

2. 本ビジョン実現のためのアクション・プラン

(1) 研究開発に対する支援

前回ビジョンのアクション・プランに基づく取組

- ・ 医療の視点に立った基礎研究を推進し、特に、産学官連携の下、「疾患関連タンパク質解析プロジェクト」や「トキシコゲノミクスプロジェクト」を実施してきた。
- ・ (独) 医薬基盤研究所を設立、(財) ヒューマンサイエンス振興財団を認定TLOとするなど、技術移転・産学官連携を推進してきた。
- ・ 日本版バイ・ドール制度の導入を含め、ベンチャー企業や製薬企業等に技術移転された研究成果を含めた最先端の研究成果の実用化研究を(独) 医薬基盤研究所(2004年度は(独) 医薬品医療機器総合機構)において委託研究事業として実施している。
- ・ ヒト組織などの研究資源の確保のための研究用試料バンクは、保存資源数が年々増加し、試料提供医療機関の増加にも努めている。
- ・ 企業の研究開発への取組に対する支援策として、試験研究費の総額に係る税額控除制度やオーファンドラッグ等の研究開発に係る試験研究費の税額控除制度の創設等を行ってきた。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 医薬品開発につながる予算への重点化・拡充(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 欧米と比較して、日本におけるライフサイエンス関連予算は規模が小さいとの指摘がある。このライフサイエンス関連予算の拡充を図り、特に、ライフサイエンス関連予算の中で医薬品分野へ重点化・拡充するとともに、その中身についても、ア) 臨床研究・実用化研究(臨床への橋渡し研究を含む)、イ) がん・精神神経疾患・難病等の重大疾病領域、希少疾病領域、ウ) 新たな技術(バイオマーカー、疾患モデル化、テーラーメイド医薬、再生医療等)の領域を重視する必要がある。(2007年度～)

② 先端医療開発特区における研究資金の統合的かつ効率的な運用(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 革新的医薬品等のより一層の開発の促進を図るため、2008年度に、重点分野を設定した上で、先端医療研究拠点を中核とした他の研究機関や企業との複合体(以下「複合体」という。)を選定し、研究資金の特例や規制を担当する厚生労働省等との並行協議等を行う「先端医療開発特区」を創設することとしている。
- ・ 「先端医療開発特区」においては、研究機関等における事務負担の軽減等に資する

よう、関係府省が研究資金の運用改善に努めるとともに、研究資金の統合的かつ効率的な運用の方策について検討する。(2008年度～)

- ・ また、「先端医療開発特区」に関連する研究資金の重点化・集中配分、複合体に関連する体制整備を関係府省が連携して検討する。(2008年度)

③ 競争的研究資金の拡充・見直し（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」ほか）

- ・ 厚生労働科学研究費補助金等の競争的研究資金については、「第3期科学技術基本計画」（2006年3月28日閣議決定）や「イノベーション25」、「競争的資金の拡充と制度改革の推進について」（2007年6月14日総合科学技術会議基本政策推進専門調査会）により、競争的環境下において基礎研究を強化するとともに、最先端でハイリスクな研究を推進するため、以下の取組を行うこととされている。

- ア) 競争原理により研究の質を向上させるため、競争的資金の拡充に向けた取組。(2007年度～)
- イ) 国内外を問わず、国際的にも研究活動を活発に行っている評価の高い研究者が審査する体制等、評価の手法についての早急な見直し。(2007年度～)
- ウ) 競争的資金の配分機能を独立した配分機関（原則として独立行政法人）に移行。(2007年度～)
- エ) 競争的資金を獲得した研究者の属する機関に対して研究費の一定比率が配分される間接経費（研究の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費に充てるもの）については、30%とする措置の早期実現。(2007年度～)
- オ) 特に、臨床研究の実施において不可欠な人件費について、競争的資金から人件費を支給できる研究者の対象を拡大する。また、競争的資金獲得者や優れた研究成果を挙げた人に対する経済面での処遇などについて、研究機関の自主的取組を促進する。(2007年度～)

④ 研究開発独立行政法人の役割の強化

- ・ ライフサイエンス関連予算の中で医薬品・医療機器開発分野へ重点化する等、研究開発資源の効率的・効果的利用の促進や重点化において、政府等の研究開発資源の配分機能が合理的に行われることを確保する必要がある。
- ・ （独）医薬基盤研究所においても、バイドール委託方式による保健医療分野の基礎研究費、医薬品・医療機器の実用化段階の研究を行うベンチャー企業等への研究資金の提供、オーファンドラッグの開発助成金など、研究開発を支援する配分機関としての独立行政法人としての役割を担っているが、医薬品・医療機器の研究資金を展望した支援体制の強化が期待されている。
- ・ 同時に、ビジネス化や医薬品開発における相談・知識の提供等の医薬ベンチャ

一の支援機能、施設・機器のベンチャーとの共通利用等のベンチャー支援策、その他官民共同研究の支援をはじめとした医薬品研究開発基盤の構築による創薬技術の利用促進を図るため、(独) 医薬基盤研究所が一定の役割を担うことが期待されている。

- ・ 研究開発支援を行う公益法人などとの役割分担を明確にし、国立研究機関等の知的財産のライセンス活動、ライフサイエンス分野の動向調査研究、バイオ企業人材養成・育成及び研究資金の配分機関としての役割等の医薬品研究開発基盤の構築のための取組のそれぞれが、一貫して実施できる体制の構築を検討する必要がある。(2008 年度～)

⑤ 創薬バイオマーカー探索研究と生物資源・創薬動物モデル研究事業の推進

- ・ ゲノム研究及びポストゲノム研究の進展により、遺伝子、タンパク質及び糖鎖等の高次機能解析などの創薬ターゲットが新たに発見されることが期待される。特に、患者由来のゲノム解析による疾患関連遺伝子、医薬品の作用に関連する薬剤反応性関連遺伝子及びタンパク質の探索と機能解析、病態モデル動物の確立と人の病態との関連性の解明、バイオマーカーの探索による効率的な医薬品の有効性、安全性の評価が加速的に進行すると考えられている。
- ・ 疾患関連たんぱく質の探索、構造解析及び機能解析、トランスクリプトームの解析等により、たんぱく質の高次機能の解明とレギュラトリーサイエンス基盤データの構築に資する創薬バイオマーカー探索研究を推進する。また、この結果を臨床研究で検証することにより、創薬のバイオマーカーの実用化が実現し、創薬の開発の効率化が期待される。(2008 年度～)
- ・ また、動物開発施設において、がん、心筋梗塞、脳卒中、認知症等の領域で開発が望まれる新規の疾患モデル動物の開発の推進や開発した疾患モデル動物を創薬研究に有効に活用するために、当該疾患モデル動物のデータベースを構築して生物資源・創薬モデル動物研究事業を推進する。この生物資源の拡充により、創薬や新規医療技術への寄与が期待できる。(2008 年度～)

⑥ 次世代ワクチンの開発

- ・ 欧米においては新規ワクチン開発が加速している一方で、大学、国立研究機関にはワクチン・シーズがあると予想されるにもかかわらず、これまでの予防接種での被害やリスクが大きいといった理由から、国内でのワクチン開発は実用化に至るところまで進んでいない。
- ・ しかしながら、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンへの期待が寄せられ、世界のワクチン需要は向 10 年で現在の 3 倍以上と予測される中、このま

までは日本は世界の競争に乗り遅れてしまう。「ワクチン産業ビジョン」を強力に推進することにより、ワクチン開発の新しいターゲットを、アルツハイマー等の疾患の予防・治療、がん等の疾患の予防・治療、新たな小児・成人・高齢者感染症の予防、新型インフルエンザ対策等とし、これまでの注射による古典的な予防接種技術のみならず、効率的培養法、抗原タンパク製造法等の新しい生産・製剤化技術の開発及びその臨床評価により、経鼻等の新投与経路によるワクチンやさらに効果的なワクチンとしてDNAワクチンの開発につながる次世代ワクチン開発研究を推進する必要がある。(2008年度～)

- ・ また、この研究において、新たなワクチン産業の担い手としてバイオ・ベンチャーや大手製薬企業の参入が期待される。さらに、このような次世代ワクチンの開発により21世紀の予防医療の実現への期待も高まる。

⑦ **ベンチャー企業の育成**（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ ゲノム・ポストゲノム技術の進展により、製薬企業はバイオテクノロジー等の従来と異なる新たな技術を創薬プロセスに取り入れることが必要となってきたが、バイオ分野においては、これまでの創薬技術とは異なり、技術の独創性、個別性が高く、応用が予想される市場が細分化されている等の特殊性ゆえに実用化に至るまでのリスクも高い。
- ・ このような創薬シーズ及び要素技術の全ての技術を自社開発だけで対応することは更なる研究開発費用の増大や投資家から見た投資効率の低下等を招くこととなるため、近年、アメリカにおいては独自の革新的なバイオテクノロジー技術を有するベンチャー企業と製薬企業とのアライアンス及びM&Aが増えている。しかしながら、日本でのバイオベンチャーは数が少なく、十分に成熟していない状況にあり、日本の製薬企業は主にアメリカのバイオベンチャーをアライアンスパートナーとしている。しかし、今後の日本の医薬品産業の国際競争力を強化のためには、ベンチャー企業の育成が不可欠である。
- ・ それゆえ、ベンチャー企業育成策として、ベンチャー企業を対象とした研究開発資金のファンディングの拡充、ベンチャー企業を対象とした施設・機器の共用化や共同研究の促進、医薬品の専門知識を有するOB人材を活用し、ベンチャー企業が助言を受けられる仕組みの構築等の萌芽技術をビジネスにつなげるための支援策など、ベンチャー企業の支援策を講ずるなど、より実用性の高い技術を創出できる環境整備が必要である。(2007年度～)

⑧ **研究における特許使用の円滑化**

- ・ 大学等や民間企業は遺伝子改変動植物のスクリーニング方法等の研究の道具となるリサーチツール特許を所有しているが、これらが研究において円滑に使用されな

い場合、研究開発に支障が生じる可能性がある。そのため、総合科学技術会議において、大学等や民間企業がリサーチツール特許を研究場面で円滑に使用するための「ライフサイエンス分野におけるリサーチツール特許の使用の円滑化に関する指針」（2007年3月）を決定し、その使用の円滑化を図ることとされた。

- これを受けて、本指針の普及等のために関係府省が取り組むとされた事項（本指針の周知等、研究開発の公募における対応、対価に関する実務の支援等）について必要な措置を講ずる（2007年度～）とともに、ライフサイエンス分野のリサーチツール特許の使用促進のため、大学等や民間企業が所有し供与可能なりサーチツール特許や特許に係る有体物等について、その使用促進につながる情報（リサーチツールの種類、特許番号、使用条件、ライセンス期間、ライセンス対価等）を公開し、一括して検索を可能とする統合データベースを構築する（2008年度～）。

⑨ 研究開発促進税制の充実・強化（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- 2003年に創設された総額試験研究税制（試験研究費の総額について一定割合を税額控除できる研究開発促進税制。2006年に恒久措置。）は、控除限度額が当期の法人税額の20%であり、多くの製薬企業においては控除限度額に達してしまうため、当該税制を十分に活用できていない。さらに、2006年に増加試験研究税制の控除率が縮小され、総額試験研究税制等への上乗せを可能としたが、法人税額20%という控除限度額内での措置のため、同様に十分な活用を図ることができなかった。
- このため、研究開発に多額の資金を要する医薬品開発の特性を踏まえつつ、企業が積極的に研究開発に取り組み、研究開発費用を増やそうとする際の支援策として、研究開発等に係る税制の充実・拡充を図るよう検討する必要がある。（2007年度～）
2008年度税制改正においては、研究開発促進税制を拡充し、試験研究費の総額に係る税額控除とは別に、法人税額10%を上限として、試験研究費の増加額に係る税額控除又は売上高の10%を超える試験研究費に係る税額控除を選択できる制度が創設されたところであり、同制度の活用が期待される。

（2）治験・臨床研究の推進

前回ビジョンのアクション・プランに基づく取組

- 治験の迅速化と質の向上を図るため、「全国治験活性化3カ年計画」を策定し、次に掲げる施策の実施に努めた。
 - ア 「大規模治験ネットワーク」の構築に努め、1,312医療機関（2007年3月現在）がネットワークを形成した。また、大規模治験ネットワークでは、国内未承認医薬品、小児用医薬品、オーファンドラッグ等について医師主導治験を実施し、現在承認申請中のものもある。
 - イ 治験の質の向上に寄与するCRCは、2006年度までに約5,000名が養成研修を

修了した。また、SMOの位置付けや業務内容の明確化等を行った結果、治験実施医療機関が業務の一部を医療機関の外部(SMOを含む。)に委託可能となった。ウ 患者の治験参加の支援として、治験の意義等を掲載した「治験ホームページ」の公開等により治験に関する普及啓発に努めてきた。

- ・ 医師主導治験の制度化や「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」を策定した。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 医療クラスターの整備（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」ほか）

- ・ 「新健康フロンティア戦略」、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を踏まえ、国民に重大な影響を与える疾患（重大疾病領域、希少疾病領域）に対し、先駆的な技術・モノ・システムの開発・実用化を図るため、国立高度専門医療センターを中心に、産官学が密接に連携して臨床研究・実用化研究を進める「医療クラスター」を整備する。なお、2010年度に独立行政法人化されるにあたっては、国立高度医療専門センターが各分野において的確に機能を発揮できるようにする。（2008年度～）
- ・ 産官学が密接に連携できるよう、「医療クラスター」を中心として、臨床研究病床、実験機器等の整備を行い、企業や海外の研究者の受入れ等を行うことにより共同研究を推進し、企業や大学等研究機関の集積を進める。
- ・ 医薬品開発において、この「医療クラスター」が、基礎研究から臨床応用の実用化プロセス及び臨床からの研究開発への橋渡しを行う機能を有し、有望な創薬シーズを提供する日本発のベンチャー等を育成する研究・開発の開放型の拠点として、製薬産業における新たなシーズ供給源として活用されることへの期待は大きい。

② 中核病院・拠点医療機関の体制整備（「新たな治験活性化5か年計画」）

- ・ 「全国治験活性化3か年計画」等により、大規模治験ネットワーク等が形成されてきたが、それだけでは治験・臨床研究の活性化には十分つながっていない現状が明らかとなり、これまでに構築された治験ネットワークの形成や支援に加えて、専門とする領域や医療機関連携の特色を有する等の治験・臨床研究の中核病院や拠点医療機関の整備が必要とされた。
- ・ そのため、「新たな治験活性化5か年計画」に基づき、中核病院・拠点医療機関40か所程度に治験・臨床研究の人材を集中的に投入し、技能の集約化とスタッフの育成を図るとともに、効率的かつ迅速に国際共同治験・臨床研究が実施できる連携体制を構築する。具体的には、中核病院として10か所の医療機関、拠点医療機関として30か所の医療機関に対し、それぞれ整備のための助成を行う。（2007年度～）

③ グローバル臨床研究拠点の整備（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 臨床研究・治験をより一層推進するため、中央IRB（臨床研究審査委員会）機能等を有し、高度な国際共同研究の実施が可能なグローバル臨床研究拠点を整備する。（2009年度～）

④ 医療機関の治験・臨床試験の実施体制の充実等（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」・「新たな治験活性化5か年計画」）

- ・ 養成したCRCの多くが治験・臨床研究の業務に直接従事していないという現状や医師等の治験・臨床研究に係る技能向上のための研修の機会が十分でないことが指摘されており、質の高い治験・臨床研究を推進するに当たっての課題とされている。それゆえ、医師、CRC等スタッフの質的向上による治験・臨床研究の円滑化を図るとともに治験・臨床研究に係るインセンティブを確保することが急務とされている。（2007年度～）

- ・ 具体的には、

- ア) 大学等において、医師、薬剤師、看護師等の医療職に対し、臨床研究に係る教育の機会の確保・増大を図る、（2007～2011年度）
- イ) 医師等の臨床業績の評価を向上させるための取組を行う（我が国における臨床研究に係る海外主要誌への論文掲載数等、臨床研究の質の向上に資する評価基準の目標設定を含む。）、（2008年度～）
- ウ) CRC等、臨床研究を支援する専門家の育成を図る。CRCについては、新規に3,000人の養成を行う、（2007～2011年度）
- エ) 公的な研究費で行われる臨床研究の採択に当たり、研究者の臨床研究・治験の業績や、生物統計家等の専門職の参画を評価する、（2008年度～）

こと等が必要である。

- ・ また、治験を迅速化し、コストを下げるため、ITを利用した施設間のネットワーク作りや治験に係る書類様式の統一化を図る。（2007～2011年度）

⑤ 患者の治験参加を支援する施策（「新たな治験活性化5か年計画」）

- ・ これまでの治験体制の整備により、治験経験者の治験に対する前向きな意識の向上や「治験の実施状況を知りたい」、「治験に参加する段階では医療関係者から適切な説明を受けたい」という希望が強いこと等が明らかとなった。治験に対する一般の国民や患者からの要請に応え、治験についての普及・啓発等については、一層の充実を図る必要がある。

- ・ 具体的には、
 - ア) 臨床研究登録データベースのポータルサイトの提供、(2007年度～)
 - イ) 医療機関・製薬企業等により、治験後に被験者に効果があった場合の治療継続、被験薬の承認情報のフォローアップ等を行うことを促す、(2007年度～)
 - ウ) 中核病院・拠点医療機関において患者と医療従事者とのコミュニケーションを促進する「患者向け相談窓口機能」が設置されるよう促す、(2007年度～)
- こと等を実施していく。

⑥ 再生医療拠点の整備 (「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 再生医療技術は、日本の技術が世界をリードしている分野であり、「新健康フロンティア戦略」においても、先進的予防・診断・治療技術の一つとして開発・普及が期待されている。再生医療技術を支えるのは大学やベンチャー企業等だが、多くの大学において細胞調整・被験材料製造設備(セルプロセッシングセンター)を所有していないため、実用化の障害となっていたり、ベンチャー企業等との設備の共用が難しいという現状がある。
 - ・ この分野の研究者の裾野を広げ、より競争的な実用化研究の環境を提供し、日本発の再生医療技術を増やすことを目標として、
 - ア) 実用化促進の拠点病院の整備・ネットワーク化(再生医療専門の臨床研究病床、実験・分析機器等の整備等を行う。)、(2008年度～)
 - イ) 世界をリードする技術開発研究の推進(実用化を目指した幹細胞操作利用技術開発・幹細胞バンク整備・ナノテクノロジー、材料工学との連携促進等の取組を行う。)、(2008年度～)
- 等を実施していく必要がある。

⑦ 国際共同治験の推進 (「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 国際共同治験に日本の医療機関も参加することによって、海外と同時に第Ⅲ相試験等がスタートでき、広範囲の地域から大量かつ迅速な試験データの収集が可能であり、地域差の比較が容易となる、共通の治験実施計画に基づく治験を実施することにより、データの重複の排除などの効率化や有効活用が可能となる等のメリットが得られ、国内外で開発された新薬を世界で最も早く、又は同時に国民に提供することが実現可能となり、国民の最先端医療のアクセスの遅れを改善することができる。
- ・ そのため、日本における国際共同治験が推進されるように、次のような取組を進める。
 - ア) 中核病院、拠点医療機関との連携強化等の臨床研究・治験環境の整備を通じて、症例集積の向上、治験コストの低下等を図ることにより、国際共同治

験に組み込まれる環境の整備。(2007年度～)

- イ) 国際共同治験が実施できる人材(外国の治験ルールに精通した人材等)の育成のための取組。(2007年度～)
- ウ) 承認審査の際の国際共同治験に関する基本的考え方の作成。(2007年度～)

⑧ アジアとの連携(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 世界同時開発を行うに当たっては、人口・市場規模が大きく、日本人との人種差が欧米人と比べて少ないと考えられるアジア諸国との連携が重要であることから、
 - ア) がん等の重要な疾病に係る医薬品について、アジア諸国との共同研究を推進するための取組を行う。(2007年度～)
 - イ) 東アジアで収集された治験データの評価・活用方法について、共同研究を行う。(2007年度～)
- こと等を進めていく。

⑨ 臨床研究倫理指針の見直し(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」・「新たな治験活性化5か年計画」)

- ・ 現行の「臨床研究に関する倫理指針」については、臨床研究の質を公的に確認する仕組みがない、被験者保護にも欠けるとの指摘があるため、臨床現場の実態等を踏まえつつ、法制面の検討を含め、臨床研究開始時の届出制を導入する等その在り方を見直す必要があり、その検討を行うこととする。(2007年度～)なお、その際には臨床研究の推進を阻害することのないよう留意する。

⑩ 先端医療開発特区における開発段階からの相談(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 「先端医療開発特区」において、厚生労働省・(独)医薬品医療機器総合機構と各複合体及びそれを利用する企業との間において、開発と並行して継続的に協議する場を設け、安全性・有効性の検証方法、リスクの考え方などに関して、意見交換・検討を行う。(2008年度～)
- ・ 各複合体における研究計画に基づき、臨床研究に対する試作品等の提供に関する規制当局との事前の相談を実施する。(2008年度～)

(3) 承認審査の迅速化と質の向上等

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

- ・ 承認審査の迅速化と体制強化のため、(独)医薬品医療機器総合機構を設立、審査員の計画的増員を図るとともに、審査事務処理期間の短縮目標を設定し、透明性の高い審査を実施してきた。また、医療の必要性の高い医薬品の優先的な治験相談も実施している。

- ・ 承認・許可制度について見直し、欧米同様、製品製造の全面的な委受託を可能とした。
- ・ 生物由来・自己由来製品について、品質・安全性の確保のため、薬事法に「生物由来製品」及び「特定生物由来製品」を新たに位置づけ、規制の強化を図る一方、開発段階での指導、相談内容の充実にも努めてきた。
- ・ 市販後の副作用の情報収集・分析、安全確保措置の決定等体制に係る基準を製造販売業の許可要件とした。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 承認審査の迅速化と体制強化（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 薬事制度については、生命科学の進展に応じたレギュラトリー・サイエンスの充実と医薬品の安全性の一層の確保の観点から、審査基準の見直し等制度の改善・充実に努めていくことが重要である。
- ・ 新薬の承認審査に関しては、「ドラッグ・ラグ」の解消が求められているため、2011年度までに開発期間と承認審査期間をそれぞれ1.5年、1.0年短縮することで、ドラッグ・ラグを合計2.5年短縮し、新薬の上市をアメリカ並みとすることを目指すこととする。（2007～2011年度）
- ・ （独）医薬品医療機器総合機構で実施している治験相談や承認審査の体制に関しては人材不足、特に適切で効率的な審査に資する人材や臨床経験のある医師及び生物統計家の不足が指摘されており、治験相談や承認審査の遅延の要因の一つと考えられている。その解消を図り、治験相談や承認審査の迅速化・効率化を図るため、
 - ア） 新薬の審査人員を3年間で倍増する（236名増）、（2007～2009年度）
 - イ） 治験相談の質・量の向上を図る、（～2011年度）
具体的には、すべての相談にタイムリーに対応できるよう体制整備を進める。（2008年度）
 - ウ） 申請の事前評価システム導入、審査チームの増設等による審査の迅速化その他審査業務の充実・改善を図る（その際には、優先審査と通常審査を別のチームで実施する、いわゆる2トラック制度を含め合理的な審査体制の在り方を検討。）、（～2011年度）
 - エ） 民間出身者の活用の在り方について検討する、（2007年度）
 ことが必要である。

② 新たな技術に対応した審査基準（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 医薬品開発を効率的に進めるため、医薬品の疾患に対する有効性や安全性をサロゲートするバイオマーカーや、新たな画像診断手法などの診断技術の研究開発が欧米を中心に進んでおり、これらの新しい医薬品の評価手法など医薬品の開発を効率化・迅

速化する研究をアメリカのFDAは「クリティカルパスリサーチ」と呼んでいる。

- ・ また、ヨーロッパにおいては、非常に低い投与量で薬物のヒト試験を行い、比較的安全性が高く、体内での薬物動態を調べようとするマイクロドージング技術についてヨーロッパ医薬品審査庁では医薬品評価技術としての利用を積極的に検討しており、臨床第Ⅰ相試験で脱落する新薬の数を大幅に減少させ、新薬開発コストの削減につながることを期待されている。ICHにおいても2006年秋から、マイクロドージングに関する議論がなされている。欧米に引き続き、我が国においても、「マイクロドーズ臨床試験の実施に関するガイダンス」を公表する。(2008年度)
- ・ 日本においてもトキシコゲノミクスデータベースなどの国際的に類をみない創薬バイオマーカー研究が進展しているところであるが、そのほかのバイオマーカーや診断技術、さらに、疾患モデル動物等の開発・利用により、医薬品開発プロセスの効率化及び審査における科学的評価の効率化・迅速化を図っていくことが今後の大きな課題であり、これらの新たな技術を用いた製品の評価手法について研究開発を進め、こうした新技術に対応した審査基準の策定を行うことが急務である。(2007年度～)

③ コンパッショネートユース制度(CU制度)の活用

- ・ 緊急時には、国の承認を経ない開発途上の医薬品や外国の承認薬を使用したいという医療現場のニーズが存在すると考えられるため、重篤な疾病かつ代替治療法がない場合等については、限定的に未承認薬の製造、輸入、販売等の禁止の解除(CU制度)の導入)の検討が必要である。
- ・ すでにCU制度を導入しているEUでは、生命に関わるような患者の救済を基本目的としており、他国も含めた承認薬に限らず、治験薬も対象となる。アメリカでは薬事法規に基づき、FDAへの届出をしなければ原則として未承認薬の流通を禁止しているが、一定条件を満たせば、特例的な手続きにより、未承認薬の流通を認めるCU制度を設けている。
- ・ 我が国でも、「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」において、国内で必要な治験を行った上で、国が承認するとの原則を堅持すべきであるとしつつ、CU制度の基本的考え方(対象とすべき未承認医薬品の範囲や対象者)、国・製薬企業・医師の役割分担、医療保険上の取扱い等について、CU制度の導入に向けて検討すべきとされた。(2007年度～)

④ 国際共同治験に対応した承認審査(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

- ・ 国際共同治験の推進にあたっては、国内の治験環境の整備だけでなく、国内外の治験データの有効活用の促進など、承認審査においても国際共同治験に対応した措置を講ずるべきである。具体的には、