

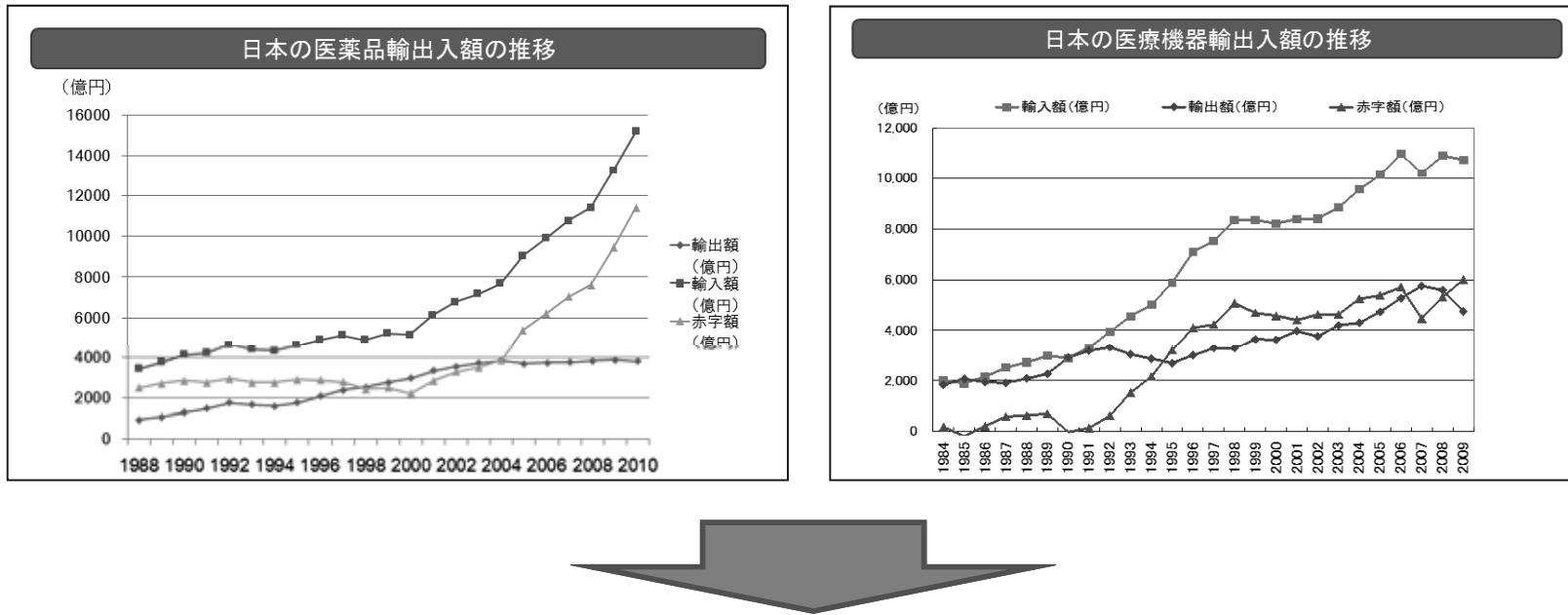
第4回 厚生科学審議会 医薬品等制度改正検討部会

医療イノベーションの観点からの 薬事法関連規制に対する提言

大阪大学大学院 医学系研究科 教授
内閣官房 医療イノベーション推進室 次長
澤 芳樹

医療イノベーションのために

2010年度 - 医薬品・医療機器は1兆7000億円強の輸入超過



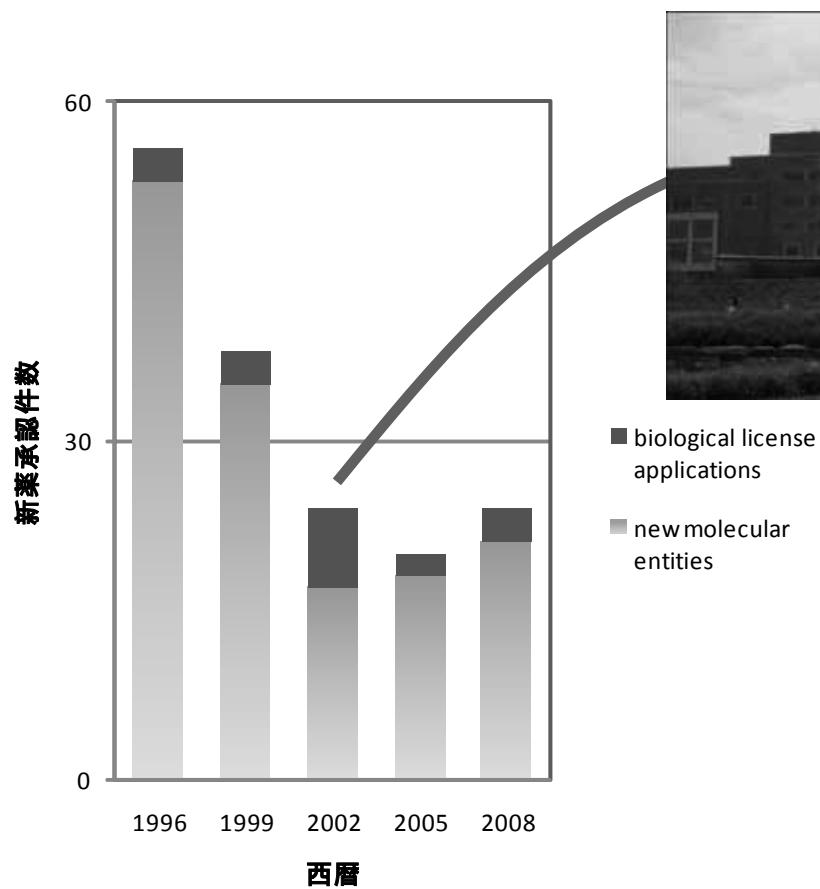
医療イノベーション推進室の方向性

新しい医療として発展しつつある個別化医療、再生医療等を推進するための環境整備を実施し、医療システムを抜本的に変革
 日本発の革新的な新薬・医療機器や再生医療等の技術を産み出す環境を整備し、日本の成長産業を創出
 医療の質を上げつつ医療費の増大を抑える、費用対効果の高い医療を実現

医療イノベーションのために <戦略の重要性>

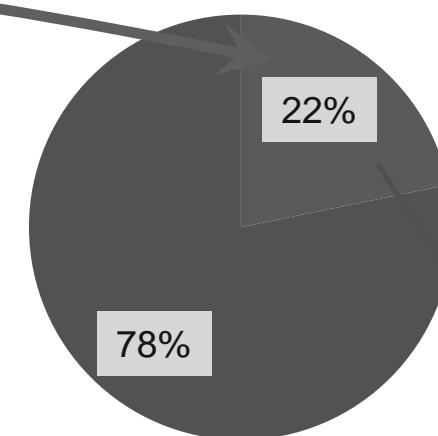
海外の事例： NIHの戦略 1

民間セクターとのシナジーを活用するために、
技術移転システムを整備し民間の新薬開発と連携する戦略



FDAから市販承認を受けた薬剤(2002年)

■新薬 ■その他



2/3以上は、製薬会社独立でなく研究機関(NIH/大学など)からライセンス供与された薬

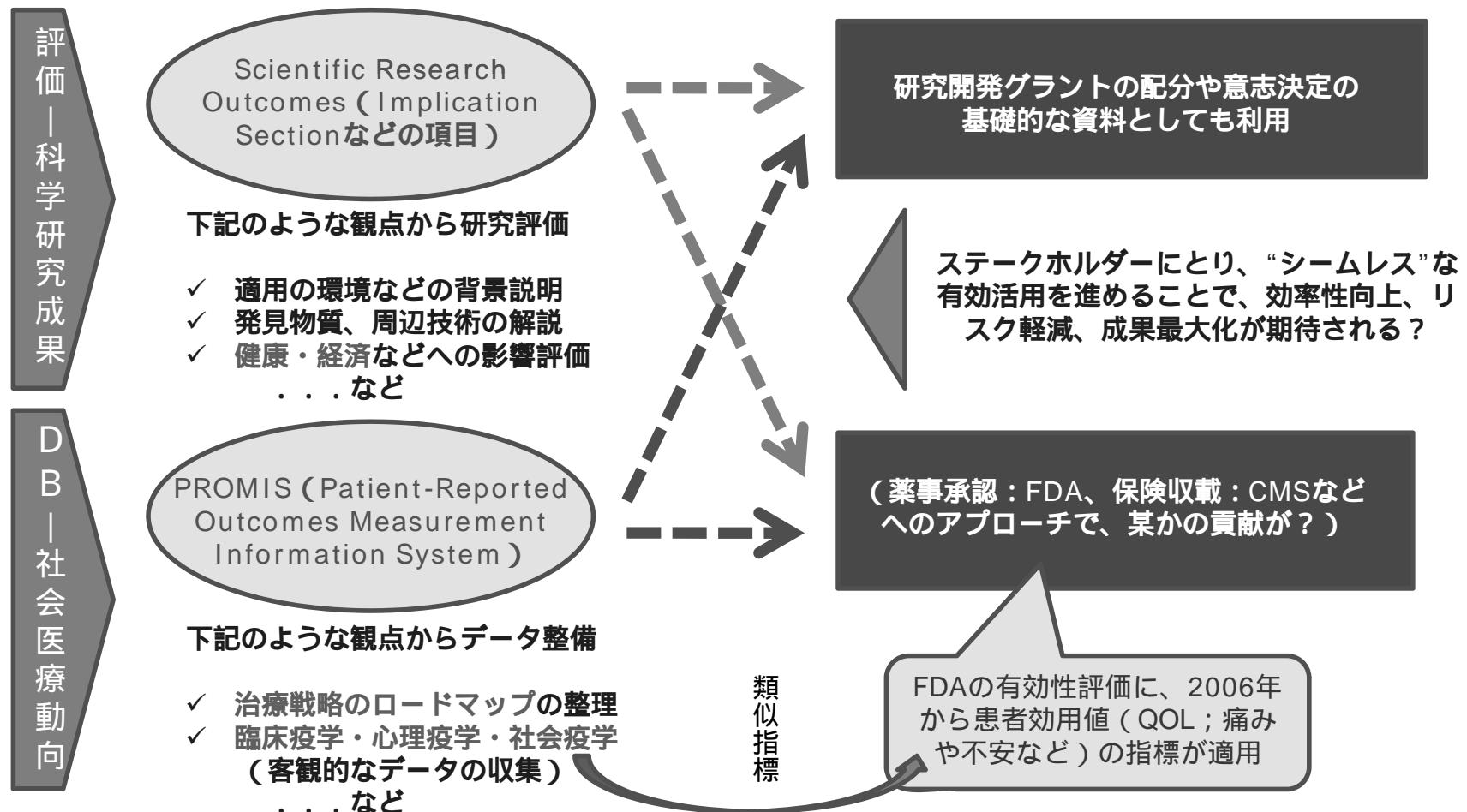
NIHはライセンス供与のガイドラインと専門組織(OTT)を整備

(出典)CDER drug and biologic approval reportsなどより

医療イノベーションのために <戦略の重要性>

海外の事例： NIHの戦略 2

評価やDBの機能を構築しており、創薬の出口や入口での共用が期待される



医療イノベーションのために <戦略の重要性>

海外の事例： NIHの戦略 3

NIH は、Roadmapで3本の柱を明確にしている

New pathways to discovery (新たな発見の方針)

特定領域、経路、ネットワークの構築
構造生物学

分子ライ'ラリー・イメージング
バイオインフォマティックス

ナノ医薬品

Research team of the future (将来の研究体制)

ハイリスク研究の促進
産学連携の強化

融合分野研究の推進

Re-engineering the clinical research enterprise (臨床研究体制の再構築)

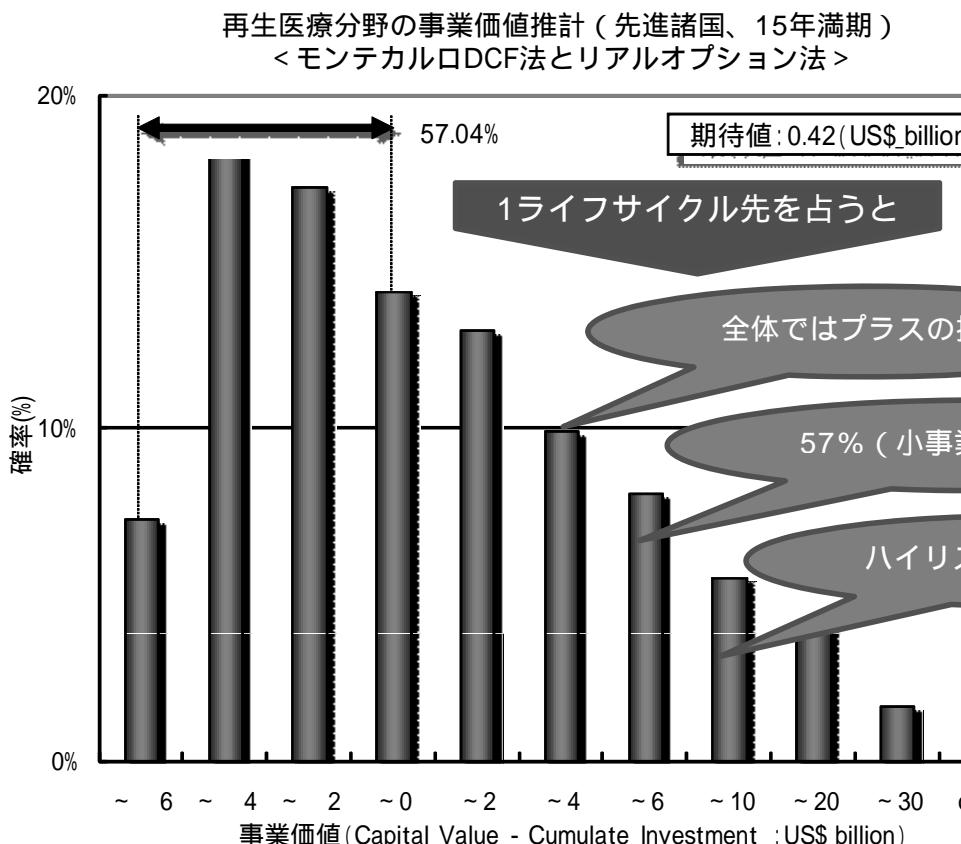
臨床研究のための条件調整
臨床研究ネットワークの融合
臨床研究情報学：臨床治験・研究ネットワーク
臨床結果に対する指標の改善のための技術開発

トランスレーショナルリサーチの促進
臨床研究者研修の向上
地域におけるトランスレーショナルリサーチセンター整備

医療イノベーションのために <目利きの重要性>

社会や産業の視点による戦略的目利き能力

サイエンスによる事業の舵取り(羅針盤)が、リスク最小化、成果最大化に繋がる



- 「ハイリスク-ハイリターン事業の管理」
- 専門的な人材
 - ツール（理論）
 - データ（根拠）
 - 決定の機能
 - 責任の明確化
 - 機能統合の環境

サイエンスに基づく舵取りを適宜行うことで、事業リスクの軽減、事業価値の最大化が期待できる

バリュードライバーは、経済基調（株価・金利の変動）、疾病動向（人口動態・罹患率の変動）、機能要件（費用対効果の期待要素）、市場価格（公的保険の医療費・収載単価の影響）とし、これらについて多变量のモデルで解析。

(出典)再生医療の医療経済学. BIO INDUSTRY. Vol.26 No.7, pp.6-14. 2009

医療イノベーションのために

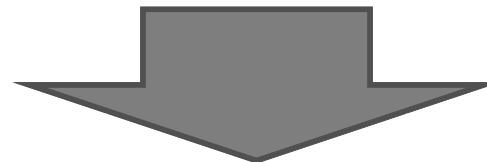
医療イノベーションとして

革新的な新薬をいち早く患者の方々に届けるために

世界標準の未承認薬・適応外薬を、必要とする患者の方々が利用できるように

革新的な医療機器をいち早く医療現場に届けるために

再生医療製品の実用化促進のために



規制改革が必要な場合は手を打つべき

医療イノベーションのために <戦略的な臨床研究推進の必要性>

早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院とPMDA・厚生労働省との連携



- 日本発の基礎研究の成果を、世界に先駆けてヒトに投与/使用する臨床試験体制(人材及び設備)整備が必要
- 適切な臨床試験計画にもとづく試験の実施を経て、革新的な医薬品/医療機器の創生を効率的に繋ぐことが必要
- 薬事戦略相談の充実と、このための体制強化が必要

医療イノベーションのために <治験との連続性の確保>

高度医療評価制度のもとでICH-GCP水準に適合して実施された
ファーストイインマン試験、POC試験については、承認申請資料として活用



- 医師主導で行われるファーストイインマン試験/POC試験については、必ずしも治験によらず、実施されることもある
- その後の臨床開発を企業が行う場合、医師主導の臨床試験データの信頼性が確保できるならば、企業がファーストイインマン試験やPOC試験を治験として再度やりなおすのは非効率
- 臨床試験に用いる薬物が治験薬GMP対応で製造されているなど一定の要件を満たし、高度医療評価制度のもとICH-GCP水準に適合して実施されるファーストイインマン試験やPOC試験については承認申請資料として活用すべき

医療イノベーションのために <革新性を見据えた審査制度>

革新的な医薬品・医療機器について、
特別審査ルート(優先審査に相当するもの)を設置



- 革新的な医薬品・医療機器が創出されるためのインセンティブ付与が必要
- 医薬品/医療機器のうち、世界と同時又は世界に先んじて承認申請されたものであって、極めて高い有効性が期待されるもの、これまで治療法のなかった重篤疾患領域に対するもの、などといった革新的なものについては優先審査項目すべき
- 医療上特に必要性が高いが、企業による開発が進みにくい医薬品/医療機器について、これを開発した企業には、優先審査権を付与することも検討すべき
- 上記の優先審査は、有効性/安全性の審査をおろそかにするものでは無く、十分な審査を短期間で行うために審査員の増員等の措置を併せて検討しなければならない

医療イノベーションのために <PMDAの公開性の向上>

申請から一定期間(例えば1年)経過した段階でPMDAは審査報告書をとりまとめ、薬食審で審議。PMDAにおける面接審査会は廃止して、薬食審で審議



- 承認申請資料が不十分であるにも関わらず、申請者が承認を取り下げるまで PMDAが審査を継続するのは非効率
- 申請から長期間にわたって審査が継続されている状況については、不適切と考えることから、一定期間を区切って薬食審で審議し、承認または不承認の結論を出すようにすべき
- PMDAと申請者が十分意見交換を尽くすことは重要であることは間違いないが、面接審査会に相当するものは本来、審議会で行われるべきものではないか

医療イノベーションのために <条件付きの承認や使用>

リスク管理の必要性に応じて、一定期間、使用可能な医療機関を制限するなどの「条件付き承認」制度

一定条件を満たす未承認の医薬品/医療機器について、人道的観点からの例外的使用を可能とする仕組みの導入。

未承認の医薬品／医療機器の使用については、原則として臨床試験下で行うべきものであり、例外的使用はドラッグラグの解消の手段ではなく、あくまで人道的観点での使用に際して用いるべき手段である

現在、個人輸入で対応せざるを得ないもののうち、医療上の必要の高いものはこの仕組みに原則移行。その他の個人輸入については、データベースによる実態把握に基づき、対応の必要性について検討

- 医療上の必要性が高く、極めて少数の患者しかいない疾患のため、企業による開発が進みにくい未承認薬/適応外薬について、適切な医療機関において、人道的な観点からの例外的使用を可能とする
 - Case1: 海外で既承認で市販されているが、日本での治験が実施されておらず(あるいは治験中で)、未承認の状態であり、ウルトラオーファンのような、永遠に国内市販企業が市場導入しにくいようなものの場合
 - Case2: 同未承認の状態であり、治験の適格基準がはずれるが、どうしても試したいという患者の切なる希望がある場合 (compassionate use; single patient IND)
- 医療上の必要が高い未承認薬/適応外薬のうち、致死的疾患であり、他の療法に比べて明らかに優れていると判断できるものについて、治験が終了した後から承認までの間、治験を実施した施設など適切な医療機関において、人道的観点からの例外的使用を可能とすること。現行の、安全確認試験、追加的治験が機能していない現実を踏まえ、使いやすい制度とすることが肝要
 - Case3: 海外・日本ともに未承認の場合 (Expanded access program)

医療イノベーションのために <体外診断薬承認のプロセス改革>

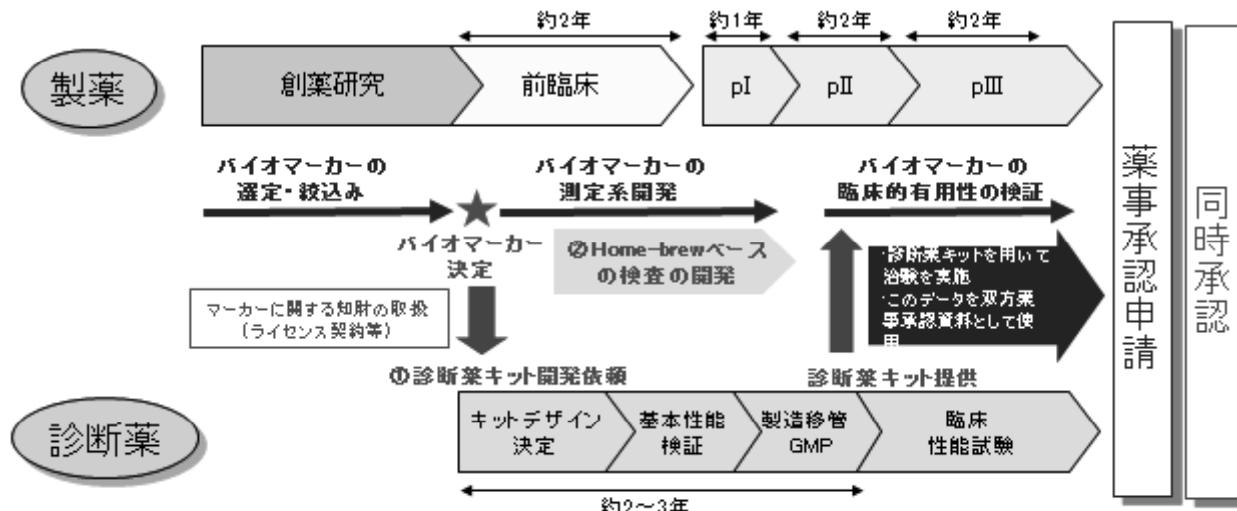
治療薬の効果あるいは副作用のリスクを予測するために開発された、
コンパニオン体外診断薬 (companion diagnostics) の実用化に向けては、
薬事承認プロセスの改革が必要

- Case 1: 新しい治療薬の創薬・開発段階から
並行して開発される体外診断薬の場合
 - 体外診断薬キット(製品プロトタイプ)を用いて治療薬の第Ⅰ相試験を実施
 - 体外診断薬開発の選択肢として、体外診断薬企業にキット開発を依頼、Home-brew検査*をもとに独自開発
 - 体外診断薬企業と共同開発する場合は、早期の情報開示が必須
- Case 2: 既に開発あるいは上市されている治療薬に対し、
後付で有用性が科学的に証明され開発される体外診断薬の場合
 - 体外診断薬が提供可能となるまでの期間の代用検査が必須
 - 代用検査の性能を担保する第三者機関が必要
 - 体外診断薬提供後は、代用検査は撤退

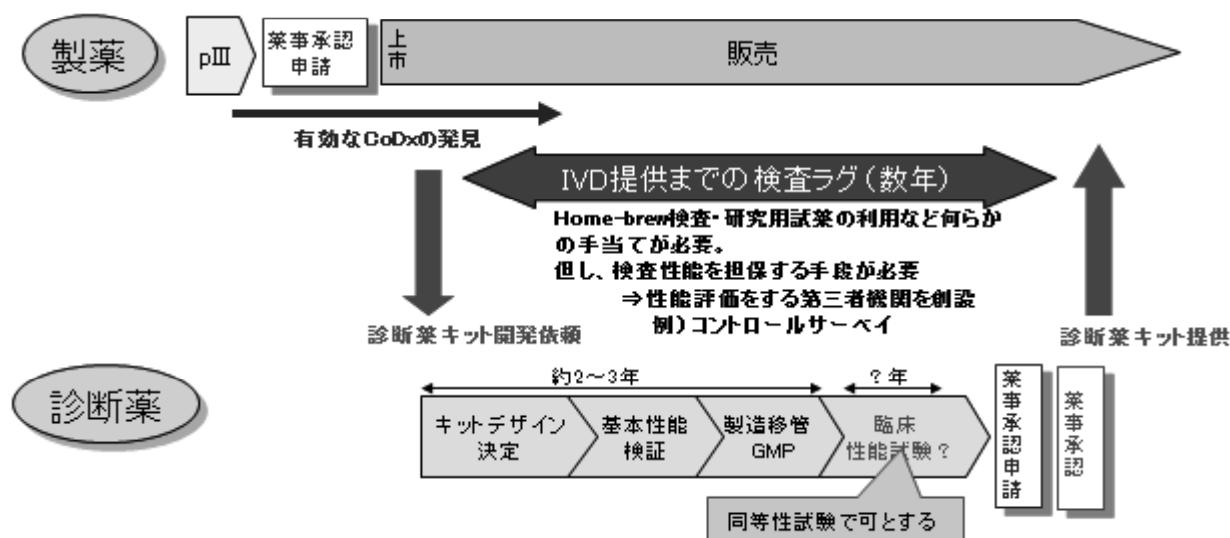
* Home-brew検査: 医療機関の検査室や登録衛生検査所が自身で構築した手法で行う検査

医療イノベーションのために <体外診断薬承認のプロセス改革:参考>

- Case 1: 新しい治療薬の創薬・開発段階から並行して開発される体外診断薬の場合



- Case 2: 既に開発あるいは上市されている治療薬に対し、後付で有用性が科学的に証明され開発される体外診断薬の場合



医療イノベーションのために <レギュラトリーサイエンスの推進>

レギュラトリーサイエンス推進のための体制強化(PMDA、国の規制研究機関)、
レギュラトリーサイエンス研究予算の拡充



- 革新的な医薬品/医療機器/再生医療製品の開発に向けた体制強化をはかるべき
- 具体的には、
 - PMDAの正規職員による審査/相談体制強化(薬事戦略相談、革新的新薬の特別審査ルート、再生医療製品、ワクチン等の生物系審査、相談体系拡充等)
 - PMDAを支えるレギュラトリーサイエンス推進体制の強化として、先端的医薬品医療機器評価技術開発センター(仮称)の創設(がんワクチン、核酸医薬品、再生医療製品等の評価方法の開発/標準化等)

実験科学系(ウエット系)の連携の観点から国衛研の現地建て替えに併せて設置

医療イノベーションのために <革新的医療機器の創生>

医療機器については、その特性や実態を踏まえた規制の運用

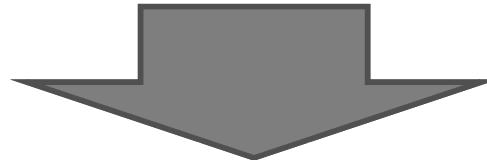


- 医薬品での臨床試験実績がある施設が、そのまま医療機器の臨床試験に適した施設であるとは限らない
- 臨床試験認定施設の創設と当該施設における円滑な臨床試験実施のための環境整備をはかるべきである。具体的には、認定施設における治験の実施については個別の治験届の提出を不要とする措置を検討すべき

医療イノベーションのために <再生医療の実現>

再生医療については、関係学会とPMDAの連携や、
再生医療製品の特性に鑑みた審査の実施

再生医療の特殊性(進歩し続けている段階の技術である、少ない患者数、医薬品とは異なる評価基準の必要性等)を加味した、先端医療技術特融の効率的な審査方法が必要



- 関係学会との連携
 - 学会の意見を代表できるような専門家をPMDAに派遣。審査員として実際の審査相談に従事する体制構築
 - 再生医療に係るガイドライン策定組織の設置
 - 審査の効率化のために、疾患ごと/分野ごとの安全性/有効性評価基準提示、PMDAへの最新知識の提供、審査に協力できる専門家のプール、培養技術者/施設の育成/認定制度に対するガイドライン作成
- 薬事戦略相談の充実とPMDAの体制強化
 - 医療上必要性の高いものは、無償または減額で相談を行う体制の整備
 - PMDAの独立法人としての国の人員削減方針とは別枠で、正規職員を増員

医療イノベーションのために <再生医療の実現>

再生医療については、関係学会とPMDAの連携や、
再生医療製品の特性に鑑みた審査の実施

再生医療の特殊性(進歩し続けている段階の技術である、少ない患者数、医薬品とは異なる評価基準の必要性等)を加味した、先端医療技術特融の効率的な審査方法が必要

- 審査を実施する枠組みの再考
 - PMDAからは報告書の提出を申請から1年等の期限付きでの対応とする。また、再生医療調査会(仮称)を設置し、審査報告書を審議。承認の可否/差し戻し判断を行う。

