

稲垣 治 参考人資料

第38回 難病対策委員会
(2015年4月21日@労働委員会会館 講堂(7階))

難治性疾患治療薬開発での 産学官連携への期待 - 開発を促進するための支援とは -

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 委員長
稲垣 治

本日のお話の内容

1. 製薬協について
2. 患者さんと新薬開発
(患者さんの望む薬を生み出すために)
3. 難病治療薬創製での「患学官産」の役割
4. 新制度への期待

日本製薬工業協会（製薬協/JPMA）とは

- 研究開発指向型の製薬企業72社（2015年1月現在）が加盟する任意団体
- 1968年に設立
- モットー：患者参加型医療の実現
- 製薬産業に共通する諸問題の解決や医薬品に対する社会的理念を深めるための活動、国際的な連携（IFPMA、PhRMA、EFPIA）など
- 政策策定と提言活動の強化、国際化への対応、広報体制の強化を通じて、製薬産業の健全な発展への取組
- 世界の患者さんの治療に貢献するためにグローバルな活動を展開

JPMA : Japan Pharmaceutical Manufacturers Association

IFPMA : International Federation of Pharmaceutical Manufacturers & Associations

PhRMA : Associations Pharmaceutical Research and Manufacturers of America

EFPIA : European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations

本日のお話の内容

1. 製薬協について
2. 患者さんと新薬開発
(患者さんの望む薬を生み出すために)
3. 難病治療薬創製での「患者官産」の役割
4. 新制度への期待

難病とは

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

厚生労働省HP (<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10900000-Kenkoukyoku/0000069818.pdf>)

医薬品開発を検討する際の条件

(シーズ)

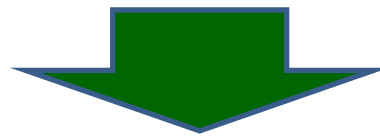
- 有効性が期待できる被験薬がある

(患者さん)

- 治験の対象となる患者さんが明確

(評価法)

- 疾病に対応した適切な評価方法がある



(成功確率)

- 臨床試験の実施可能性
- 薬事承認の取得可能性

難病治療薬を開発する上での様々な懸念



開発候補品(被験薬)の創製が難しい

● 発病の機構が明らかでなく

治療効果の評価指標が不明/治療効果の評価法が施設間で不統一

● 治療方法が確立していない

症例が集まらず、臨床試験の実施が困難/試験が長期化

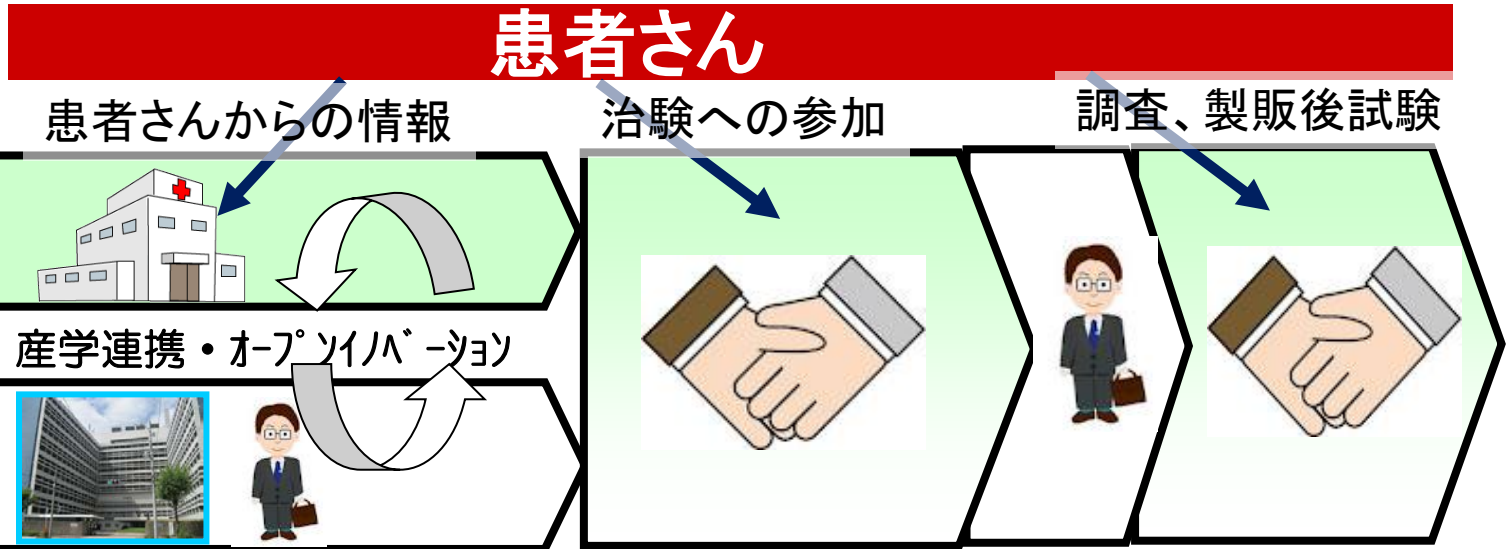
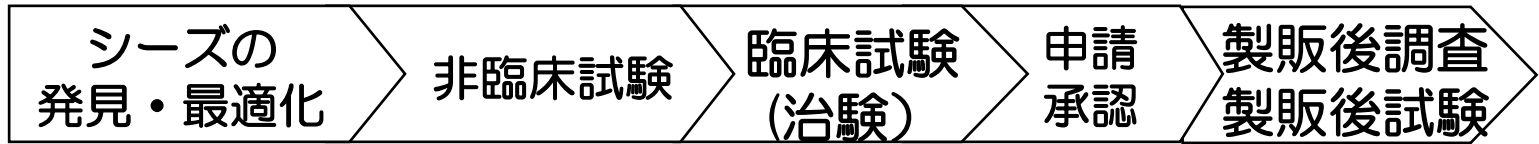
● 希少な疾病であって

● 長期の療養を必要とするもの

病気の進行、治療の発現が緩徐で、
治療効果の確認(対照群との差を出す)のに時間がかかりすぎる

開発成功の見通しの低さ ⇒ 開発をためらわせる原因の一つ

医薬品開発における患者さんの役割



- 製薬企業は医療機関を通じて、患者さんの病態情報を入手
- 医療機関の臨床試験の中で、患者さんでの有効性/安全性を確認



- 医療機関と患者さんの協力なしでは、医薬品開発はできない

本日のお話の内容

1. 製薬協について
2. 患者さんと新薬開発
(患者さんの望む薬を生み出すために)
3. 難病治療薬創製での「患学官産」の役割
4. 新制度への期待

Precision Medicine (精密医療)への道

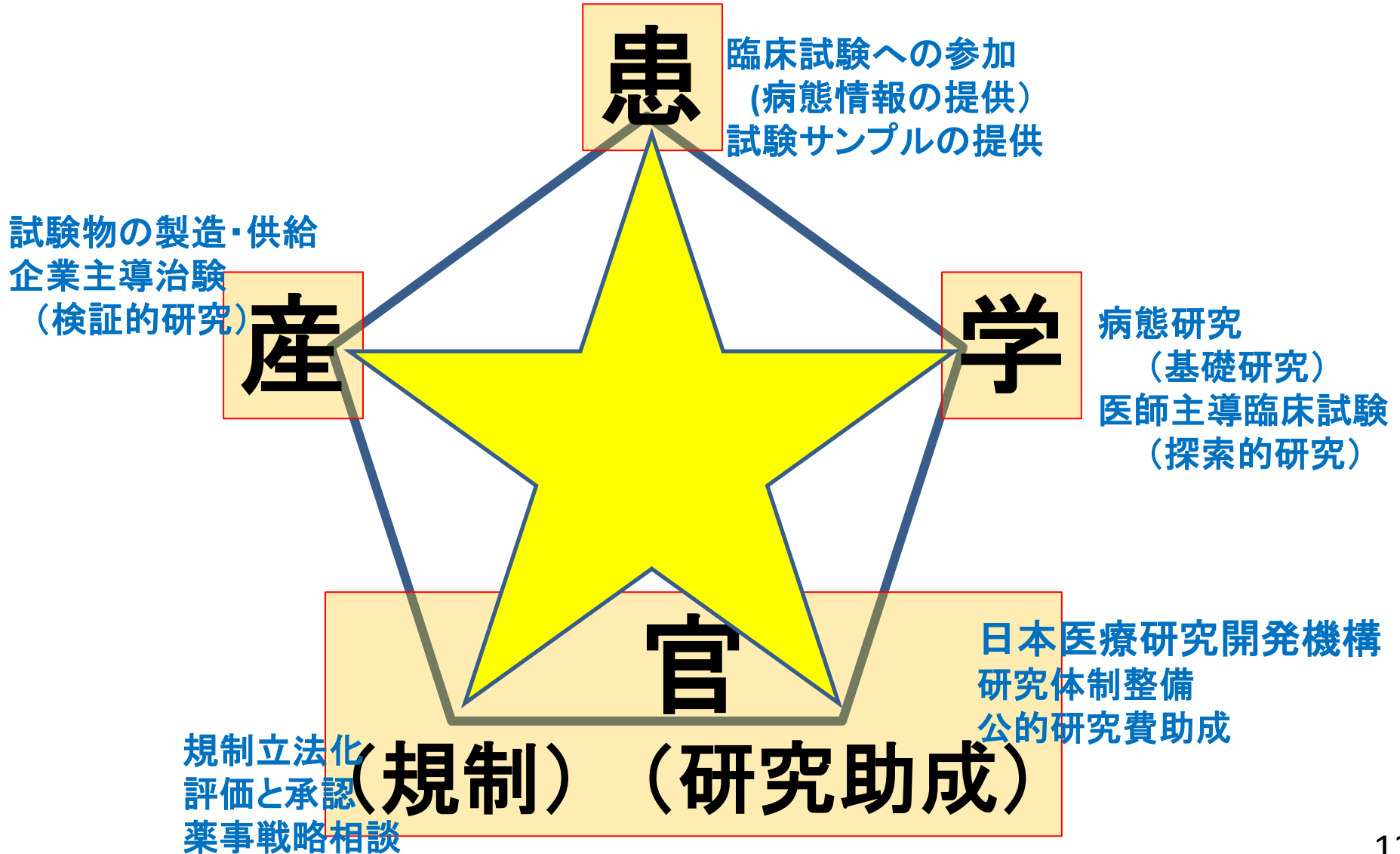
適切な患者群に	疾患の解明 = 患者の明確化 <ul style="list-style-type: none">• 疾病の解明(症候群→疾患へ)• 診断法の確立と情報共有
適切な医薬品を	疾患状況に応じた医薬品選択 <ul style="list-style-type: none">• 原因に対応した医薬品の開発• コンパニオン診断薬の開発
適切な時期・期間で	疾患Natural history 情報が重要 <ul style="list-style-type: none">• 疾病の発症/進行状況の解析• 期待すべきEffect Sizeの明確化
適切な量を投与	臨床効果の予測指標による調整 <ul style="list-style-type: none">• 薬効のバイオマーカー探索• 長期予後との相関性検証

アカデミアの強み・企業の強み

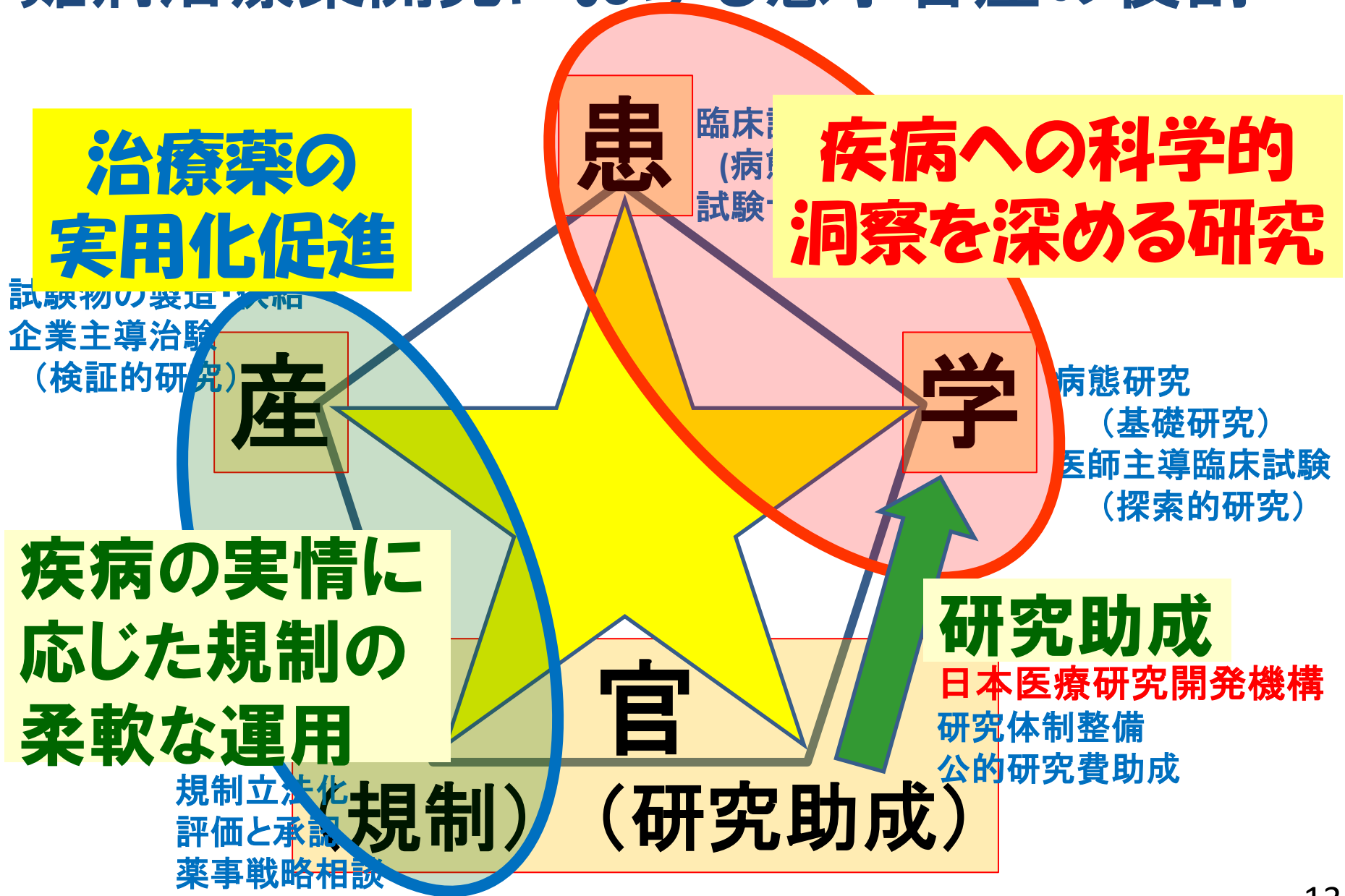
互いの強みを生かした連携が望ましい

	アカデミア	製薬企業
研究タイプ	患者(ヒト)指向	医薬品(モノ)指向
技術領域と強みの例	細胞療法 (アカデミアCPC)	低分子薬 (HTS, 大量合成)
	ドラッグ リポジショニング*: 患者組織を活用 ⇔ 豊富な化合物群	
	抗体: スクリーニング ⇔ 規格設定 → GMP	
	核酸製剤: スクリーニング ⇔ DDS/製剤化	

難病治療薬開発における患者官産の役割



難病治療薬開発における患学官産の役割



官による支援（対アカデミア・対企業）

	アカデミア	製薬企業
活動内容 研究領域	<p><u>患者レジストリー構築</u></p> <p>疾病関連因子探索</p> <p>治療薬のプロトタイプ設計/探索</p> <p><u>臨床での探索試験</u> <u>（POC試験）</u></p>	<p>開発候補薬（自社・共同研究・導入品）の評価</p> <p>規格設定→製剤化</p> <p>検証試験実施→申請</p> <p>製造販売後調査</p>
支援の形	<p>研究費支援</p> <p>臨床試験インフラ整備（データセンター等）</p> <p>薬事戦略相談</p>	<p><u>承認条件の柔軟な運用とその明確化</u></p> <p>迅速なPMDA相談</p> <p><u>製販後の負荷軽減</u></p>

太字下線部：支援を要望したい点

本日のお話の内容

1. 製薬協について
2. 患者さんと新薬開発
(患者さんの望む薬を生み出すために)
3. 難病治療薬創製での「患学官産」の役割
4. 新制度への期待

先駆け審査指定制度

(厚生労働省「先駆けパッケージ戦略」2014年6月17日発表)
(2015年4月1日「試行的実施」に関する通知発出)

世界に先駆けて、革新的医療品・医療制度・再生医療等製品を日本で早期に
実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

指定基準：(画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を
対象とした医薬品について、下の2要件を基に指定)

- 世界に先駆けて日本で開発され、申請が計画されること
- 作用機序等の非臨床試験データ及び開発初期の臨床試験データから、既存の治療法に比した大幅な改善等、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれること

指定制度の内容：

- ① 優先相談 [2か月 ⇒ 1か月]
- ② 事前評価の充実 [実質的な審査の前倒し]
- ③ 優先審査 [12か月 ⇒ 6か月]
- ④ 審査パートナー制度 [PMDA版コンパニオン]
- ⑤ 製造販売後の安全対策充実 [再審査の削減]

実用化の加速

開発での
不確実さを払拭

官による支援への期待

難病患者登録：幅広い患者さんの症状データをDB化

- － 臨床評価指標の経時変化データは
開発計画立案に有用
- － 臨床試験での対照群データとしても活用可能

承認取得後の負担への配慮

- － 製造販売後調査の負担軽減
- － 超希少疾患の治療薬では、「薬剤備蓄⇒廃棄」が
頻発する点への経済面での配慮

ご清聴感謝いたします



難病の新薬を患者さんの元に