

臨床開発に係る取組 (クリニカル・イノベーション・ネットワーク)

平成30年 3月
厚生労働省医政局
研究開発振興課

クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）について

医薬品・医療機器開発を取り巻く環境の変化

- 新薬、新医療機器等の**開発コストが世界的に高騰** ※1新薬当たり約3千億円との試算あり
- 開発の低コスト化、効率化を狙い、**疾患登録システム（患者レジストリ）を活用する新たな臨床開発手法**が登場
 - ▶ 国立がん研究センターの取組「SCRUM-Japan」：全国のネットワーク病院でがん患者のゲノムスクリーニングを行い、そのデータを集約し、疾患登録システムに登録。希少がん患者の治験組入れ等を効率化
 - ▶ 各ナショナルセンター(NC)、大学病院等でも平成26年から疾患登録システムの構築を開始

そこで

- **効率的な創薬のための環境整備を進めるため、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CINを構築、拡充**

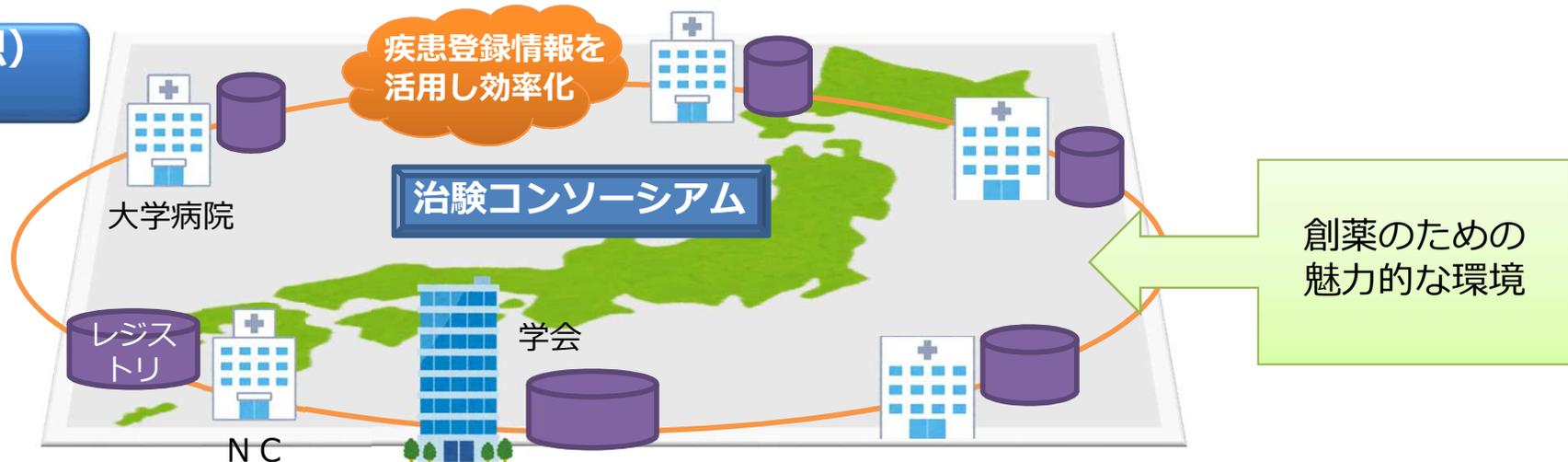
具体的には

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。
疾患登録情報を活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制構築を推進

CIN構想

- これらの取組により、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するとともに、海外メーカーを国内開発へ呼び込む

CIN（構想）のイメージ



健康・医療戦略（平成26年7月閣議決定、平成29年2月一部変更）抜粋

2. (1)世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策

2) 国が行う医療分野の研究開発の環境の整備

○臨床研究及び治験実施環境の抜本的向上

革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している橋渡し研究支援拠点及び臨床研究中核病院等（以下「革新的医療技術創出拠点」という。）並びに国立高度専門医療研究センター（ナショナルセンター）といった拠点を総合的に活用し、それらを中心としたARO（Academic Research Organization）機能の構築による臨床研究及び治験を推進する。臨床研究及び治験を進めるため、ナショナルセンター等をはじめとする医療機関が連携して症例の集約化を図るネットワーク（クリニカル・イノベーション・ネットワーク）を整備するとともに、今後も、これらの資源を有効に活用しつつ、更なる機能の向上を図り、国際水準の質の高い臨床研究や治験が確実に実施される仕組みを構築する。

未来投資戦略2017（平成29年6月閣議決定） 抜粋

1. 医療・健康・介護

(2) 新たに講ずべき具体的な施策

iii) 日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化

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等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」の構築による効率的な臨床開発のための環境整備や、PMDAの医療情報データベースシステム（MID-NET）の構築による医薬品等の評価と安全対策を高度化するための環境整備を進める。

○ 患者レジストリの分類（企業の活用方法として主に下記の4つを想定）

- A) 市場性調査 : 患者数、地域分布などから、日本での医薬品開発可能性を検討
- B) 患者リクルート : 登録された患者を、治験・臨床研究に効率的に組入れ
- C) 治験対照群 : 患者自然歴を把握し、治験の対照群として利用（Single Arm試験）
- D) 市販後安全性調査 : 市販後、副作用の発生状況などを把握

※1 A) 及び B) の目的での運用は既に始まっている。

※2 今後、C) 又は D) の目的での運用を目指し、医薬品・医療機器の開発環境整備に向け、規制当局（医薬局、PMDA）、製薬協等の企業関係者も交え、新たな患者レジストリの構築・検証を行い、疾患登録システムに関するガイドラインを策定する予定。

○ 医薬品開発の時間軸と患者レジストリ



A) 市場性調査

B) 治験リクルート

C) 治験対照群として承認申請に活用

D) 市販後安全性調査

CIN基本方針

平成29年3月22日
臨床開発環境整備推進会議 了承

目標

- レギュラトリーサイエンスに基づき、**疾患登録システムを活用した革新的な医薬品等の開発環境を整備**することにより、我が国の医薬品・医療機器等の開発競争力を強化する。
- **透明性及び個人情報に配慮した上で、診療で得られるリアルワールドデータを収集・解析する体制・システムを整備**し、創薬や医療の場で有効に活用する。
- 以上により、新薬等を速やかに国民に提供することを通じて、健康寿命を延伸する。

基本方針

- 疾患登録システムを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進し、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するため、以下の取組を行う。
 - 1) 我が国で整備が進む**疾患登録システムに関する情報を整理**するとともに、**治験・市販後調査・臨床研究を推進するための課題解決を行う体制を構築**する。
 - 2) レギュラトリーサイエンス研究に基づき、海外の規制当局の動向も踏まえて、疾患登録システムを治験・市販後調査に活用するための国際連携等の環境整備を行う。疾患登録システムの要件（用途別）及び信頼性基準の確立とそれに基づいて、**薬事承認・再審査に疾患登録システムを用いるためのガイドラインを策定**する。
 - 3) 検証結果を踏まえ、**受益者負担による疾患登録システムの維持管理体制を構築**する。

各年次 重点項目

2016 連携体制の整備

横串研究班（武田班、林班）の設置、NC-WG、PMDA-WG、AMEDシンポジウムの開催

2017 レギュラトリーサイエンスに基づいた疾患登録システムの構築

市販後調査及び治験対照群としての活用を目指した新たなレジストリの構築（2016年度に医薬品3課題、医療機器1課題を採択）

承認審査に資する疾患登録システムの評価基準の検討

ワンストップサービス拠点の整備を開始

2018 臨床研究・治験の推進

ガイドライン作成等に資する検証的臨床研究・治験を実施

2019 疾患登録システムの自立化に向けた検討

疾患登録システムの自立化に向けた検討

ターゲット年度に向け疾患登録システムのデータ登録等を加速

2020 ガイドライン等の作成

疾患登録情報を活用した治験・臨床研究に関するガイドライン等の作成

クリニカル・イノベーション・ネットワーク事業予算

平成30年度予算案（平成29年度予算）

CINコア事業 **17.0億円**（20.7億円）

関連事業 **42.6億円**（27.6億円）

（CIN全体 **59.6億円**（48.3億円））

- **疾患登録情報を活用した治験・臨床研究に関するガイドライン等を作成**するため、**PMDAと密接に連携した検証的治験・臨床研究**を実施
- **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
- 日本発製品のアジア地域への国際展開を支援

CINコア事業

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 **1.8億円**（7.1億円）
- ② 医薬品 **11.2億円**（10.6億円）
- ③ 医療機器 **3.1億円**（2.5億円）
- ④ 疾患登録システムの利活用支援 **0.7億円**（0.3億円）※平成29年度補正予算案 **1.9億円**

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）

関連事業

産学官連携による創薬等の推進

- ⑥ 創薬 **2.8億円**（2.5億円）
- ⑦ 再生医療 **9.2億円**（2.8億円）

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 **23.5億円**（16.0億円）
- ⑨ 難病・希少疾病 [医薬基盤・健康・栄養研] **0.8億円**（0.3億円）
- ⑩ 再生医療 **2.8億円**（2.6億円）

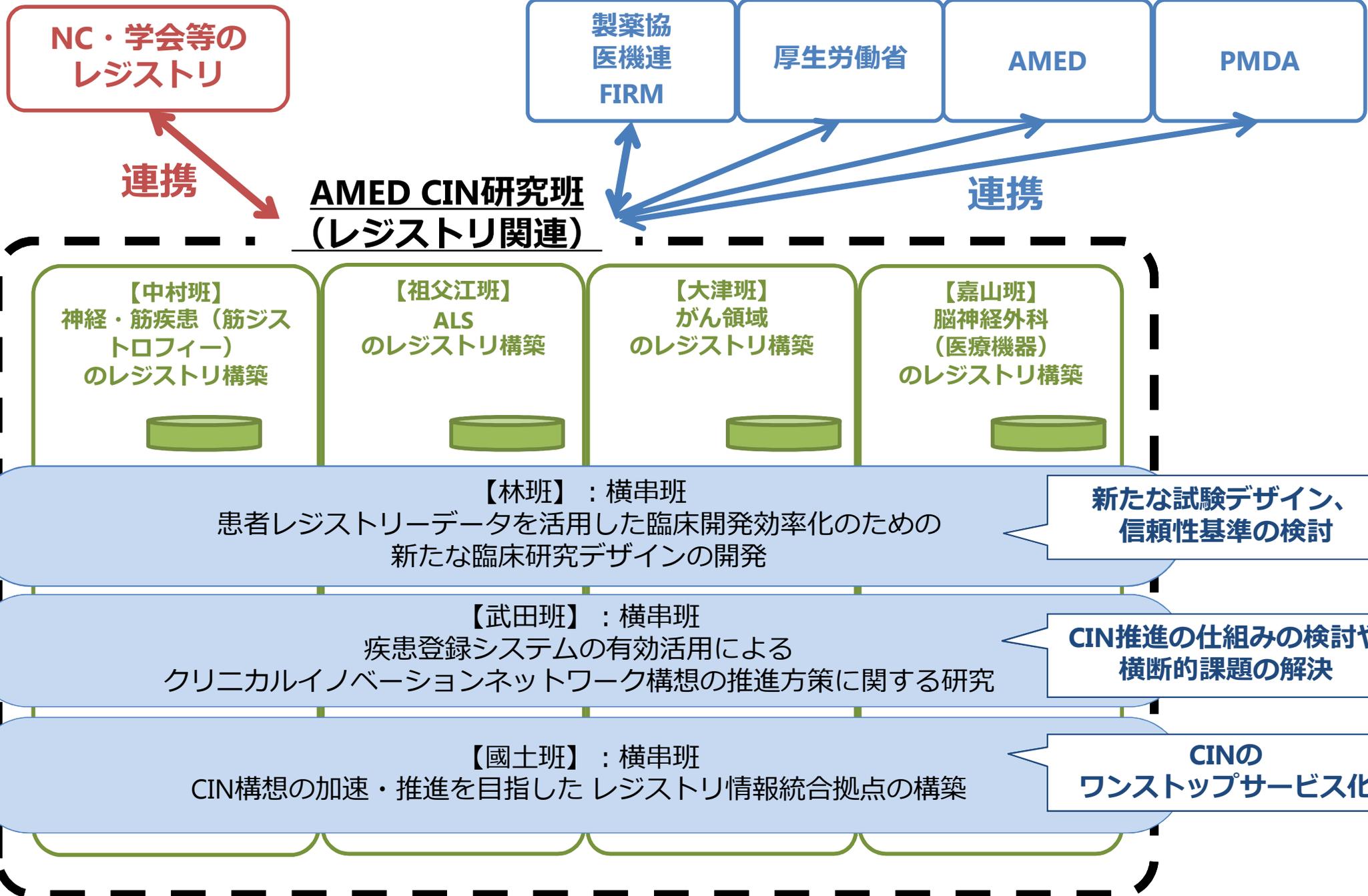
人材育成

- 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）
11.2億円の内数（10.6億円の内数）

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] **1.3億円**（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**（2.2億円）

コア事業の研究実施体制



背景

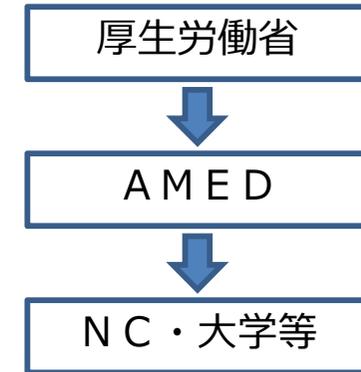
「日本再興戦略（平成28年6月2日閣議決定）」において、「国立高度専門医療研究センター（NC）や学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行う「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。」と決定され、平成28年度より、クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築が進められている。

現状・課題

疾患登録システム（患者レジストリ）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、

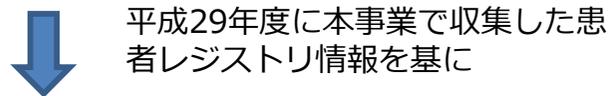
- ① 利用目的に応じた必要な情報が収集されていないなど、必ずしも企業が活用しやすいものとなっていない
- ② 大学、NC、学会など様々な機関がその運用を独自に行っていることから、どこにどのような種類のレジストリが構築されているのか判然としないとの指摘がある。

【資金の流れ】



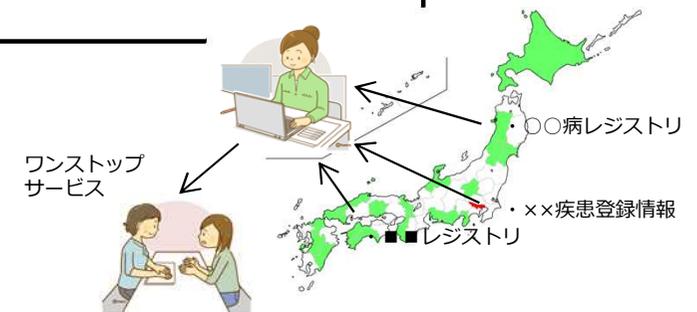
平成29年度実施内容

全国に散在する患者レジストリ情報を収集し、公開を開始



平成30年度実施内容

C I N構想の**実用化に向けて**収集した患者レジストリ情報の利活用を加速するため、**登録項目(同意取得、利用目的等)の精査等**を行う



AMED 臨床研究・治験推進研究事業

- 企業等における疾患登録システムの活用に関する検討
- 疾患登録システムの活用に係る費用負担のあり方に関する検討

AMED
研究班の
成果反映

背景

※AMEDへの補助金事業を想定

- 「日本再興戦略（平成28年6月閣議決定）」において、「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」とされており、昨年度から、**治験・臨床研究の効率化に向け、疾患登録システム（レジストリ）の構築支援やネットワーク化を進めている。**
- 医薬品等の開発コストを抑える観点から、疾患登録システムを活用した臨床開発手法が注目されており、**企業等のニーズを踏まえ、疾患登録システムを医薬品等の開発に活用できるよう早急に整備**する必要がある。
- 「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する報告書」（平成28年7月厚労省公表）においても、ベンチャー支援・振興の取組の一つとして、「ベンチャー企業にとっては、難病や希少疾病といったニッチな疾患分野から開発に着手することが成功の秘訣であるため、そのような研究開発を支援するため、CINにおける疾患別レジストリの整備を進めるべき」とあり、**疾患登録システムの整備はベンチャー支援にも繋がる。**
- さらに、本年10月に実施された第1回革新的医薬品創出のための官民対話でも、**業界、アカデミア等からリアルワールドデータ、疾患レジストリの利活用等に対する強い要望**があったところ。

現状・課題

疾患登録システムは、現在、患者数の把握、市販後安全対策等の様々な目的に応じて、医療機関、学会等が構築しているが、以下のような課題があり、**治験・臨床研究への活用が進んでいるとは言えない状況。**

- ①治験・臨床研究等の**目的に応じ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、学会等の各機関がそれぞれ独自に運用していることから、**どこにどのようなシステムがあるか明らかでない**

そこで

事業内容

- 今年度当初予算事業で、全国に散在する疾患登録システムの調査を実施中。
- この調査結果を活用し、**企業と既存の疾患登録システムとをマッチング**し、当該企業がシステムを実際に使用しながら、**企業ニーズが反映された疾患登録システムに改修**（費用の一部は企業負担を予定）

期待される効果

- ・企業ニーズを踏まえて疾患登録システムが整備され、**ベンチャーを含む企業やアカデミアが「リアルワールドデータ」を活用した治験・臨床研究を実施できる環境**が整う。



- ・**医薬品等の開発が進み、「生産性」が向上**