

平成28年度採択課題及び平成29年度予算案報告



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)

平成29年度予算案（平成28年度予算額）
コア事業 ※ 20.7億円（7.6億円）
※ 疾患登録情報を活用した治験・臨床研究等

【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、新薬等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。

平成29年度 CIN コア事業（疾患登録情報を活用した治験・臨床研究の推進）

- 疾患登録システムの構築及び疾患登録情報を活用した臨床研究・治験の推進
 - ① 難病患者登録データベースの構築 7.1億円（1.1億円）
 - ② 医薬品 10.6億円（4.8億円）
 - ③ 医療機器 2.5億円（1.5億円）
 - ④ 疾患登録システムの利活用支援 0.3億円（新規）
- 規制当局と連携した新しい研究手法の検討
 - ⑤ 疾患登録情報を臨床開発に活用する手法の研究 0.2億円（0.2億円）

臨床研究中核病院
NC(国立高度専門医療研究センター) 等



レジストリの
構築・活用



治験コン
ソーシアム
の形成

企業



・臨床開発に活用
・迅速かつ経済効率的な治験の実施

国内開発の活性化
海外企業の呼び込み

クリニカル・イノベーション・ネットワーク関連事業

平成29年度予算案（平成28年度予算額）
CIN関連事業 27.6億円（23.0億円）
（CIN全体 48.3億円（30.6億円））

平成29年度 CIN関連事業（産学官連携研究、治験・臨床研究環境の整備、人材育成、国際展開等）

- 産学官連携による創薬等の推進
 - ⑥ 創薬 2.5億円（2.8億円）
 - ⑦ 再生医療 2.8億円（0.2億円）
- 治験・臨床研究環境整備
 - ⑧ 臨床研究中核病院の実用化促進体制の充実等 16.0億円（16.5億円）
 - ⑨ 難病・希少疾病【医薬基盤・健康・栄養研】 0.3億円（2百万円）
 - ⑩ 再生医療 2.6億円（2.3億円）
- 人材育成
 - ⑪ 生物統計家の人材育成 2百万円（2百万円）
 - ・ 臨床研究・医師主導治験（再掲） 10.6億円の内数（4.8億円の内数）
- 国際共同治験の推進等
 - ⑫ アジア薬事トレーニングセンター【PMDA】 1.2億円（1.2億円）
 - ⑬ 国際連携型グローバル臨床研究ネットワーク拠点形成（インハウス）【NCGM】 2.2億円（新規）



国内開発の活性化
海外企業の呼び込み

事業概要	研究代表者	所属	研究課題名
疾患登録システムを活用した臨床研究・治験の推進	小牧 宏文	国立精神・神経医療研究センター	疾患登録システムの効果的活用に基づく筋ジストロフィーの医師主導治験、ならびに医薬品開発に資する臨床研究の実施
	野村 政壽	九州大学病院	患者レジストリを活用した難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群の病態解明と11β-HSD1阻害剤の臨床開発
	米盛 勸	国立がん研究センター中央病院	がん領域Clinical Innovation Network事業による超希少がんの臨床開発と基盤整備を行う総合研究
	岡本 渉	国立がん研究センター東病院	産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)患者レジストリを活用したHER2陽性の切除不能・再発大腸がんを対象にした医師主導治験
	小関 道夫	岐阜大学医学部附属病院	難治性リンパ管異常に対するシロリムス療法確立のための研究
医療機器	飯原 弘二	九州大学大学院医学研究院	脳卒中高リスク群を抽出する革新的な臨床診断意思決定システムの開発に関する研究
疾患登録システムの構築	大津 敦	国立がん研究センター東病院	産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)を利用したがん新薬開発に資する疾患登録システムの構築
	祖父江 元	名古屋大学大学院	筋萎縮性側索硬化症患者の疾患登録システムの研究開発
	中村 治雅	国立精神・神経医療研究センター	難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進を目指した疾患登録システム(患者レジストリ)の構築
医療機器	嘉山 孝正	日本脳神経外科学会	脳神経外科学会データベースを用いた医療機器開発のためのコンソーシアムの運用と実用化に関する研究
疾患登録システム及び治験ネットワークの連携等	武田 伸一	国立精神・神経医療研究センター	疾患登録システムの有効活用によるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進方策に関する研究
規制当局と連携した新しい研究手法の検討	林 邦彦	群馬大学大学院保健学研究科 医学部保健学科	患者レジストリーデータを用い、臨床開発の効率化を目指すレギュラトリーサイエンス研究

背景

「日本再興戦略(平成28年6月2日閣議決定)」において、「国立高度専門医療研究センター(NC)や学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行う「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。」と決定され、平成28年度より、クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築が進められている。

現状・課題

疾患登録レジストリは、患者の把握、治験・臨床研究へのエントリ、市販後安全対策等、様々な目的のために構築されており、医薬品等の治験・臨床研究の推進に貢献しているが、

- ① 利用目的に応じた必要な情報が収集されていないなど、必ずしも企業が活用しやすいものとなっていない
- ② 大学、NC、学会など様々な機関がその運用を独自に行っていることから、どこにどのような種類のレジストリが構築されているのか判然としない

との指摘がある。

※ 資金の流れ

厚生労働省



AMED

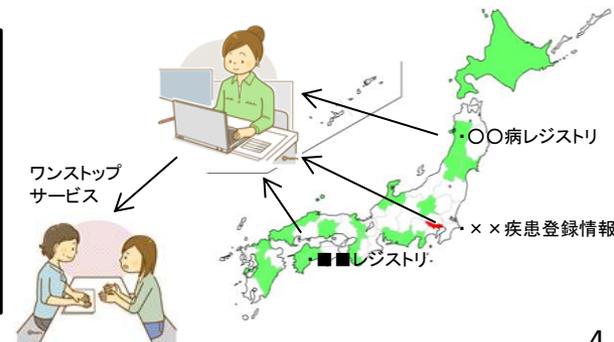


NC・大学等

対応方針

疾患登録レジストリの更なる活用を図り、CIN構想を加速させるため、

- ① 利用目的毎にレジストリ情報を収集し
- ② 治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービス化を推進する。



米国での動き

～ 21st Century Cures Act 成立へ～

参考

- ◆ FDAの承認プロセスを加速し、連邦政府の資金を増額することで新たな医療の導入を加速させる法案(**21st Century Cures Act**)が、平成28年12月7日(水)に賛成94反対5で上院を通過し、オバマ大統領が**12月13日署名・発行**した。

<https://www.statnews.com/2016/12/07/21st-century-cures-senate-passes/>
http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMp1615745?query=featured_hom

It is clear that the discovery, development, and delivery process is a cycle, meaning that even data captured and analyzed at what some might consider the “end” of the process - the delivery phase - actively infuses new discovery and development of better treatments. The country that fully embraces the entirety of this cycle will be the innovation leader for the 21st Century. Thus, a key goal of the 21st Century Cures initiative is to help ensure it is the United States that charts this course.

(21st Century Cures Act のWhite Paperより抜粋)



高騰する医薬品の研究開発費、二重盲検比較試験に代わる効率的な開発法の必要性

- ◆ Traditionally, clinical trials have been designed to demonstrate how an experimental treatment affects the symptoms of a condition or disease over time in a large, representative patient population compared to a placebo or other alternative. But based on the advances that have been made in personalized medicine and health information technology, including the use of real world data, **is the randomized, double-blinded, placebo-controlled model the best approach in all cases?** The timelines, size, failure rates, and costs of conducting trials are at all-time highs, with administrative and regulatory burdens often contributing to such increases. What can be done to help reverse these trends?
- ◆ Finally, recent analyses have shown that **the cost of developing a new drug now exceeds \$1 billion—double the costs in the early 1980s**—and that it takes upwards of 15 years from initial molecular targeting to bring a drug to market.

(21st Century Cures Act のWhite Paperより抜粋)

DIVISION A—21ST CENTURY CURES

TITLE III—DEVELOPMENT

Subtitle C—Modern Trial Design and Evidence Development

SEC. 3022. REAL WORLD EVIDENCE.

Chapter V of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act is amended by inserting after section 505E (21 U.S.C. 355f) the following:

“SEC. 505F. UTILIZING REAL WORLD EVIDENCE.

“(a) IN GENERAL.—The Secretary shall establish a program to evaluate the potential use of real world evidence—

“(1) to help to support the approval of a new indication for a drug approved under section 505(c); and

“(2) to help to support or satisfy post approval study requirements.

“(b) REAL WORLD EVIDENCE DEFINED.—In this section, the term ‘real world evidence’ means data regarding the usage, or the potential benefits or risks, of a drug derived from **sources other than randomized clinical trials**.

“(c) PROGRAM FRAMEWORK.—

“(1) IN GENERAL.—Not later than 2 years after the date of enactment of the 21st Century Cures Act, the Secretary shall establish a draft framework for implementation of the program under this section.