

背景

- 新しい医薬品、医療機器等の開発に当たっては、世界的にコストが高騰している。特に、医薬品にあっては、タフツ大学の試算によると1新薬当たり\$ 2,558 million(約3,000億円)要するといわれている。(Nov. 18, 2014, Tufts Center for the Study of Drug Development)
- 近年、疾患登録システムを活用した新たな臨床開発の手法が開発されている。スウェーデンでは、ナショナルレジストリを活用した無作為化比較臨床試験を実施し、1症例当たりのコストを50ドルとした。(Lauer MS, D'Agostino RB Sr. *N Engl J Med* 2013;369:1579-1581.)
- また、国内でも、国立がん研究センターにおける先駆的な取組として、“Scrum-Japan”がある。全国のネットワーク病院においてがん患者のゲノムスクリーニングを行い疾患登録システムに登録することで、希少がん患者の治験組入れを効率的にする仕組みであり、10以上の製薬企業も費用負担し、参加している。
- 国立がん研究センター以外の各ナショナルセンター(NC)においても、平成26年から疾患登録システムの構築を開始しているところ。



CINの概要

- 各NCの疾患登録システムを治験・臨床研究に対して最大限活用するため、関係機関のネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアムを形成するとともに、疾患登録情報を活用した臨床評価の手法に関するレギュラトリーサイエンス研究を行う。
- これらの取組により、国内開発の活性化を促すとともに海外メーカーを国内開発へ呼び込む。

医療法に基づく臨床研究中核病院

○日本発の革新的医薬品・医療機器等の開発を推進するため、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院を「臨床研究中核病院」として医療法上に位置づけ（平成27年4月施行）

○11病院からの申請を受け、社会保障審議会医療分科会の意見を踏まえ、8月7日に以下の3病院を承認

- ・ 国立がん研究センター中央病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院

<医療法に基づく臨床研究中核病院になることで期待されること>

○「臨床研究中核病院」の名称を掲げることで、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院として認知され、より質の高い最先端の臨床研究・治験が実施できるため、

- ①臨床研究・治験に参加したい被験者が集まり、症例が集積される
- ②臨床研究・治験を実施するための優れた研究者等の人材が集まってくる
- ③他の施設からの相談や研究の依頼が集まってくる

などの効果が期待される。



国立高度専門医療研究センターにおける治験・臨床研究推進事業

■「医療分野研究開発推進計画」に記載されているNC*の課題

我が国の医療研究開発におけるNCのあり方の検討

創薬、医療機器開発に向けた企業との連携

治験・臨床研究に関する症例集積性の向上、手続きの効率化

ネットワークを強化し、世界に通用する臨床研究を遂行すべく症例を集積しやすい環境の整備

バイオバンク、ゲノム解析、ゲノムコホート研究の基盤強化

* NC(ナショナルセンター): 国立高度専門医療研究センター

解決策

<治験・臨床研究> 企業等との連携を強化する仕組みの構築

- がん、循環器疾患、精神疾患、神経疾患、感染症、代謝性疾患、小児疾患、周産期疾患、老年性疾患などのうち、各NCが疾患毎に協力病院をつなぐ患者レジストリを構築することにより、**症例が集積し難い疾患について一元的に患者情報を集積する仕組み**を構築する。
- また、構築した患者レジストリ情報を用いて、企業治験・医師主導治験・臨床研究を推進することにより、**我が国の創薬・医療機器開発を強力に推進**する。



1. 「企業等との治験連携事務局」を設置(平成27年度)

- (1) 創薬につながる企業ニーズの把握を積極的に行う。
- (2) 各疾患群ごとの治験・臨床研究の相談、一括受付を行う。
- (3) NC同士の連携により、他のNCへの治験紹介等を行う。

2. 患者レジストリの構築(平成26年度)

- (1) 各NC及び協力病院間をつなぐ患者レジストリを整備する。
- (2) 難治性・希少疾患などの症例集積性の向上を図り、他の治験実施可能施設を把握する。

メリット

<企業等>

- 該当施設の調査や依頼等に係る**時間的・費用的負担の大幅な軽減**が図られる。
- **医薬品・医療機器開発を早期かつ効率的に開始**できる。

<NC>

- 各疾患ごとの拠点となることにより、治験・臨床研究の依頼が集まりやすくなり、**より多くの外部資金を獲得**できる。

<各協力病院>

- ※がん診療拠点病院、NHO等を想定
- **多施設共同治験・臨床研究の推進による事務負担の軽減**が図られる。
- 治験・臨床研究の実施件数の増加につながり、**より多くの外部資金を獲得**できる。

今後構築する各国立高度専門医療研究センター(NC)の疾患登録システム

NC	対象領域(例) ※対象領域は変更される可能性あり	主な登録項目	参加施設数	登録目標及び期間
国立がん研究センター	希少がん(軟部肉腫、脳腫瘍、皮膚腫瘍、小児腫瘍)	登録可能(患者紹介可能)な治験情報	56施設 ※JCOG(日本臨床腫瘍研究グループ)参加施設	100～ 150人/年 (治験への組入れ人数)
国立循環器病研究センター	成人先天性心疾患、脳卒中、心不全、胎児不整脈	年齢、性別、登録(主)疾患名、入退院日、重症度、検査値、治療歴、併発疾患名、投薬内容、ステージ、家族歴、治験情報提供の有無、生活習慣等	計100施設程度 ※成人先天性心疾患ネットワーク、THAWS試験、胎児不整脈連携病院等	2,000～ 3,000人/年
国立精神・神経医療研究センター	精神疾患、パーキンソン病、筋ジストロフィーを含む遺伝性筋疾患、多発性硬化症、知的障害		31施設 ※精神疾患治験ネットワーク、大学病院、NC等	1.5万人 (2018年度末)
国立国際医療研究センター	糖尿病		200施設 ※最終的にはSS-MIX2を導入している全ての病院を対象	100万人 (2019年度末)
国立成育医療研究センター	小児分野の希少疾患、難病等		33施設 ※小児治験ネットワーク加盟病院	3万人
国立長寿医療研究センター	MCI(軽度認知障害) サルコペニア		22施設 ※MCI/サルコペニア診療連携病院	4,000人以上

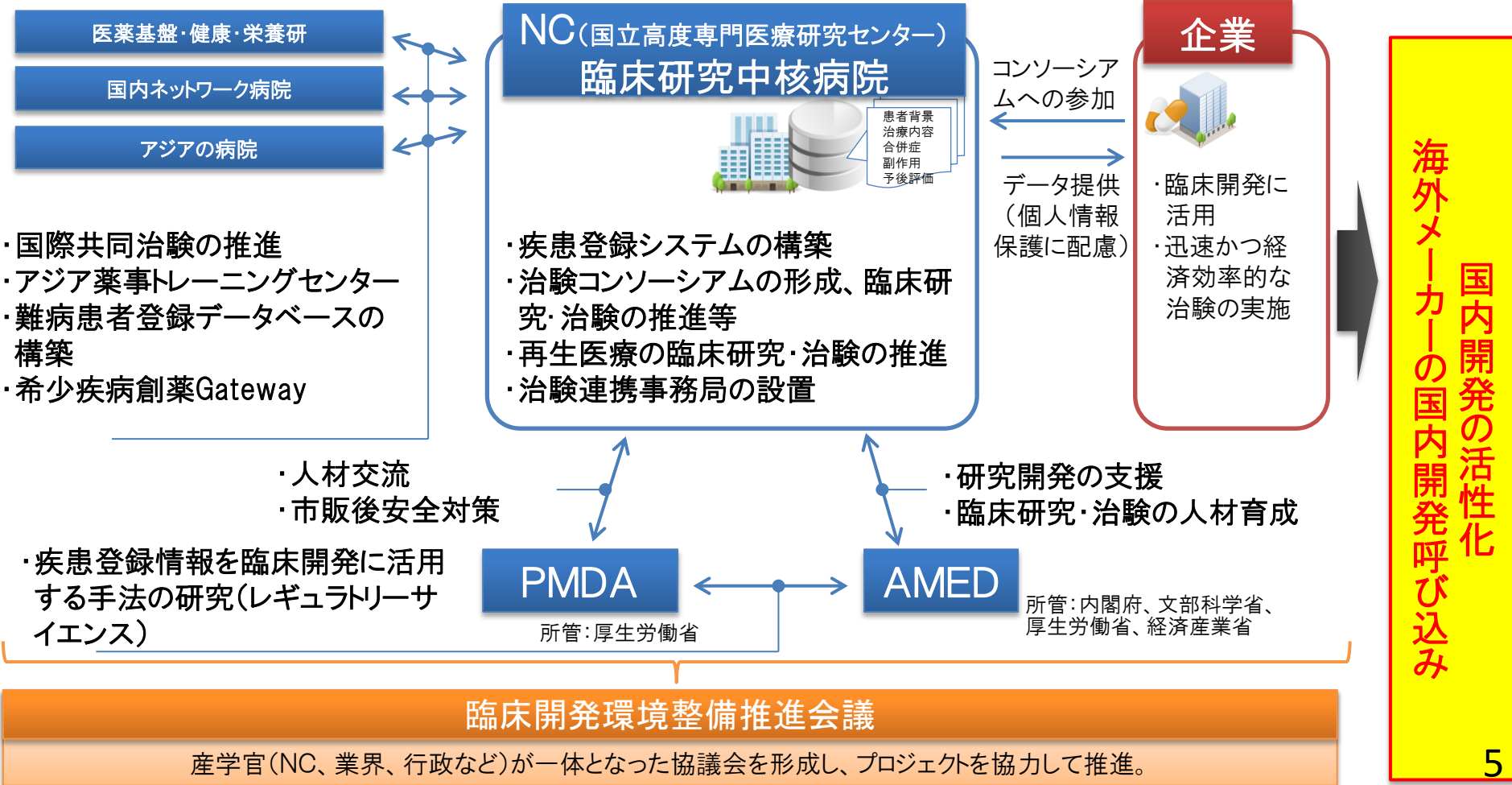
クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築 (疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備)

【課題・背景】

- ・医薬品等の開発費用は、世界的に高騰し、特に我が国は諸外国と比べて開発コストが高い。
- ・近年、海外では疾患登録情報を活用した新たな臨床開発手法が注目を集めている。

【施策の概要】

- ・レギュラトリーサイエンスに基づき疾患登録情報を用いて効率的な治験が実施できる環境を整備することにより、国内外のメーカーによる国内臨床開発を加速し、新薬の早期開発により国民の健康寿命を延伸する。
- ・また、日本発製品のアジア地域への国際展開を支援する。



医薬基盤・健康・栄養研

国内ネットワーク病院

アジアの病院

NC (国立高度専門医療研究センター)
臨床研究中核病院

コンソーシアムへの参加

データ提供
(個人情報保護に配慮)

企業



- ・臨床開発に活用
- ・迅速かつ経済効率的な治験の実施

海外メーカーの国内開発呼び込み
国内開発の活性化

- ・国際共同治験の推進
- ・アジア薬事トレーニングセンター
- ・難病患者登録データベースの構築
- ・希少疾病創薬Gateway

- ・疾患登録システムの構築
- ・治験コンソーシアムの形成、臨床研究・治験の推進等
- ・再生医療の臨床研究・治験の推進
- ・治験連携事務局の設置

- ・研究開発の支援
- ・臨床研究・治験の人材育成

- ・人材交流
- ・市販後安全対策

- ・疾患登録情報を臨床開発に活用する手法の研究 (レギュラトリーサイエンス)

PMDA

所管: 厚生労働省

AMED

所管: 内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省

臨床開発環境整備推進会議

産学官 (NC、業界、行政など) が一体となった協議会を形成し、プロジェクトを協力して推進。

クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)推進プロジェクト

臨床開発環境整備推進会議

運営方針、進捗管理等

- 疾患情報の共有や研究開発支援等を行うCIN構築に係る進行管理、課題の整理など実務上の課題の検討
- 臨床研究・治験など臨床開発の環境整備の推進に係る具体的な課題の整理及び支援策の検討

【構成員】 NC、PMDA、医薬基盤・健康・栄養研究所(厚生労働省所管)
AMED(内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省所管)
医薬品・医療機器業界
厚生労働省(NC担当、研究振興担当、薬事規制担当、難病等担当)、経済産業省、文部科学省
内閣官房健康・医療戦略室 等

がん

循環器

精神・神経

国際医療

成育

長寿

難病

臨床開発環境推進会議がんWG —NCと企業との意見交換の場—

- 疾患登録システムの内容や、情報提供の方法を検討

治験連携事務局 —協力病院とのネットワーク—

- 企業ニーズを適切に把握
- 協力病院を含め、治験の相談などを一括に受け付け

【構成員】医師、薬剤師、治験コーディネーター、臨床統計家、レギュラトリー・サイエンスの専門家 等

治験コンソーシアム —NCや協力企業で構成—

- 特定の疾患を対象に、NC、臨床研究中核病院、協力病院と企業が共同して疾患登録情報を活用した臨床開発を実施

PMDA —医薬品等の審査機関—

- レギュラトリー・サイエンス研究班と協力し、疾患登録情報を活用した臨床開発手法を検討

疾患登録システムの設計等

治験等の相談の一括受付

治験の実施

承認審査

承認審査の経験をフィードバック

今後の予定

1. ワーキンググループの設置

- ・各ナショナルセンターが主導
- ・疾患登録システムの内容や、情報提供の方法を検討
- ・企業、PMDA、AMEDなどが参加

2. ワーキンググループの横串を刺す仕組みの構築

- ・厚生労働省が主導
- ・治験リクルートレジストリー、対照群代替用レジストリーなど、全ナショナルセンターに共通する事項を議論
- ・全ナショナルセンター、企業、PMDA、AMEDなどが参加