する新たなシステムの構築

① 事業化支援の強化に向けた環境整備

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
17	国は、起業家精神の涵養、起業体験教育等の人材養成、専門家による法務、知的財産、資本戦略に関する支援を行うネットワークの構築など、総合活動の基盤を整備する。また、大学発ベンチャーに対して、マネジメントチームの組成とこれに携わる人材の育成、マーケティング、資本戦略、知的財産戦略を含む総合的ビジネス戦略の構築など、経営戦略面に十分留意した支援を行う。	・基礎研究及び研究領域間の連携、研究と企業間との連携等を橋渡しできる専門知識を持つ人材の育成と職種の創生	
18	国は、先端的な科学技術の成果を事業化につなげるための仕組みとして、「中小企業技術革新制度」(SBIR(Small Business Innovation Research))における多段階選抜方式の導入を推進する。このため、各府省の研究開発予算のうち一定割合又は一定額について、多段階選抜方式の導入目標を設定することを検討する。		
19	国は、ベンチャー活動の活性化を図るため、リスクマネーがより効果的に提供される仕組みを強化するとともに、研究成果を創出した者が人的資本や知財等の無形資産によって出資することを可能とする仕組みを検討する。また、エンジェル投資の充実も含めて、新たなベンチャー支援策を検討する。	・再生医療に取り組むベンチャー、企業に対して補助金や減税措置など支援が必要 ・研究、開発の各段階での経済的な支援 ・大学、企業が共用できる研究施設、製造設備等の提供 ・企業の再生医療への研究投資に対する税制面での優遇措置など	・再生医療の事業化を促進し、当該分野に対する投資を活性化するためには、いち早く「成功事例」を生むことが不可欠であるため、25年度概算要求に、再生医療等産業化促進事業を新規事業として含め、財務省と調整中。【経産省】
20	国は、市場の限られた公共部門でのイノベーションを促進するため、技術を利用する側と、技術を持つ側の研究開発機関の連携システムを構築する。		

② イノベーションの促進に向けた規制・制度の活用

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
21	国は、科学技術によるイノベーションの隘路となる規制や制度を特定するとともに、その改善方策について関係府省間で議論し、解決を図る仕組みを整備する。		

22	国は、企業におけるイノベーションに向けた研究開発等の取組を加速するため、国際競争力も勘案しつつ、技術的、経済的合理性に立脚した新たな規制や制度の在り方について検討する。具体的には、バイオ燃料に関する温室効果ガス排出削減基準等の持続可能性基準の設定や自動車燃費基準の改定等が検討対象として挙げられる。		
23	国は、先端研究開発を強化するため、研究開発の円滑な推進を妨げるおそれのある規制を、補完的な措置を講じた上で限定的に解除する特区制度等を活用した先端研究拠点の形成を検討する。具体的には、大学や公的研究機関における既存の研究組織の中から、厳選してこれを指定し、その制度的な可能性について検証する。	・スーパー特区の成果を踏まえた特区制度等の提案 ・臨床試験を行う環境(病院)の整備、細胞取り扱い施設の整備、運営など取りまとめて行う再生医療特区の設置	

③ 地域イノベーションシステムの構築

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
24	国は、地方公共団体や大学、公的研究機関、産業界が連携、協力して、地域が主体的に策定する構想のうち優れたものについて、研究段階から事業化に至るまで連続的な展開ができるよう、関係府省の施策を総動員して支援するシステムを構築する。		
25	国は、優れた成果をあげている地域クラスターが、当該地域における自律的な成長の核として、更に重要な役割を果たすことができるよう、研究開発の推進に加えて、研究開発におけるネットワークの形成、人材養成及び確保、知的財産活動等に関する重点的な支援を行う。		
26	国は、被災地域等を中心として、地方公共団体、大学、公的研究機関、産業界等と連携し、特区制度も活用しつつ、官民の関連研究機関が集積した新たな研究開発イノベーションの国際的拠点等の形成について検討する。		
27	国は、被災地域がそれぞれの特色を活かして飛躍的に発展することができるよう、これまで実施されている優れた取組に重点的な支援を行うとともに、全国の大学等の知を結集して研究開発等によって新たな産業の創成を目指す取組を推進する。		
28	国は、地域における研究開発やマネジメント、産学官連携や知的財産活動の調整を担う人材の養成及び確保を支援する。また、国は、大学や公的研究機関が、人材養成や産学官連携、知的財産活動において、地域貢献機能を強化する取組を支援する。		

④ 知的財産戦略及び国際標準化戦略の推進

No.	第4期科学技術基本計画(システム改革関連箇所)	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
29	<p>国は、世界的に成長が期待され、我が国が優れた技術を持つ国際標準化特定戦略分野について、官民一体となった競争力強化戦略を策定する。また、国際標準獲得に寄与する国際的な共同研究開発プログラムを推進するとともに、国際標準化や、性能評価及び安全基準の策定に関わる研究開発機関の機能を強化する。さらに、特にアジアにおいて、製品試験や認証を行う機関への協力を進める。</p>		
30	<p>国は、産学官連携の下、国際標準化機構(ISO)、国際電気通信連合(ITU)、国際電気標準会議(IEC)等の標準化機関に対し、国際標準に関する提案を積極的に進めるとともに、産業競争力強化に資するフォーラム標準も含めた国際標準化活動を総合的に支援する。また、国際標準化活動に的確に対応できる人材の養成、確保に向け、研修プログラムの開発や国際標準化活動への参加支援を行う。</p>		
31	<p>国は、特許審査結果の実質的な国際相互承認を目指し、日米欧韓中の中で各特許庁の審査結果を共有するシステムの構築、特許審査ハイウェイの対象拡大、手続の簡素化を行い、特許審査ワークシェアリングの質の向上、量の拡大を図る。また、特許法条約への加盟を視野に、出願人の利便性向上に資する制度整備を進める。</p>		
32	<p>国は、出願フォーマット(様式)の自由化、新規性喪失の例外の拡大、アカデミックディスカウントの改善など、制度が大学及び公的研究機関の利用を促進するものとなるよう、特許制度の見直しを行う。</p>		
33	<p>国は、大学等の参画機関の協力を得て、研究目的に限り、特許を無償開放する仕組みを構築する。また、特許と関連する科学技術情報を併せて収集、公開する仕組みや、知的財産を利用、活用するための枠組みを整備する。さらに、特許や各種文献を連結、分析するシステムなど、知的財産関連情報の基盤整備とネットワーク化を推進する。</p>		

第4期科学技術基本計画に該当箇所のない指摘

No.	ライフ戦略協議会委員の意見	ライフイノベーションに関する各省の取組(実施予定のものを含む)
1	<ul style="list-style-type: none"> ・医療イノベーション政策の司令塔機能強化(基礎から実用化までを見据えた戦略の策定と予算配分、成果の評価、分野毎に推進「プロデューサー」を明確化) ・大型プロジェクトは出口イメージ(製品イメージ)やポジショニングを明確にし、研究開発の戦略、計画、推進、運営を司令塔が統括 	
2	<ul style="list-style-type: none"> ・ライフサイエンス関連予算の一本化と増強 ・研究費が各省で分断されて立案されるため無駄が多く成果につながりにくい ・類似の研究が省庁間で個別プロジェクトとして分散 	米国NIHの取組を参考にして、文部科学省、厚生労働省、経済産業省の創業関連の研究開発予算の効率的、一体的な確保及び執行について、内閣官房医療イノベーション推進室及び内閣府を中心に関係省庁において検討を行う。【内閣官房、内閣府、文科省、厚労省、経産省】
3	<ul style="list-style-type: none"> ・出口をイメージしたニーズ指向の総合戦略を描く 	
4	<ul style="list-style-type: none"> ・研究開発の目標とマイルストンの明示 ・プロジェクトリーダーとバックアップ体制の設置 ・フレキシブルな運営と予算措置 ・関係者のコミュニケーション 	
5	<ul style="list-style-type: none"> ・イノベーションの評価 	
6	<ul style="list-style-type: none"> ・アジア新興国への戦略的取組 	
7	<ul style="list-style-type: none"> ・高齢化社会でのQOL向上 ・ヘルスケアへの進展 ・医療ICT 	
8	<ul style="list-style-type: none"> ・製造コスト、市場規模等を考慮し経済的に成り立つ価格付けができなければ事業として成り立たない。また、過度の規制はコストに跳ね返るため、リスクvs.ベネフィットを重要な判断基準とするべきである。 	
9	<ul style="list-style-type: none"> ・「透明で、予測可能であること」を基本として社会システムを検討することが望ましい「透明で、予測可能であること」を基本として社会システムを検討することが望ましい 	
10	<ul style="list-style-type: none"> ・保険収載が努力に見合って適切に行われているかについては特に医療材料や医療技術(医療機器)で議論があり、産業側からはつねに改善を求めている 	
11	<ul style="list-style-type: none"> ・医学研究の基盤である保健・医療統計整備体制の不足 	
12	<ul style="list-style-type: none"> ・日本の良質で先端的な医療(システム、サービス)のグローバル展開 	
13	<ul style="list-style-type: none"> ・国民の健康を維持しながら、医療費総額を削減することを目的とし、特定の疾患や高額医療の研究開発に偏らない、研究開発のバランスの取れた推進 	
14	<ul style="list-style-type: none"> ・国民の自己責任意識の涵養 	

先端医療開発特区(スーパー特区)における薬事上の課題抽出 及び対応方策の 検討を行う調査研究 平成23年度研究報告書 概要



国立医薬品食品衛生研究所 生物薬品部
スーパー特区対応部門

1

スーパー特区対応部門活動内容の概要



【調査研究の内容】

① 24特区への訪問調査

- ・ 調査員が研究開発の現場に赴き、実際のデータや研究プロトコルなどの状況を把握した上で、薬事上の問題点を把握
- ・ 調査員が研究者と相談し、指導することで、迅速に治験段階へと進めるよう支援



24スーパー特区代表者所属機関の所在地
北海道：1、宮城：1、東京：7、千葉：1
静岡：1、愛知：1、三重：1、京都：3
大阪：4、兵庫：2、岡山：1、福岡：1
担当者：8名（2-3名/特区）



- ・ 円滑な治験段階への進展
- ・ 研究者等が薬事に関するノウハウを蓄積

② 分野別意見交換会の開催

- ・ 多くの研究課題で薬事上のボトルネックになっている問題等について意見交換会を開催し、意見交換等を行う中で、迅速に治験段階に進めるよう支援



- ・ アカデミア等からの研究開発の薬事上の問題把握
→ 広く研究者に公表し活用

③ 適時の相談対応

- ・ 医薬品医療機器総合機構 相談や厚生労働省との面談に同席し、適宜、助言等を実施
- ・ スーパー特区に取り組んでいる研究者に対して事務所での面談や電子メール・電話等の相談を行い、薬事上の課題の解決を支援



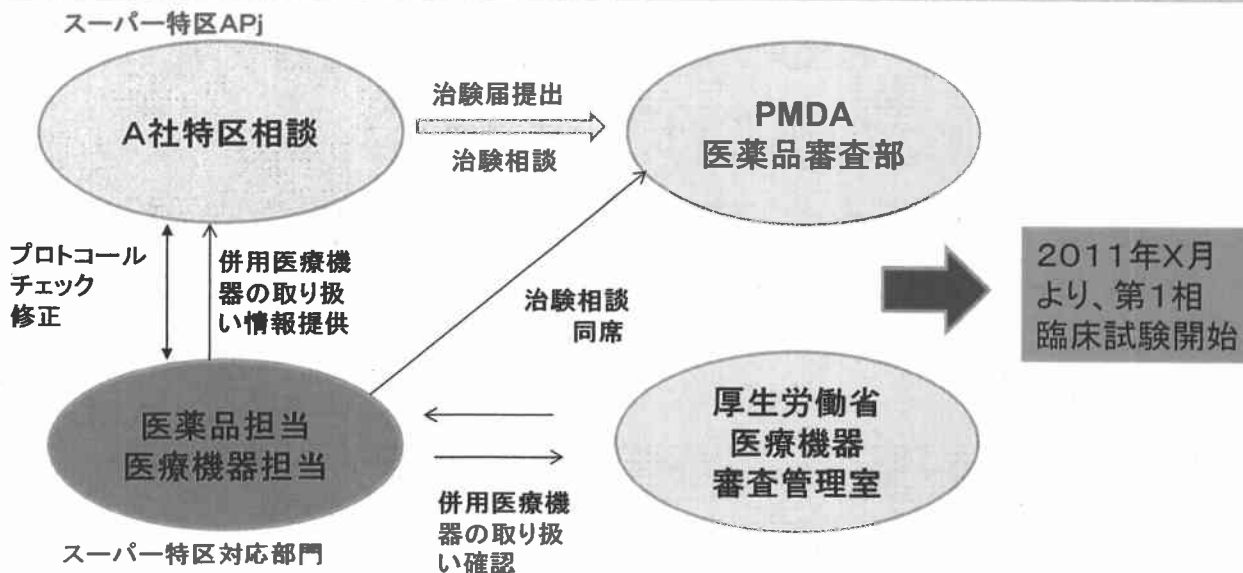
アカデミアの相談実績を機構に情報提供。薬事戦略相談の立ち上げに協力

スーパー特区対応部門関与の仕方

特区Aプロジェクト

サイトカイン注入による希少疾病の治療

「薬剤治験の進め方」「併用医療機器の取り扱い」「機構治験相談」→第1相治験中



3

課題抽出について

スーパー特区対応部門では、以下の4領域に分けて活動を実施。

1. 再生領域
2. 医療機器領域
3. 医薬品領域
4. 複合領域

本日の課題抽出は、新規医療技術領域である「再生」および「複合」について、個別内容を提示し、医療機器、医薬品とあわせて、分野共通の課題としてまとめている。

特区の性格上、アカデミア、ベンチャー企業が主な相談相手となっていることが前提である。

※「複合領域」: 医薬品と医療機器を併用して新たな治療とする領域。具体的には、癌集積性の高いボロンを事前に静脈経路で投与し、中性子をあてて、ガン細胞を殺すような治療をいっている。

4

再生医療領域における課題

【現状認識】

国内承認品は1品目(培養表皮)。承認申請中が1品目。企業治験中が2品目。基本的には患者自己細胞の加工製品が主体。また、製品構成は加工細胞製品のみである。今後は、オーダーメイドからレディーメイド、さらには低価格化のため、可能なものは他家細胞の応用へと移行することも考えられる。

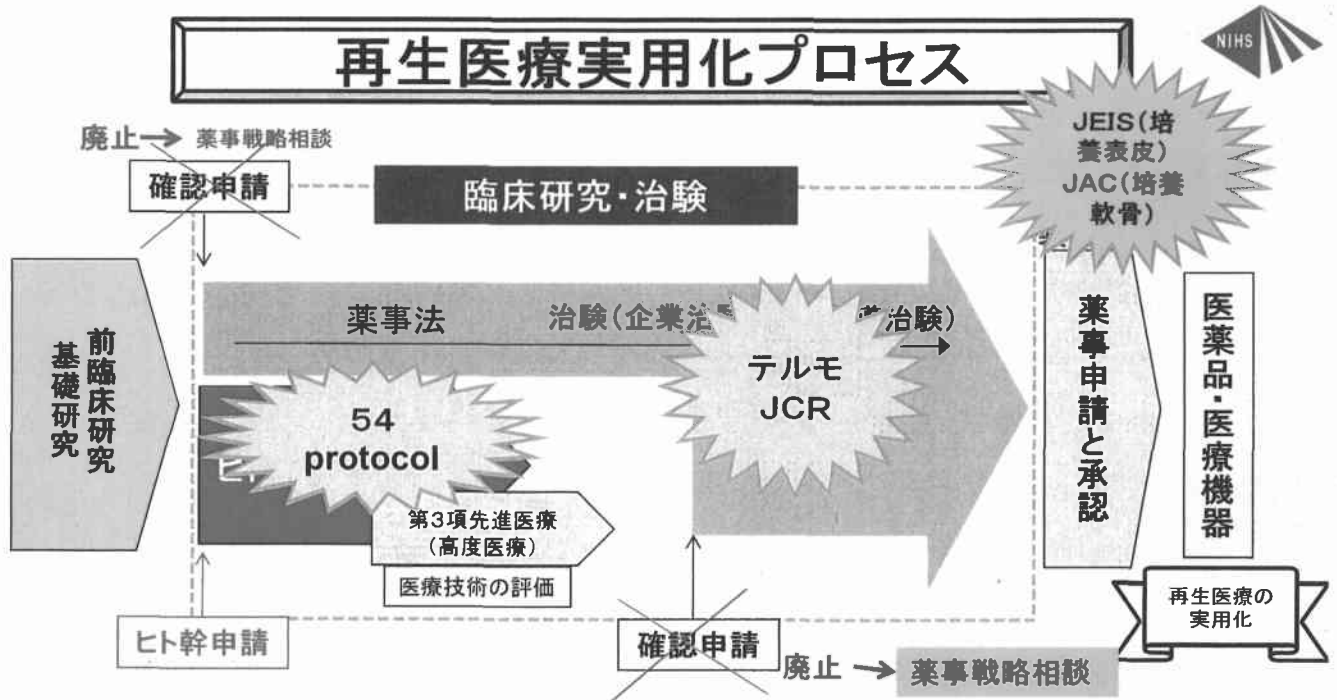
ヒト幹臨床研究プロトコールは54件。そこから企業治験への移行は1テーマのみ。

iPS細胞の臨床応用は、2013年～2014年開始を予想。加齢黄斑変性症以後、難病治療への応用が中心と思われる。

【課題と対応策】

- (1) 臨床研究から企業治験へのよどみのない移行が行われていない。(企業治験は探索治験からの開始となっている) : 参考資料1参照
企業の参入促進方法として、例えば難病治療を製品化する企業へのインセンティブ付与等。
- (2) 欧米では製品化されている他家細胞製品作製のために、製品化可能な他家細胞ソースの確保と制度の整備を。(例えば、臍帯血由来細胞をiPS細胞作製に用いることを可能としたように、病院で維持してる組織等の企業利用を可能に)
- (3) 例えば、ある特殊な細胞分離用機器を用いて、オーダーメイドで製造される細胞組織加工医薬品の承認にあたっては、その細胞分離機器の取扱を明確にすべきであろう(たとえば先進医療制度のデータ活用等)。— 参考資料3参照
- (4) 新しい技術領域であり、リスク評価としてどの程度の項目を行うべきか。また既存の化合物とは異なる細胞が主たる成分となることを考慮した非臨床試験項目、治験プロトコールについて、学会協力で事例作成を進めるべき。(ガイドライン等の整備)

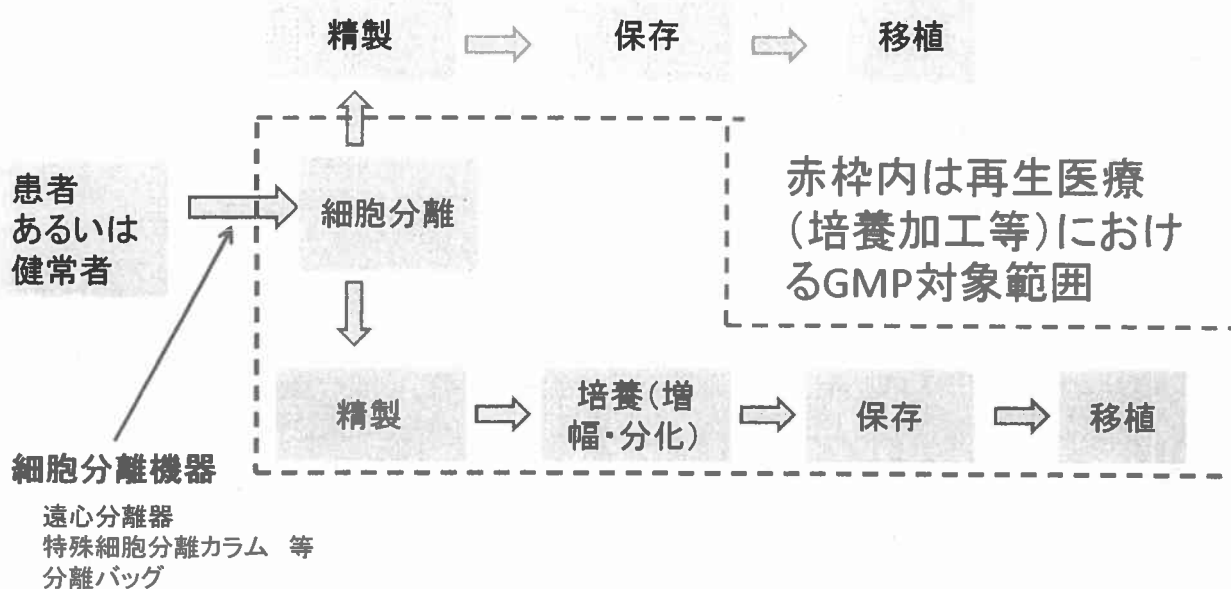
5



課題: ヒト幹臨床研究は54プロトコールが提案されているが、企業治験へ移行した臨床研究は1件(骨格筋芽細胞シートによる重度心不全治療: 阪大→テルモ)のみ。探索治験からのスタート。それ以外には、セルシードは欧州で治験終了し、承認申請中。

解決: ヒト幹臨床研究のデータの活用により、せめてpivotal試験からの開始に。

再生医療で使用される医療機器等(細胞分離に関わる内容抽出)について



通常、再生医療として行われる「細胞加工プロセス」は、患者等の組織を入手し、加工委託された企業内において「細胞加工」を実施し、「加工された細胞」を患者に戻す。この一連のプロセスが、「再生医療製品」として、承認の対象となる。

参考資料2 7

複合領域における課題

具体的な複合療法の組合せは以下の4通りである。

- ①既承認医薬品(申請不要医薬品)と新しい機器 : tPAと超音波 など
- ②新しい効能・効果(新効能医薬品)と新しい機器(新医療機器) : ボロンと中性子装置
- ③新しい効能・効果(新効能医薬品)と新使用方法追加機器 : HGFと持続注入ポンプ等
- ④新しい物質(新有効成分医薬品)と新しい機器

【複合領域の課題と対策】

- (1) 医薬品単独、複合療法時の毒性試験等の非臨床試験要件の理解不足
→安全性に対する理解不足に起因: 薬事戦略相談等の活用により早期確認が必要
- (2) 医薬品企業と医療機器企業の連携不足
既存の医薬品を利用する新規医療機器の場合、併用薬剤の効能を高める効果を期待する場合と、予期せず高まる場合の双方が考えられる。両企業の事前の考え方や交換が重要である。(医療機器メーカー単独ですすめる事例があった)
- (3) 診断をする医療機関及び治療を行う医療機関が別の場合があったが、このような前例のないケースでは、当局との事前確認が重要。

新規医療技術領域まとめ



- 事例の少ない新規医療領域においては、企業も進め方を把握しておらず、審査側もどのような項目が審査上必要か、なかなか結論は得られない。このような領域においては、開発初期から開発側(アカデミア、企業)と審査側の意見交換の場を設け、双方業務を進めながら理解を深め、合意点を探ることが効率的ではないか。薬事戦略相談などの活用を期待する。
- 上記意見交換の場においては、開発側は合理的な考え方として説明できるデータパッケージを提案し、審査側は提案に対してのコメントにとどまらず、審査の視点からの追加提案を行うことが必要。
- 新規領域においては、不確定な要因が必ず含まれるが、すべて解決して進んでいくことは無理。その時代背景で許容できる落としどころの議論が必要。
- 科研費等による研究成果については、例えば安全性に関する情報など、以後共有化することにより開発が進む事項に関しては、可能な範囲で公開できないものか？また、データベースのない日本では、先行的な臨床研究のデータ開示及び登録があると、企業の判断さらには、承認申請にあたっての論述への引用等が行えるのではないか。

9

分野間共通の課題



- 研究テーマが実用化(製品化)を意図しているのか、研究のためのテーマであるのか不明確なテーマもある。実用化を標榜しているテーマであっても、企業へ移行できるテーマであるのか含めて、途中でのレビューは必要と考える。
- アカデミア・ベンチャー企業による製品化検討にあたっては、チーム内に治験、申請等への対応のとれる人材及びテーマのステージアップ判断のできる人材がそろっていない。実用化テーマであれば、あるステージで企業へのバトンタッチが行われないと製品化にはつながらない。アカデミア中心ではゴールのない研究に陥る可能性あり。
- アカデミア・ベンチャー企業においては、今までの経験不足から、薬事規制等、あるいは開発の各段階を把握し、それぞれの段階において実行すべき内容の理解が十分とは言えない事例が多く認められた。市販されている薬事法の解説書をみても、それで開発が進められる内容にはなっていない。現在、「開発ガイド」となるような、新規参入者の医療機器開発に使用されるような資料作成を検討中である。
- 特に新規性が高く、一方では事業性が判断できないリスクの高い製品への企業のチャレンジが少なくなっているのではないか。例えば再生医療についていえば、企業による製品化が2テーマ、治験段階が2テーマである。今後想定されるiPS細胞を用いた治療の対象として難病が考えられるが、ますます企業による製品化は難しいのではないか。このような領域における製品化以外の医療を提供できる出口の整備を望む。

10

アクションプランの政策課題とシステム改革

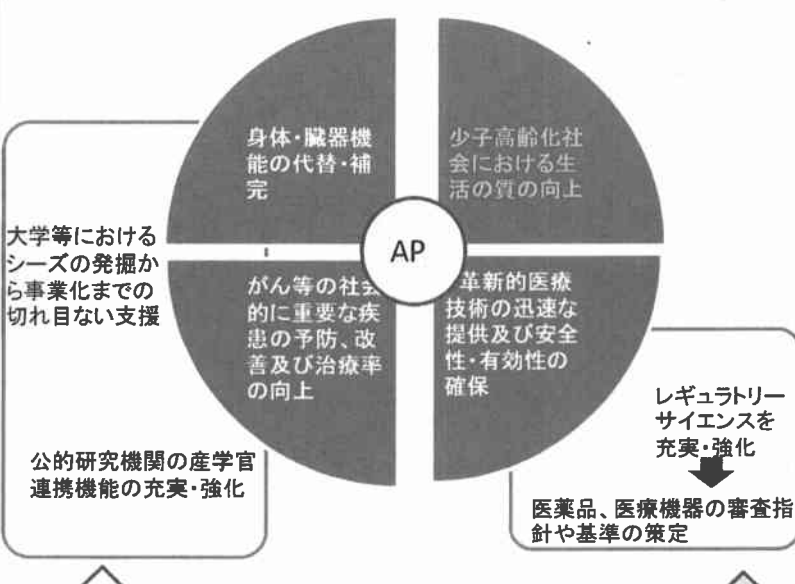
拠点

オープンイノベーション拠点の形成
先端融合領域イノベーション創出拠点の形成
共創の場の形成

- 特区等**
- ① 事業化支援の強化に向けた環境整備
 - ② イノベーションの促進に向けた規制・制度の活用(特区)
 - ③ 地域イノベーションシステムの構築
 - ④ 知的財産戦略及び国際標準化戦略の推進

知財

大学等と産業界との円滑な連携を行うための機能強化
産学官連携機能の最適化
国内外特許取得の支援
知的財産保護等に関する連携ルールの整備、専門人材の育成、確保
柔軟な産学官連携体制の整備



バイオベンチャーの支援
産学官ネットワークの構築

大学等におけるシーズの発掘から事業化までの切れ目ない支援
公的研究機関の産学官連携機能の充実・強化

レギュラトリーサイエンスを充実・強化
医薬品、医療機器の審査指針や基準の策定

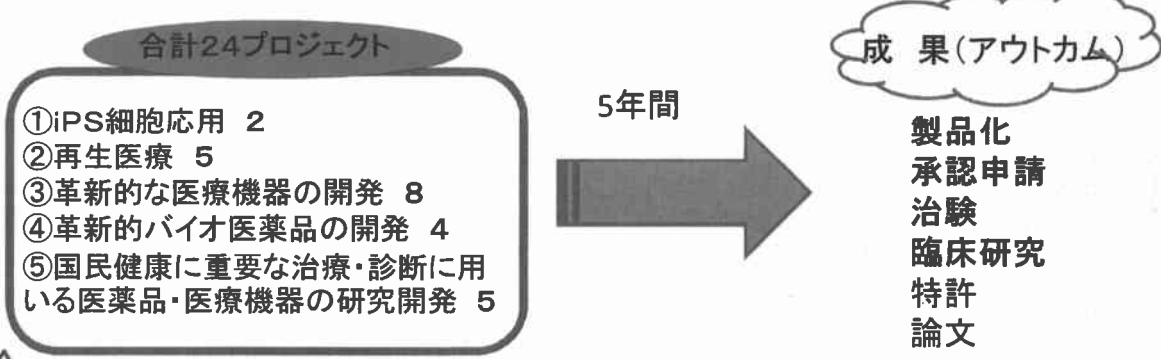
審査体制を大幅整備
人材の養成及び確保

官民を挙げた創業・医療技術支援基盤の整備
国際標準に基づく臨床研究の実施

研究機関の早期の段階から規制当局による相談や助言を受けられる体制の整備

先端医療開発特区(スーパー特区)について

○研究資金の統合的かつ効率的な運用や、開発段階から規制を担当する機関等と意見交換や相談等を試行的に行うことで、最先端の再生医療、医薬品・医療機器の開発・実用化を促進
○行政区単位の特区でなく、テーマ重視の特区(複数拠点の研究者をネットワークで結んだ複合体が行う研究プロジェクト)



波及効果
(インパクト)

- 多施設共同開発研究の加速
- 革新的医療技術の段階的普及フレームワークの確立
- 省庁間を越えた研究費の効率的運用
- 薬事戦略相談の創設
- 革新的技術開発を促す構造改革に向けた取り組みについての提案

先端医療開発特区（スーパー特区）

○趣旨

革新的技術の開発を阻害している要因を克服するため、

- ・研究資金の統合的かつ効率的な運用
- ・開発段階から規制を担当する機関等と意見交換や相談等、を試行的に行い、最先端の再生医療、医薬品・医療機器の開発・実用化を促進
- ・内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省で連携して推進

○特徴

従来の行政区域単位の特区でなく、テーマ重視の特区（複数拠点の研究者をネットワークで結んだ複合体が行う研究プロジェクト）

○「スーパー特区」で実施可能な事項

- ・研究資金の統合的かつ効率的な運用
- ・開発段階からの業事相談等
- ・革新的技術開発を促す構造改革に向けた取組についての提案

○実施する研究プロジェクト

応募された143件の研究プロジェクトの中から24件を採択（平成20年11月18日）

【採択課題の例】・iPS細胞を用い、再生医療を推進させる研究や、医薬品の副作用を事前に評価する研究

- ・個々人の骨格の形状に適合し、耐用年数の長い人工関節を受注生産する技術開発
- ・がんの治療や再発予防に用いる「がんワクチン」の製品化を目指した研究開発
- ・注射器を使わずに、簡便に「噴霧」、「貼る」、「飲む」ことによるワクチンの研究開発
- ・開腹せず、内視鏡を用いて低侵襲かつ安全に手術を行うことのできる装置の研究開発

○推進の取り組み（4府省連携）

【平成21年度】

採択された24課題を対象に、平成21年度新たに公募、または増額のため約56億円の研究資金を確保（平成21年度当初予算）

・文部科学省 10億円程度、厚生労働省 33億円程度、経済産業省 13億円程度

先端医療開発特区設備整備事業として設備・機器等の整備のための経費を計上：関係4府省が共同して執行（平成21年度補正予算）

・約115億円

【平成22年度】

科学技術振興調整費を用いて、採択された24課題を対象にした公募研究と業事相談に関する調査研究を実施

*平成23～24年度は科学技術戦略推進費5億円で継続

【平成24年度】

先端医療開発特区（スーパー特区）の中間評価を実施

3

スーパー特区採択課題の一覧

整理番号	分野番号 (※1)	代表者／機関名	研究体制(※2)	課題名
(1)	1	山中 伸弥／京都大学	大阪大学・慶応大学・東京大学医科学研究所 東京大学・理化学研究所	iPS細胞医療応用加速化プロジェクト
(2)	1	水口 裕之／独立行政法人医薬基盤研究所	国立医薬品食品衛生研究所・国立成育医療センター・国立がんセンター	ヒトiPS細胞を用いた新規in vitro毒性評価系の構築
(3)	2	岡野 栄之／慶應義塾大学	東北大学・大阪大学・京都大学・千葉大学	中枢神経の再生医療のための先端医療開発プロジェクト（脊髄損傷を中心に）
(4)	2	岡野 光夫／東京女子医科大学	国立成育医療センター・長崎大学・大阪大学・東北大学	細胞シートによる再生医療実現プロジェクト
(5)	2	高戸 毅／東京大学	東京大学・東京大学医科学研究所・大阪大学・京都大学・東京医科歯科大学	先進的外科系インプラントとしての3次元複合再生組織製品の早期普及を目指す開発プロジェクト
(6)	2	中島 美砂子／国立長寿医療センター	愛知学院大学・長崎大学・(株)スカラテック機械工学・東京医科歯科大学	歯髄幹細胞を用いた象牙質・歯髄再生による新しい蝕・歯髄炎治療法の実用化
(7)	2	西川 伸一／先端医療振興財団	(財)医療振興財団・京都府立医科大学・神戸大学・神奈川歯科大学・京大大学	ICRの推進による再生医療の実現
(8)	3	蔵本孝一／ナカシマプロペラ株式会社	大阪大学・岡山大学・九州大学・名古屋大学・京都大学	生体融合を可能とする人工関節の患者別受注生産モデルの構築
(9)	3	里見 進／東北大学	奈良県立医科大学・先端医療振興財団・京都大学・北海道大学・山形大学	社会ニーズに応えるオンリーワン・ナンバーワン医療機器創出プロジェクト
(10)	3	白土博樹／北海道大学	癌研究会研究所・兵庫県立粒子線医療センター・東北大学・放射線医学総合研究所・東京大学	【先端放射線治療技術「バンケーシング」】によるミニマムリスク放射線治療機器開発イノベーション
(11)	3	砂川賢二／九州大学	国立循環器病センター・高知大学・東京大学・東北大学・金沢大学	日本発の革新的な技術に基づいた情報型先進医療システム開発（革新的な医療機器の開発）
(12)	3	永井良三／東京大学	九州大学・東京女子医科大学・慶應義塾大学・早稲田大学・物質材料研究機構	医工連携による先進医療開発実用化プロジェクト
(13)	3	橋本信夫／国立循環器病センター	大阪大学・東京大学・東京女子医科大学・京都大学・三重大学	先端的循環器系治療機器の開発と臨床応用、製品化に関する横断的・統合的研究
(14)	3	平岡真寛／京都大学	京都大学・東京大学・東京農工大学・大阪大学・(株)キヤノン	イメージング技術が拓く革新的医療機器創出プロジェクト～超早期診断から最先端治療まで～
(15)	4	岸本 忠三／大阪大学	鹿児島大学・(株)中外製薬・(独)医薬基盤研究所・京都大学	免疫先端医薬品開発プロジェクト～先端的抗体医薬品・アジュバントの革新的技術の開発
(16)	4	中村 祐輔／東京大学	久留米大学・札幌医科大学・国立がんセンター・東京大学	迅速な創薬化を目指したがんペプチドワクチン療法の開発
(17)	4	珠玖 洋／三重大学	産業医科大学・岡山大学・東京大学医科学研究所・北海道大学・慶応大学	複合がんワクチンの戦略的開発研究
(18)	4	山西 弘一／独立行政法人医薬基盤研究所	国立感染症研究所・東京大学医科学研究所・(独)農業・食品産業技術総合研究機構・大阪大学・北海道大学	次世代・感染症ワクチン・イノベーションプロジェクト
(19)	5	江角 浩安／国立がんセンター東病院	(財)癌研究会・(独)理化学研究所・慶應義塾大学	がん医薬品・医療機器 早期臨床開発プロジェクト
(20)	5	田中 統一／先端医療振興財団	神戸大学・京都大学・岩手医科大学・大阪大学・東北大学	消化器内視鏡先端医療開発プロジェクト
(21)	3	間寛田泰寛／浜松医科大学	浜松トニクス中央研究所・東西部医療センター・関西医科大学・愛知工業大学・(株)アズリオ	メディカルフォトニクスを基盤とするシーズの実用化開発
(22)	5	中尾 一和／京都大学	国立循環器病センター	難治性疾患を標的とした細胞間シグナル伝達制御による創薬
(23)	5	樋口輝彦／国立精神・神経センター	北海道大学・大阪大学・東京工業大学・熊本大学・東京女子医科大学	精神・神経分野における難病の克服に向けた医薬品・医療機器の開発
(24)	5	古幡博／東京慈恵会医科大学	国立循環器病センター・帝京大学・(財)神奈川科学技術アカデミー	急性脳梗塞早期系統的治療のための分野横断的診断治療統合化低侵襲システムの開発

※1. 分野番号 1:iPS細胞応用 2:再生医療 3:革新的な医療機器の開発 4:革新的バイオ医薬品の開発 5:国民保健に重要な治療、診断に用いる医薬品・医療機器の研究開発
 ※2 申請書に記載された分担研究者の所属する主な機関を5カ所例示