

平成30年9月20日

第5回 国立高度専門医療研究センターの
今後の在り方検討会

資料1

臨床研究に関する現状と 最近の動向について

◆ 臨床研究支援体制の変遷

- 健康・医療戦略推進本部の設置
- 日本医療研究開発機構（AMED）の設立・運用開始

◆ 臨床研究の実施体制の整備

- 臨床研究中核病院の制度化
- 臨床研究法の成立・施行

◆ CINを活用した臨床研究体制

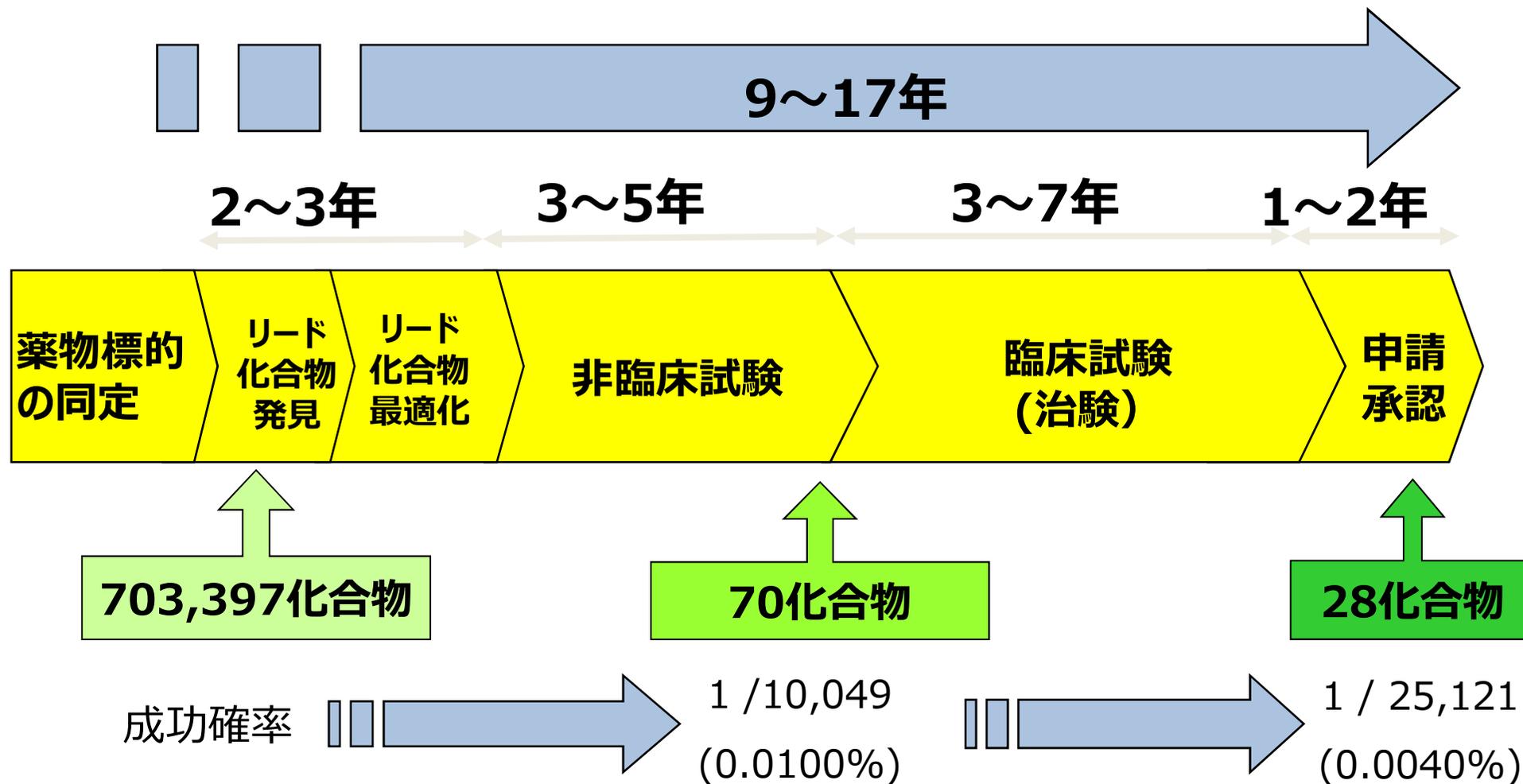
- CIN-患者レジストリの活用による臨床研究の推進
- リアルワールドデータの活用促進

◆ 臨床研究支援体制の変遷

- 健康・医療戦略推進本部の設置
- 日本医療研究開発機構（AMED）の設立・運用開始

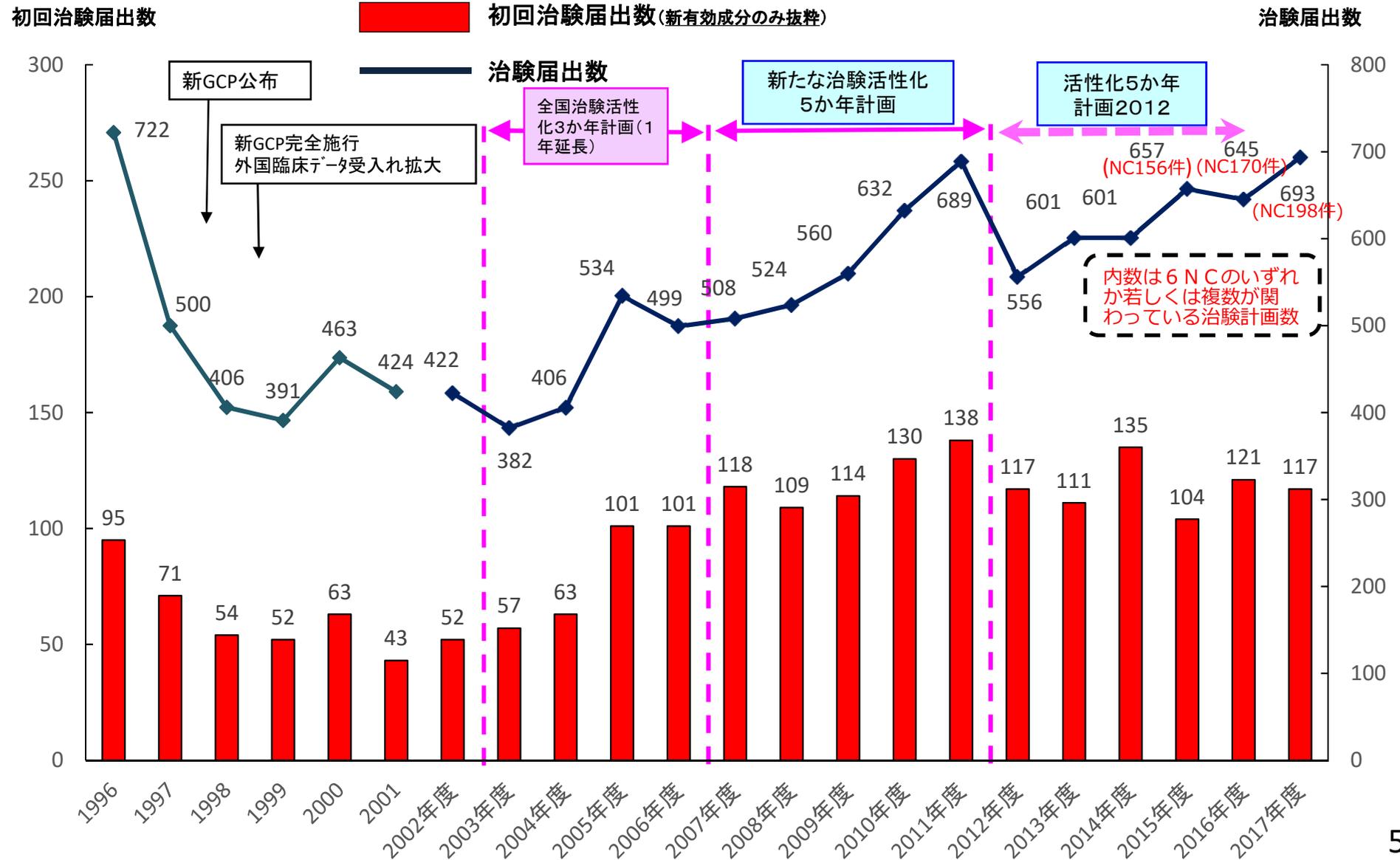
医薬品開発に要する期間と成功確率

- 医薬品の開発には10年以上の時間と数百億～数千億円規模の費用が必要。
- 成功確率は年々低下（10年前:1/1.6万→現在:1/2.5万）し、難易度が上昇。



出典：日本製薬工業協会調べ（2011～2015年度）

薬物の治験計画届出数の推移



1. 「日本再興戦略」改訂2014(平成26年6月閣議決定・抜粋)

国民の「健康寿命」の延伸

(医療分野の研究開発の司令塔を創設)

- 医療分野の研究開発の司令塔として健康・医療戦略推進本部及び(独)日本医療研究開発機構を創設する法案成立。
- 医薬品や医療機器などの医療分野の研究開発を各省連携により推進していく体制の構築。

2. 「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)

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の総合活用、ARO※機能の構築による臨床研究、治験の推進。 ※Academic clinical Research Organization
 - 国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施できる仕組みの構築。

健康・医療戦略の推進体制

健康・医療戦略推進本部

本部長：内閣総理大臣
 副本部長：内閣官房長官及び健康・医療戦略担当大臣
 本部員：その他国務大臣

- ・健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ・医療分野の研究開発の司令塔機能の本部の役割
 - 医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
 - 医療分野の研究開発関連予算の総合的な予算要求配分調整 等

政策的助言

本部令第2条

健康・医療戦略参与会合

医療関係機関・産業界等の有識者
 ・健康・医療分野の成長戦略
 ・医療分野の研究開発の出口戦略
 等に関する専門的助言

専門的調査

本部令第1条

健康・医療戦略推進専門調査会

医療分野の研究開発に関する専門家で構成
 ・医療分野研究開発推進計画の作成及び
 実施の推進に関する調査・検討

健康・医療戦略推進会議

本部令第2条

議長：健康・医療戦略担当大臣
 議長代行：健康・医療戦略担当大臣を補佐する内閣府副大臣
 副議長：健康・医療戦略担当大臣を補佐する内閣府大臣政務官及び
 内閣総理大臣補佐官（健康・医療戦略室長）
 構成員：関係府省局長クラス

創薬支援ネットワーク
協議会

次世代医療機器
開発推進協議会

ゲノム医療実現
推進協議会

次世代医療ICT
基盤協議会

健康・医療戦略
ファンドタスクフォース

次世代ヘルスケア
産業協議会

医療国際展開
タスクフォース

内閣官房 健康・医療戦略室

➢ 事務局機能

※次世代医療ICT基盤協議会の事務局機能は健康・医療戦略室とIT総合戦略室が担う

※次世代医療機器開発推進協議会、健康・医療戦略ファンドタスクフォース及び次世代ヘルスケア産業協議会の事務局機能は経済産業省が担う

平成30年度 医療分野の研究開発関連予算のポイント

■ 健康・医療戦略推進本部の下で各省が連携し、医療分野の研究開発を政府一体で推進。
 健康・医療戦略※1、医療分野研究開発推進計画※2の実現を図る。 ※1:平成26年7月閣議決定、平成29年2月一部変更
 ※2:平成26年7月本部決定、平成29年2月一部変更

	30年度決定	29年度当初	対前年度	
			増▲減額	増▲減率
日本医療研究開発機構対象経費	1,266億円 (文603、厚475、経183 等)	1,265億円 (文603、厚475、経183 等)	+1.0億円	+0.1%
インハウス研究機関経費	759億円 (文260、厚414、経85)	777億円 (文253、厚435、経88)	▲17.9億円	▲2.3%

- 上記に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費(555億円)」の一部(175億円)を医療分野の研究開発関連の調整費として充当見込み。
- この他、平成29年度第1次補正予算にAMED対象経費として325億円(内300、厚25等)、インハウス研究機関経費として6億円(厚)を計上。
- 29年度当初予算のインハウス研究機関経費には、国立医薬品食品衛生研究所に係る移転経費(22億円)が含まれている。

※ 精査により計数に異動が生じる場合がある。

9つの連携分野

基礎から臨床までの研究開発を一貫して推進し、その成果を円滑に実用化につなげるとともに、それら研究開発の環境整備を総合的、効果的に行うことを目的としている。

1. 医薬品・医療機器開発への取組

1. オールジャパンでの医薬品創出
2. オールジャパンでの医療機器開発

2. 臨床研究・治験への取組

3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想
5. 疾病克服に向けたゲノム医療実用化プロジェクト

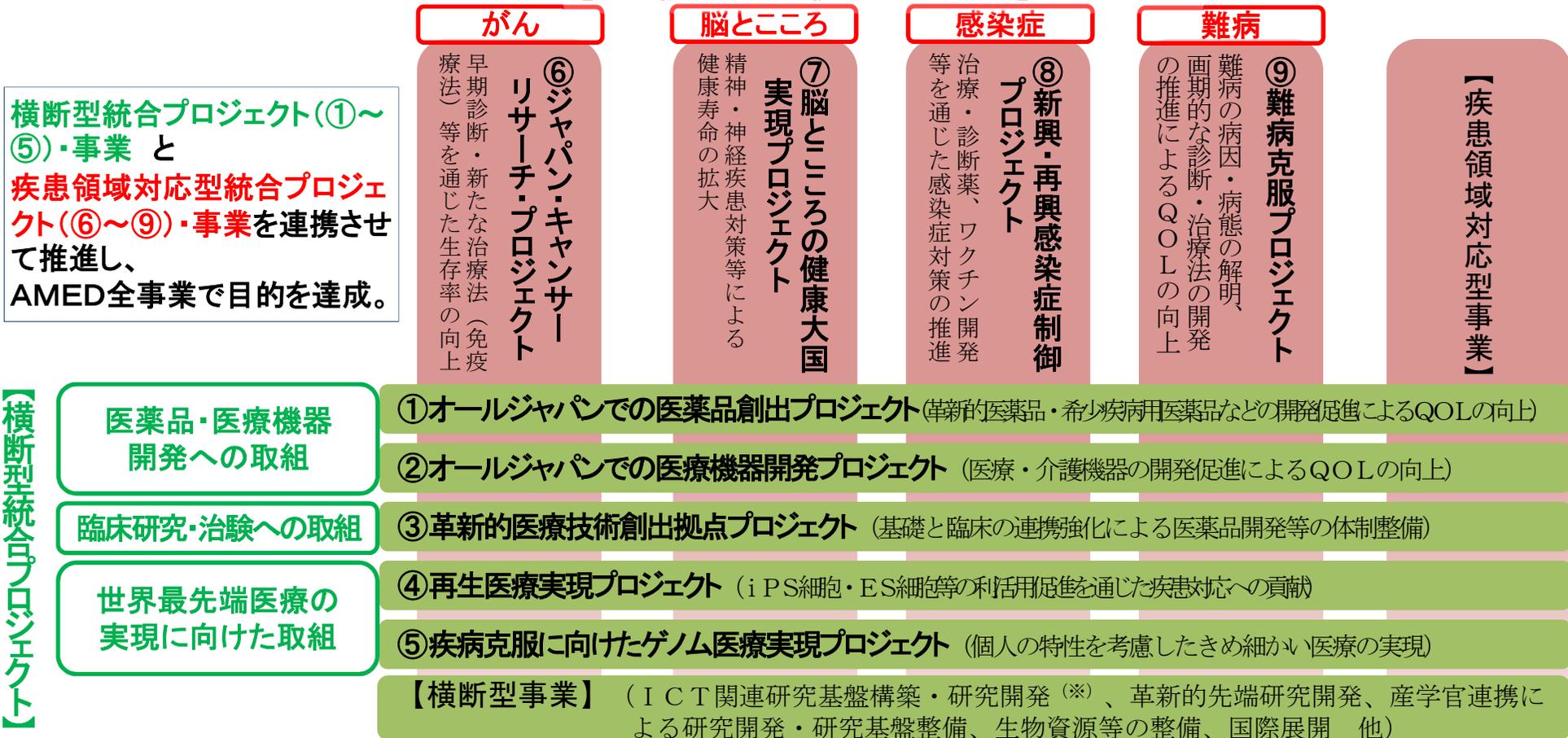
4. 疾病領域ごとの取組

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト
7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト
8. 新興・再興感染症制御プロジェクト
9. 難病克服プロジェクト

「医療分野研究開発推進計画」(平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定)の一部変更について

- 9つの「各省連携プロジェクト」を、5つの「横断型」と4つの「疾患領域対応型」に再整理し、相互関係を明確化することにより、一層統合的で効果的な取組に繋げる。
- AMEDが今後さらに注力すべき役割を明確化(専門家を活用した課題選定能力の強化、研究開発マネジメントに資するデータベースの構築、海外事務所も活用した国際共同研究等の推進、産学連携による研究開発の促進等)。
- 現行のKPIは、①2016年3月までと、②2020年頃までの2段階で設定。今後は②のKPIについて取り組むことから、KPIの期限を「2020年3月まで」と明確化するとともに、内容を見直し(項目追加、評価基準明確化等)。あわせて、KPIの期限を取り込むため、計画の対象期間を1年間延長。

【疾患領域対応型統合プロジェクト】



成果目標(KPI)を設定し、1人のPDの下で複数の事業を統合的に推進する必要があるものを「統合プロジェクト(①～⑨)」としている。

※ 健康・医療戦略推進本部の下の次世代医療ICT基盤協議会での具体的検討等を踏まえる。

◆ 臨床研究の実施体制の整備

- 臨床研究中核病院の制度化
- 臨床研究法の成立・施行

臨床研究中核病院の医療法での位置づけについて

概要

日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験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る**。

※ 臨床研究は、医療行為を行いながら、医療における疾病の予防、診断並びに治療の方法の改善、疾病の原因及び病態の理解に関する研究を同時に行うものであり、臨床研究の推進は、良質な医療の提供に資するものであるため、医療法の趣旨に合致する。

目的

質の高い臨床研究を実施する病院を厚生労働大臣が臨床研究中核病院として承認し、名称を独占することで、

- 臨床研究中核病院が、他の医療機関の臨床研究の実施をサポートし、また、共同研究を行う場合にあっては中核となって臨床研究を実施することで、他の医療機関における臨床研究の質の向上が図られる
- 臨床研究に参加を希望する患者が、質の高い臨床研究を行う病院を把握した上で当該病院へアクセスできるようになる
- 患者を集約し、十分な管理体制の下で診療データの収集等を行うことで、臨床研究が集約的かつ効率的に行われるようになる

ことにより、質の高い臨床研究を推進し、**次世代のより良質な医療の提供を可能にする**。

内容

一定の基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認する。

【承認基準の例】

- 出口戦略を見据えた研究計画を企画・立案し、国際水準（ICH-GCP準拠）の臨床研究を実施できること
- 質の高い共同臨床研究を企画・立案し、他の医療機関と共同で実施できること
- 他の医療機関が実施する臨床研究に対し、必要なサポートを行うことができること 等

※ なお、医学の教育又は研究のため特に必要があるときに、遺族の承諾を得た上で死体の全部又は一部を標本として保存できることを定めた死体解剖保存法第17条の規定に臨床研究中核病院を追加する。

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）。
- 一定の基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認する。

※平成30年4月現在で、下記の12病院承認

- ・ 国立がん研究センター中央病院
- ・ 国立がん研究センター東病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 千葉大学医学部附属病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 京都大学医学部附属病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 岡山大学病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 慶應義塾大学病院
- ・ 北海道大学病院

<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。



臨床研究中核病院の承認要件について〔概要〕

医療法第四条の三に規定されている臨床研究中核病院の承認要件について、「能力」、「施設」、「人員」の観点から検討。

能力要件 (四条の三第一項第一号～第四号,第十号)			施設要件 (四条の三第一項第五号、六号、八号、九号)	人員要件 (四条の三第一項第七号)
実施体制	実績(別紙参照)	(参考)法律上の規定		
<p>○不適正事案の防止等のための管理体制の整備</p> <ul style="list-style-type: none"> ・病院管理者の権限及び責任を明記した規程等の整備 ・病院管理者を補佐するための会議体の設置 ・取組状況を監査する委員会の設置 <p>* 上記の他、申請時に過去の不適正事案の調査、再発防止策の策定等の義務づけ。</p> <p>○以下の体制について担当部門・責任者の設置、手順書の整備等を規定</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床研究支援体制 ・データ管理体制 ・安全管理体制 ・認定臨床研究審査委員会での審査体制 ・利益相反管理体制 ・知的財産管理・技術移転体制 ・国民への普及・啓発及び研究対象者への相談体制 	<p>○自ら行う特定臨床研究の実施件数</p> <p>○論文数</p>	<p>I 特定臨床研究に関する計画を立案し実施する能力</p>	<p>○診療科</p> <ul style="list-style-type: none"> ・10以上 <p>○病床数</p> <ul style="list-style-type: none"> ・400以上 <p>○技術能力について外部評価を受けた臨床検査室</p> <p>※特定機能病院の要件を参考に設定。</p>	<p>○臨床研究支援・管理部門に所属する人員数</p> <ul style="list-style-type: none"> ・医師・歯科医師 5人 ・薬剤師 10人 ・看護師 15人 ・臨床研究コーディネーター 12人 ・データマネージャー 3人 ・生物統計家 2人 ・薬事承認審査機関経験者 1人 <p>※平成23年度に選定された5拠点の整備状況を参考に設定。</p>
	<p>○主導する多施設共同の特定臨床研究の実施件数</p>	<p>II 他の医療機関と共同して特定臨床研究を行う場合に主導的な役割を果たす能力</p>		
	<p>○他の医療機関が行う特定臨床研究に対する支援件数</p>	<p>III 他の医療機関が行う特定臨床研究の援助を行う能力</p>		
	<p>○特定臨床研究を行う者等への研修会の開催件数</p>	<p>IV 特定臨床研究に関する研修を行う能力</p>		

臨床研究法（平成29年法律第16号）の概要

目的

臨床研究の実施の手続、認定臨床研究審査委員会による審査意見業務の適切な実施のための措置、臨床研究に関する資金等の提供に関する情報の公表の制度等を定めることにより、臨床研究の対象者をはじめとする国民の臨床研究に対する信頼の確保を図ることを通じてその実施を推進し、もって保健衛生の向上に寄与することを目的とする。

内容

1. 臨床研究の実施に関する手続

(1) 特定臨床研究（※）の実施に係る措置

- ① 以下の特定臨床研究を実施する者に対して、モニタリング・監査の実施、利益相反の管理等の実施基準の遵守及びインフォームド・コンセントの取得、個人情報保護、記録の保存等を義務付け。
- ② 特定臨床研究を実施する者に対して、実施計画による実施の適否等について、厚生労働大臣の認定を受けた認定臨床研究審査委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出することを義務付け。
- ③ 特定臨床研究以外の臨床研究を実施する者に対して、①の実施基準等の遵守及び②の認定臨床研究審査委員会への意見聴取に努めることを義務付け。

※ 特定臨床研究とは

- ・ 薬機法における未承認・適応外の医薬品等の臨床研究
- ・ 製薬企業等から資金提供を受けて実施される当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究

(2) 重篤な疾病等が発生した場合の報告

特定臨床研究を実施する者に対して、特定臨床研究に起因すると疑われる疾病等が発生した場合、認定臨床研究審査委員会に報告して意見を聴くとともに、厚生労働大臣にも報告することを義務付け。

(3) 実施基準違反に対する指導・監督

- ① 厚生労働大臣は改善命令を行い、これに従わない場合には特定臨床研究の停止等を命じることができる。
- ② 厚生労働大臣は、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のために必要な場合には、改善命令を経ることなく特定臨床研究の停止等を命じることができる。

2. 製薬企業等の講ずべき措置

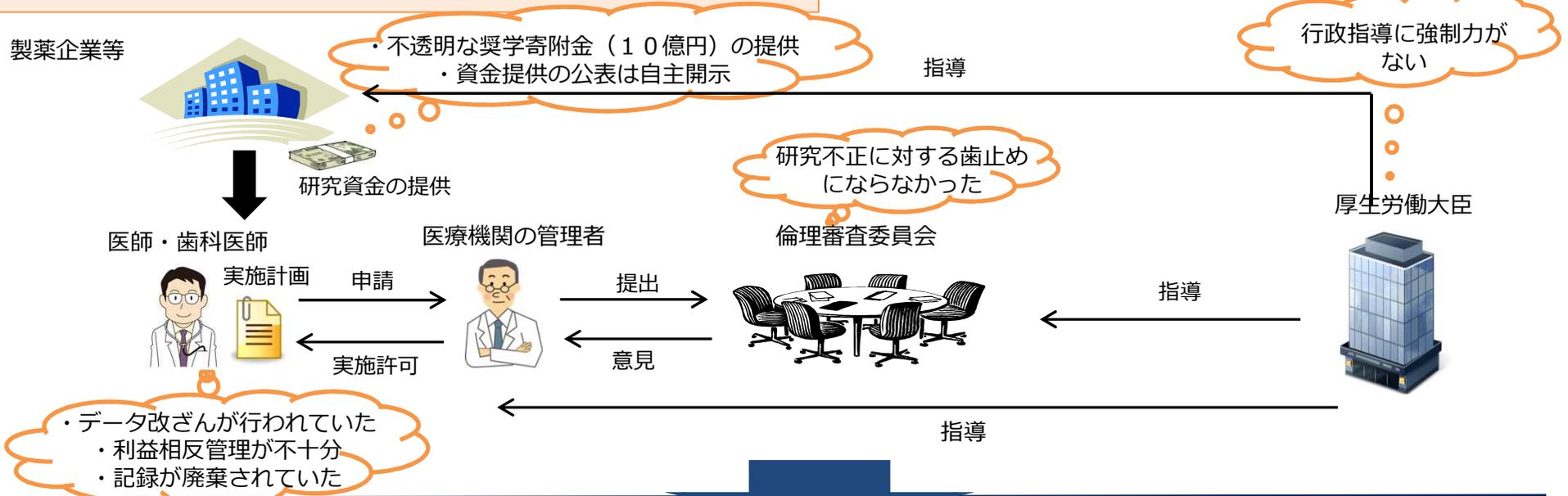
- ① 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に対して資金を提供する際の契約の締結を義務付け。
- ② 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に関する資金提供の情報等（※詳細は厚生労働省令で規定）の公表を義務付け。

施行日

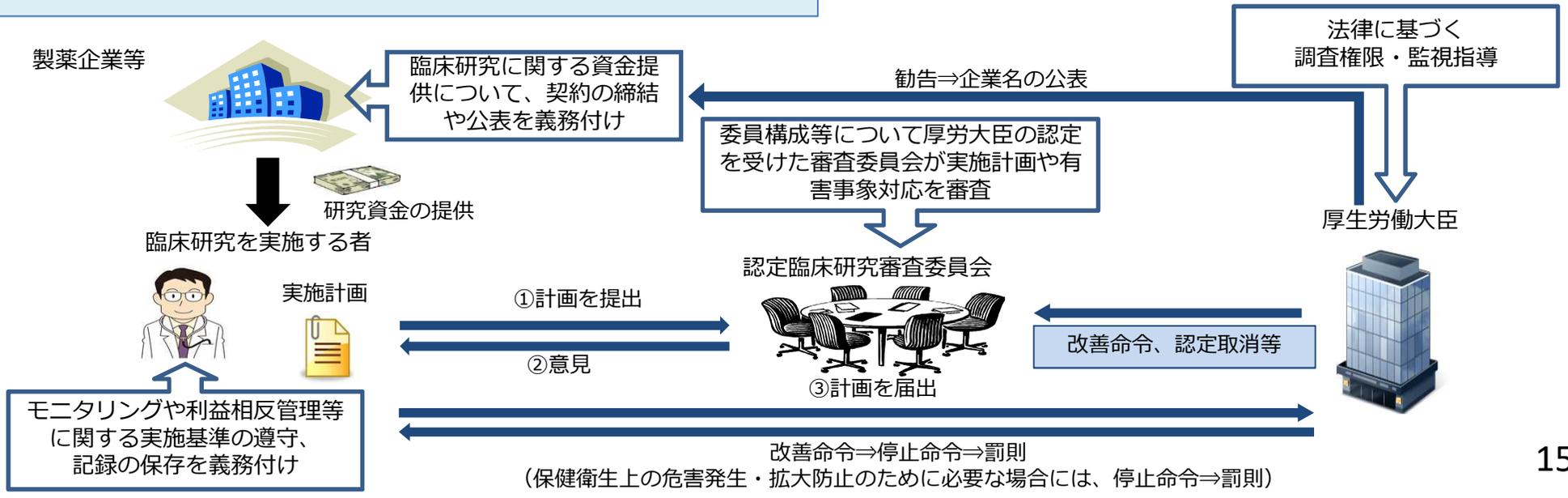
公布の日（平成29年4月14日）から起算して1年を超えない範囲内において政令で定める日・・・平成30年4月1日

法制度による見直しの考え方

【見直し前】：倫理指針に基づく実施・指導体制



【見直し後】：法律に基づく実施・指導体制



◆ CINを活用した臨床研究の推進

- CIN-患者レジストリの活用による臨床研究の推進
- リアルワールドデータの活用促進

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**

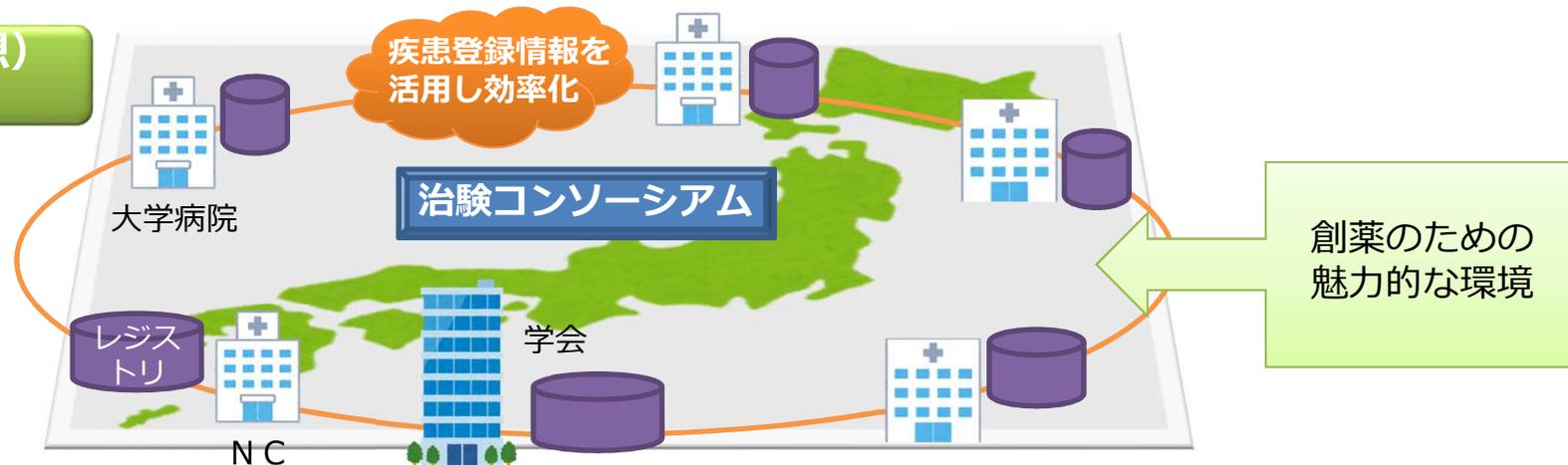
CIN構想

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

- 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



疾患登録システム（レジストリ）の活用の可能性

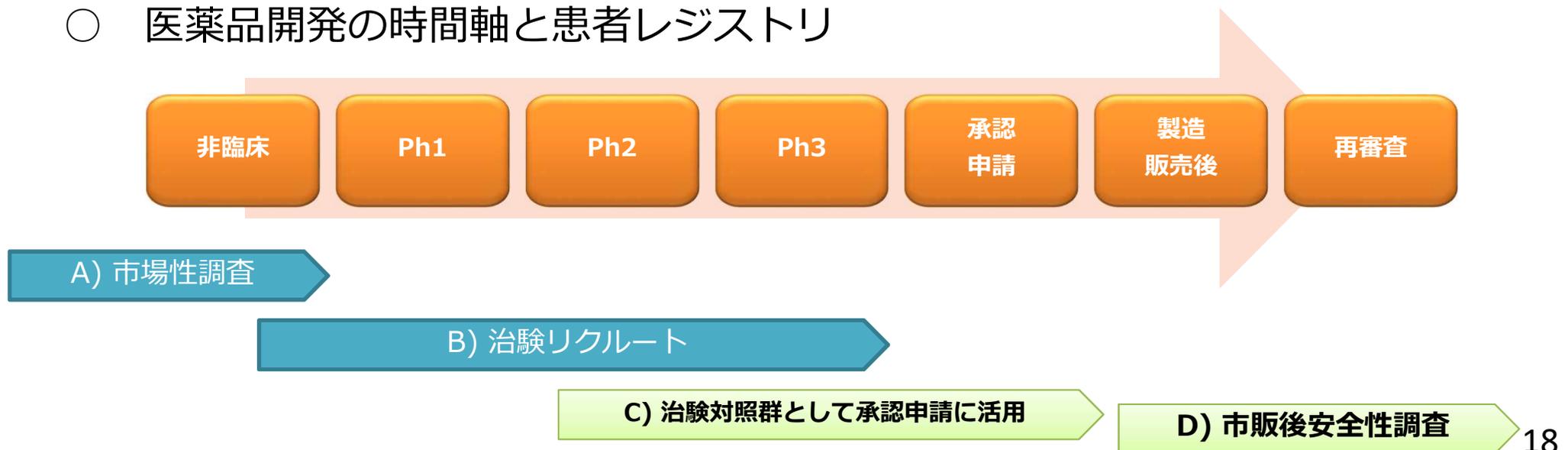
○ 患者レジストリの分類（企業の活用方法として主に下記の4つを想定）

- 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



疾患登録システム（患者レジストリ）の今後のさらなる活用促進

医療技術実用化総合促進事業（一部増額）

平成31年度概算要求：25.9億円（平成30年度予算：23.5億円）

※AMED（日本医療研究開発機構）事業

事業の背景

- 診療情報や疾患登録システム（患者レジストリ）の情報など、リアルワールドデータを活用した医薬品・医療機器等の研究開発・実用化の推進については、アカデミアや業界等から強い要望がある。
※リアルワールドデータ：臨床研究、治験等の研究の枠組み以外の、実際の医療で得られた実臨床データ（患者情報、疾患・症状に関する情報、処置・投薬に関する情報、検査データ等）
- しかしながら、実際の活用には、環境整備や運用などにおける医療関係者の負担が大きく、データの品質（信頼性）や標準化にも課題。診療等で得られた医療情報を標準化し、自動的に集積する体制の整備が必要。
- 他方、医薬品の安全対策の高度化を目的とする医療情報データベース（MID-NET）事業（平成30年4月に本格運用開始）では、その準備段階から、診療等のデータの取扱い等における上のような課題を解決するための経験が蓄積。
- 本事業中のメニューの一つとして、**新たに、MID-NETの手法を活用したデータ標準化等の体制を整備し**（データ品質管理・標準化の担当者の育成等）、**医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院での、疾患登録情報等のリアルワールドデータ活用を推進。**

治験・臨床研究をはじめとする医薬品・医療機器の研究開発の効率化を図り、クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）構想を一層推進する。

【参考】骨太方針2018（平成30年6月閣議決定）：（医療・介護サービスの生産性向上）クリニカル・イノベーション・ネットワークとPMDAの医療情報データベース（MID-NET）を連携させ、治験・臨床研究や医薬品の開発、安全対策等に活用する。

事業イメージ



効果

- 診療で得られた医療情報（リアルワールドデータ）等が、負担の少ない形で標準化される体制（人材）が確立
- 研究前の予備的検討や、患者情報等の分析が容易になるなど、質の高い治験・臨床研究等を実施する基盤が整備され、治験・臨床研究等の信頼性が向上
- 疾患登録システム（患者レジストリ）の構築の際、医療関係者の負担が減り、詳細データの登録等にも注力可能