

革新的医薬品の迅速な導入について②

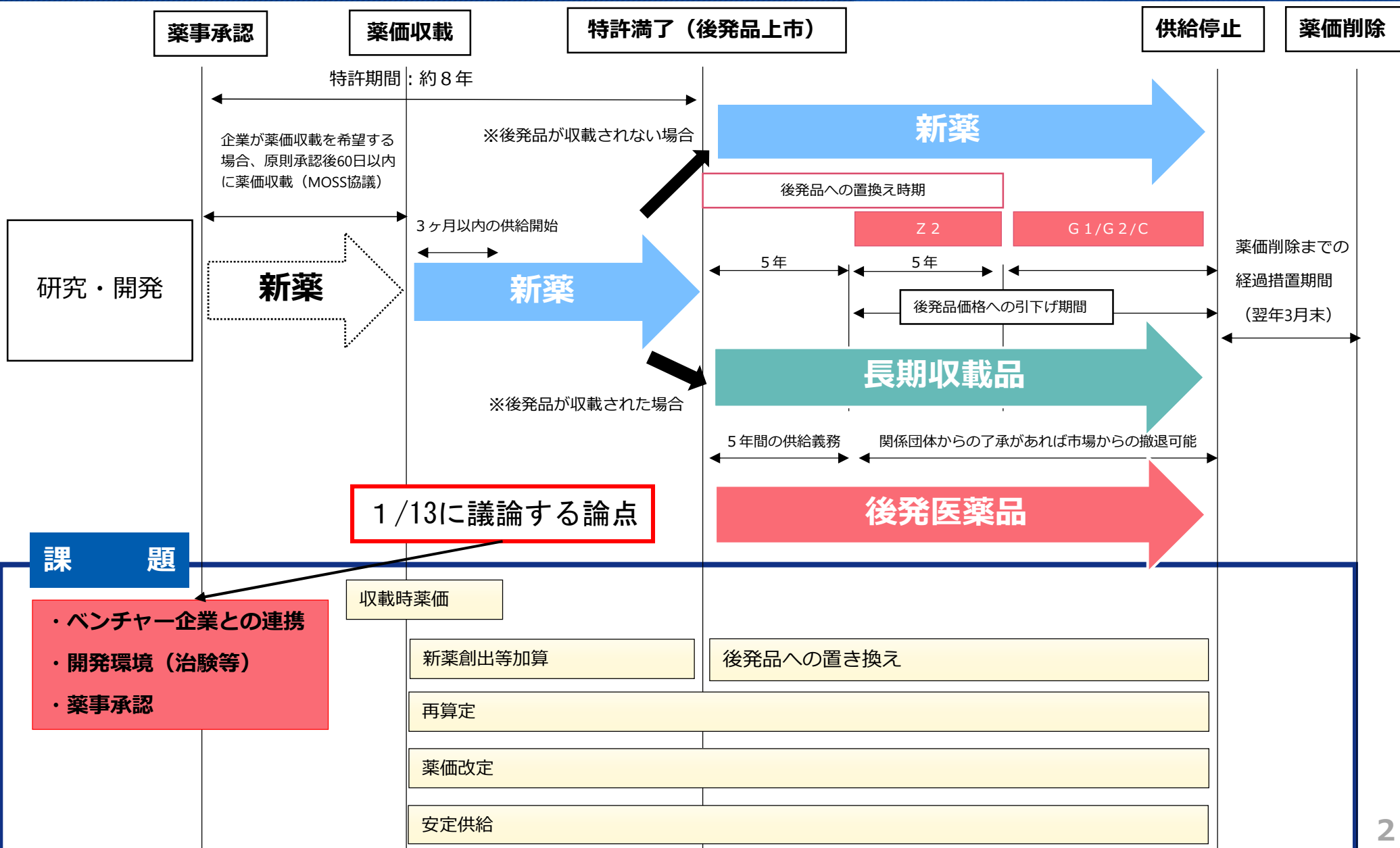
第7回 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会

厚生労働省医政局

医薬産業振興・医療情報企画課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

医薬品のライフサイクル及び課題



薬事承認

薬価収載

特許満了 (後発品上市)

供給停止

薬価削除

特許期間: 約 8 年

企業が薬価収載を希望する場合、原則承認後60日以内に薬価収載 (MOSS協議)

※後発品が収載されない場合

新薬

後発品への置換え時期

Z 2

G 1/G 2/C

研究・開発

新薬

3ヶ月以内の供給開始
新薬

5年

5年

後発品価格への引下げ期間

薬価削除までの経過措置期間 (翌年3月末)

※後発品が収載された場合

長期収載品

5年間の供給義務

関係団体からの了承があれば市場からの撤退可能

1/13に議論する論点

課題

- ベンチャー企業との連携
- 開発環境 (治験等)
- 薬事承認

収載時薬価

新薬創出等加算

後発品への置き換え

再算定

薬価改定

安定供給

革新的な医薬品の迅速な導入について

論点

(1) 革新的な医薬品の迅速な導入について

革新的な医薬品については、患者視点に基づいた迅速な導入が図られるよう議論を行う必要がある。

① 薬価制度を起因とする課題

- 革新的医薬品の国内への迅速な導入を促進するため、企業における予見性の向上を図る観点から、現在の新薬創出等加算や市場拡大再算定の運用や制度の在り方、経営や投資計画に影響を与える薬価改定ルールの改定頻度についてどう考えるべきか。
- 医薬品の開発コストに加え、再生医療等製品を含め、新規モダリティ（治療手段）等のイノベーションや医薬品としての価値を踏まえた適切な薬価の算定を行うためには、どのような考え方・方法により評価を行うことが望ましいか。

② 産業構造やビジネスモデルを起因とする課題

- 長期収載品のカテゴリや製造方法等の実態を踏まえつつ、先発企業が長期収載品から収益を得る構造から脱却し、新薬の研究開発への再投資を促進するための方策について、どのような取組が必要か。
- 今後の成長が期待されているアカデミア・バイオベンチャー企業等におけるシーズの開発・導出を促進するためには、どのような取組が必要か

1/13に議論

有識者検討会での主な意見

【企業の予見性を確保することが困難な制度】

- 諸外国と比べて特許期間中にもかかわらず新薬の薬価が早期に下落していく状況は、市場の魅力度の観点から他国に見劣りし、開発における日本の優先順位にも悪影響を与えている。また、研究開発投資を十分に回収できない状況になりつつある。
- 市場拡大再算定は再算定対象品目の類似薬も道連れとなる仕組みがあるが、これは不合理であり、予見性も欠いている。また、不透明かつ複雑な薬価算定ルールや頻回のルール変更が制度を不確実にしており、経営や投資計画が立てられないのではないかと懸念されている。

【欧米に比べ低い薬価が算定される可能性がある制度】

- 場合によっては欧米主要国と比較して著しく低い薬価となることが課題。現在の原価計算方式による価格算定は、適切にイノベーションが評価されているとは言いがたく、より多様な価値を評価する算定方式が必要ではないかと懸念されている。

【先発企業のビジネスモデル上の課題】

- 先発企業は新薬の研究開発に重点化すべきであるが、後発品の使用促進が進んだ現状においても、長期収載品による収益に依存したビジネスモデルから脱却しきれしていないのではないかと懸念されている。
- 近年、欧米で開発される新薬の多くはアカデミアやベンチャー企業がシーズを創出し、実用化につなげるエコシステムが確立しているが、日本では創薬ベンチャー企業が十分には育っておらず、長期的な育成、支援が必要であると懸念されている。

- 革新的創薬に向けた取組みの状況

革新的医薬品創出に向けたベンチャー企業支援に係る取組の現状（概要）

- ・ 医薬品産業ビジョン2021等を踏まえ、ベンチャー企業の支援を各府省で取り組んでいる。

医薬品産業ビジョン2021(令和3年9月13日策定)

- ・ 「医薬品産業ビジョン2021」において、医薬品産業政策が目指す大きな方向性の1つを革新的創薬とし、オープンイノベーションコミュニティづくりを中心とした研究開発環境の整備等といった具体的な施策を各府省で進めていくこととし、当該ビジョンのフォローアップ等のため官民で実務レベルでの対話を進めることとした。

<医薬品産業ビジョン2021(抄)>

- これらの変化を踏まえ、上記のビジョンの実現を図るため、以下の3点に焦点を当て、「経済安全保障」の視点を加えた産業政策を展開。
 - ① **革新的創薬；アカデミア・ベンチャーのシーズを積極的に導入しアンメット・メディカル・ニーズを充足**
 - ② 後発医薬品；医療上の必要性が向上している実態を踏まえ、品質確保と安定供給を徹底
 - ③ 医薬品流通；必要な時に必要な医薬品にアクセスできる環境のため、安定供給と健全な市場形成を実現
- (中略)
- また、本ビジョンのフォローアップと医薬品産業に対する国民の理解を得ていくため、(中略)実務レベルでの官民の対話と情報の発信を継続的に実施。

革新的医薬品創出のための官民対話(令和4年6月14日開催)

- ・ 令和4年6月14日に開催した「革新的医薬品創出のための官民対話」では、それまでの実務者での議論を踏まえ、革新的創薬に向けた取組の方向性について報告した。
- ・ この中で、革新的創薬に向けては、製薬企業、アカデミア、ベンチャー企業の協業によるエコシステムが必要不可欠であり、エコシステムの原型となるコミュニティの形成促進等を検討するとともに、こうした取組と併せて、医薬品研究開発を効率的に行うことができる環境整備の取組を継続することも重要であるとし、医療情報のデータ基盤充実・活用環境の整備等について検討・実施していくこととした。

<革新的医薬品創出のための官民(令和4年6月14日開催)資料(抄)>

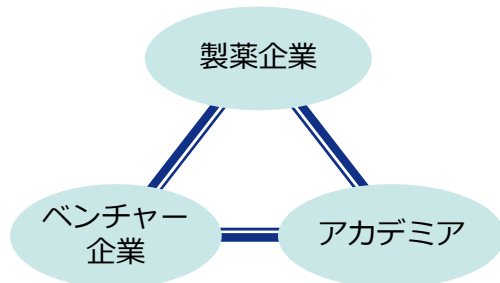
- こうした取組と併せて、**医薬品研究開発を効率的に行うことができる環境整備の取組を継続することも重要**であり、
 - ・ 医薬品のライフサイクルの各段階で活用が期待される**医療情報についてはデータ基盤の充実や活用できる環境整備**、
 - ・ 医薬品の上市に当たって必要な**臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化**、について、検討・実施していく。

革新的創薬に向けた足下の取組について

<革新的創薬に向けた足下の取組の方向性>

- ① 医薬品研究開発の複雑性・専門性の高まりから、我が国の創薬力の維持・向上や国民への革新的な医薬品の供給継続には、協業によりイノベーションが創出される「エコシステム」が必要不可欠。
- エコシステムにおける協業関係は、医薬品関連分野以外も含めて幅広いものが想定される。しかし、その根幹は医薬品に直接関わる製薬企業、アカデミア、ベンチャー企業であり、現時点では、これらの者の中で十分な協業関係を築けているとはいえない我が国の現状を考慮すると、まずはその関係の深化を図りつつ、エコシステムの拡張の方向性を引き続き検討する必要がある。
- ② また、従来、我が国は化成品分野で強みを有してきたが、今後は、成長領域として重要性が増すバイオ医薬品、その革新性が注目される再生医療等製品の分野での進展が求められる状況にあり、製造設備・人材育成などを通じて国内基盤を構築していく。
- ③④ こうした取組と併せて、医薬品研究開発を効率的に行うことができる環境整備の取組を継続することも重要であり、
 - ・ 医薬品のライフサイクルの各段階で活用が期待される医療情報についてはデータ基盤の充実や活用できる環境整備、
 - ・ 医薬品の上市に当たって必要な臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化、について、検討・実施していく。

①創薬エコシステム構築促進



②バイオ医薬品・再生医療等製品の進展

③医療情報のデータ基盤充実・活用環境の整備

④臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化

創薬エコシステム構築促進

目指す姿と解決すべき課題

- 医薬品研究開発の複雑性・専門性の高まりに対応できるような協業によるイノベーションが創出される「エコシステム」を構築し、我が国の創薬力の維持・向上や国民への革新的な医薬品の供給継続につなげる。
- そもそもエコシステムの根幹となる製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業の協業関係が十分に構築されていない。
- 研究開発の初期段階を担っているアカデミア・ベンチャー企業は、必要な資金の円滑な調達などの課題を抱えている。

対応の方向性

<エコシステムの原型となるコミュニティの形成>

- 特定のテーマに関心がある国内外の製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業が、気軽に、かつ、定期的に参集できるような場の構築などを通じたコミュニティの形成促進を検討。

<アカデミア・ベンチャーに対する資金面の支援>

- 複数の企業とアカデミアが連携し、基金（国費）と民間資金等からなる複数年度（最大5年間）のマッチングファンドによる研究開発支援を実施。
- 創薬に特化したハンズオン支援（ベンチャーに対する役職員の派遣や支援事業者との面談による助言・提言・指導等）による事業化のサポートを行う機能を有するものとしてAMEDの認定を受けたベンチャーキャピタル（VC）による一定以上の出資を要件として、創薬ベンチャーが実施する実用化開発等を支援。

医療系ベンチャー振興のための取組

- 医薬品・医療機器分野のベンチャー（医療系ベンチャー）を育てる好循環（ベンチャーのエコシステム）の確立に向け、「**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懇談会**」を平成27年12月より開催し、平成28年7月に**報告書**が取りまとめられた。
- 報告書における提言内容を実行するため、体制の整備や予算等の措置を行い、医療系ベンチャーを支援するための各種の取り組みを推進している。

報告書における振興方策のための3つの柱と、具体的な取り組み

エコシステムを醸成する制度づくり	エコシステムを構成する人材育成と交流の場づくり	「オール厚労省」でのベンチャー支援体制の構築
<ul style="list-style-type: none"> ● 革新的医薬品の早期承認制度の導入（平成29年7月） ● 革新的医療機器の早期承認制度の導入（平成29年10月） ● 革新的医療機器・再生医療等製品の承認申請にかかる相談料・審査手数料に係る減免措置を実施（平成29年度～） 	<ul style="list-style-type: none"> ● 平成30年2月に「医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDISO）」を立ち上げ、アカデミアやベンチャー企業が有するシーズを実用化につなげるための相談対応など総合的な支援を実施 ● 大手企業等のキーパーソンとベンチャーのマッチングに資するイベント「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）」の開催（平成29年から5回実施） 	<ul style="list-style-type: none"> ● 医政局経済課に「ベンチャー等支援戦略室」を設置（平成29年4月） ● PMDAに「イノベーション実用化連携相談」を開設（平成30年4月） ● 臨床研究中核病院にベンチャー支援部門を設置（令和4年4月時点で14病院） ● ベンチャー支援施策の有効性を検証するための会議体である「医療系ベンチャー振興推進会議」を定期的開催 等

振興方策を強化するための取組（令和4年度）

1. 医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDISO）の拡充

知財管理、薬事申請、経営管理、海外展開等、医療系ベンチャーが各開発段階で抱える課題について相談対応や事業戦略の策定等による支援を行うとともに、医療系ベンチャーへのアカデミアや大手企業からの人材流動を促す事業を実施することにより、医療系ベンチャーのより一層の振興を図る。

2. 「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）」の開催

引き続き、パシフィコ横浜における「BioJapan」との共同によるマッチングイベントを開催し、ブースの出展。シンポジウムの開催、ベンチャー支援プログラムの実施等により、ベンチャーと大手企業や支援機関等とのマッチングの更なる推進を図る。

革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）の概要（AMED）

■ 事業概要

実現可能性の予測が困難な医療分野の研究開発において、新たなニーズや研究開発機運が生じた場合等に機動的に産学官共同による研究開発を開始することが重要。

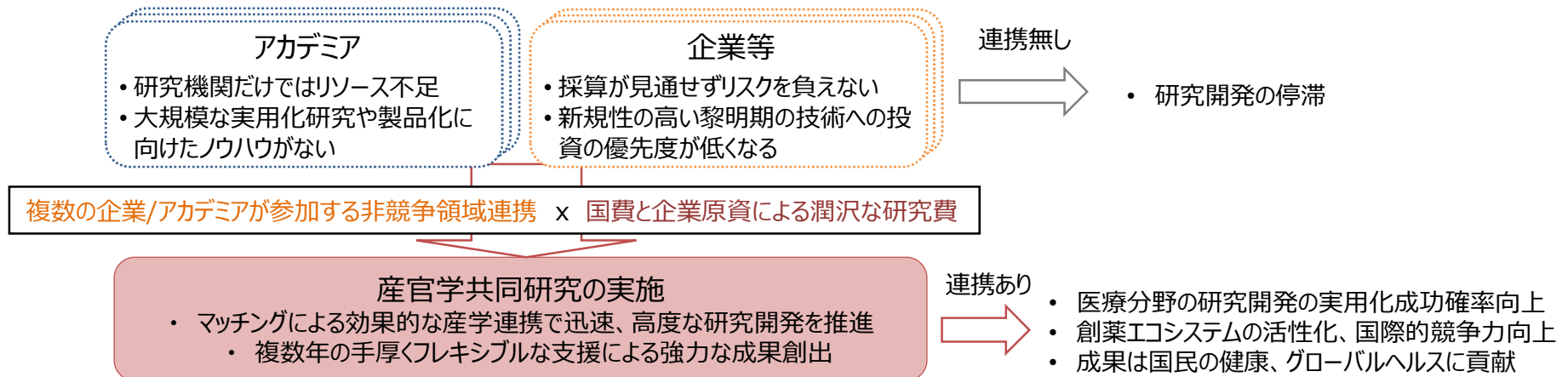
そのため、国費と企業原資の研究費を組み合わせることにより、産学官共同による医療上の必要性が高く特に緊要となった医薬品・医療機器等の研究開発を推進する。

■ 背景

- 医療上の必要性、緊急性が高い場合であっても、事業性等がハードルとなり、単独の企業では取り組めない研究領域が存在する。またアカデミアは保有する技術を迅速に実用化する経験が不足している。
- 近年、アカデミアやベンチャー由来のシーズ・技術が企業との連携で実用化された例は、重要な医療ニーズを満たす医薬品等に繋がっており、産学連携が機動的に運営可能な体制が重要であることが改めて明確となった。

■ 期待される効果

- 単独のアカデミアや企業では取り組みにくい領域（患者数が限られる、異業種の連携が必要である等の理由で、基礎研究や創薬技術が十分な成果につながっていない領域等）に対して、複数年にわたる非競争領域での幅広い産学連携を通じ、世界最高水準の医療提供に向けた革新的なアプローチ（例えば、診断技術と治療薬の同時開発といった一気通貫のマネジメント）を推進し、ニーズに応える医薬品、医療機器等の研究開発を推進できる。



創薬ベンチャーの育成に関する取組み（経済産業省・厚生労働省）

日本における創薬ベンチャーエコシステム構築に向けた対応について

- 世界的に新たな医薬品の開発は大学発のシーズに基づく創薬ベンチャーにシフトしてきているが、米国に比べて脆弱な日本の創薬・ベンチャーエコシステムでは数千万円～数億円規模のVC出資を集めるのがやっとの状況であり、日本の創薬ベンチャーが必要な資金を円滑に調達するのは困難。
- 創薬ベンチャーは、①開発期間が長い、②開発資金が多額、③成功率が低い、④薬事承認されないと売上げがないなど、ビジネスモデルが特殊で事業化の難易度が高い。特に治験第1相、第2相は、リスクは依然大いにもかかわらず、開発資金が50～100億円といった規模に跳ね上がる。

<対応案>

- 大規模な開発資金の供給源不足を解消するため、①NEDO事業も参考にしつつ、ハンズオンによる事業化のサポートを行う認定VCによる出資を要件として、特に第1相、第2相期の創薬ベンチャーに対する大胆な実用化開発を支援、及び、②創薬ベンチャーが調達できる長期の開発資金の規模を拡充するため、政府系ファンド等の活用も検討すべきではないか。

<期待される効果>

- ① 認定VCの目利き力を活かした 優良ベンチャーの発掘・育成
- ② 認定VCの能力・投資規模拡大の加速化
- ③ 起業経験者の将来的な再起業なども含めた 創薬ベンチャーエコシステム全体の底上げ

上市までのリスクと開発資金のイメージ



出所：医薬産業研究所「医薬品開発の期間と費用」。

日本政策投資銀行関西支店「創薬を中心とした医薬品産業の現状とバイオベンチャー発展に向けて」を参考に作成 1

医療系ベンチャーサミットの開催について

- 医療系ベンチャー・アカデミアと、大手企業やVC等とのネットワーキングに資するイベント
- ブース出展により大手企業等とのネットワークの場を提供するとともに、プレゼンテーションエリア内で出展者が行うピッチイベントや各種パネルディスカッション等を企画



ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット 2022

主催 厚生労働省
(医政局医薬産業振興・医療情報企画課ベンチャー等支援戦略室)
<https://mediso.mhlw.go.jp/jhvs2022>



出展のご案内

2022年10月12日(水)~14日(金) パシフィコ横浜

同時開催展



JHVS 2022

日時	2022年10月12日(水) ~ 14日(金)
場所	パシフィコ横浜
同時開催展	BioJapan、再生医療JAPAN、healthTECH JAPAN
出展者	123団体(医療系ベンチャー、アカデミア、支援団体等)
来場者	延べ15,813名(BioJapanと合同)
マッチング	1,296件(パートナーリングシステムによる商談件数*10月17日時点)

ステージ企画

JHVS SHOWCASE

概要

- 会期中のパートナーリング機会創出を目的として、出展者が90秒で事業紹介、自社の強み(有用性)、今後の展開(将来性)をピッチ。

自治体ピッチ

概要

- BioJapan x JHVS連携企画
~医療系ベンチャーに今活用して欲しい自治体施策~
- 盛岡市、横浜市、川崎市、大阪府、神戸市、久留米市が登壇

講演・セッション

概要

- グローバル動向セミナー
~海外上市における留意点~
- JETRO・MEDISO企画
~公的支援策を活用してグローバルに打って出る~
- JHVS x MEDISO 特別企画
~医療系ベンチャー成功のカギ~

創薬ベンチャーエコシステム強化事業（経済産業省）

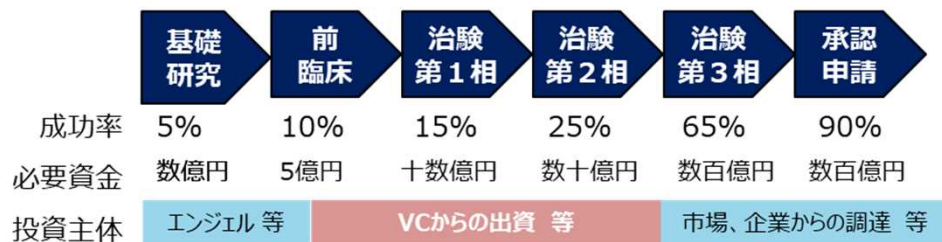
創薬ベンチャーエコシステム強化事業

令和4年度補正予算額：3,000億円
(令和3年度補正予算：500億円)

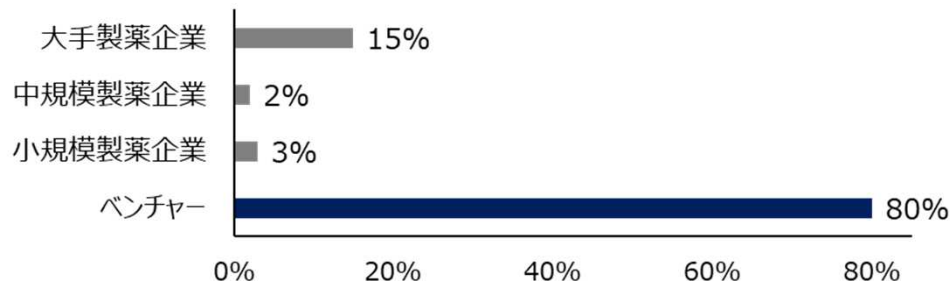
- **創薬ベンチャーは、①開発期間が長い、②開発資金が多額、③成功率が低い、④薬事承認されないと売上げがないなど、ビジネスモデルが特殊で事業化の難易度が高い。特に治験第1相、第2相は、リスクは依然大きいにもかかわらず、開発資金が50～100億円といった規模に跳ね上がる。**
- **世界的に新たな医薬品の開発は創薬ベンチャーにシフト。米国に比べて脆弱な日本の創薬・ベンチャーエコシステムでは、創薬ベンチャーが必要な資金を円滑に調達するのは困難。**

→ 創薬ベンチャーエコシステムを真に強化するため、VCと連携して実用化開発を支援する事業の対象を感染症関連以外にも拡充する。

創薬開発のリスクと資金のイメージ



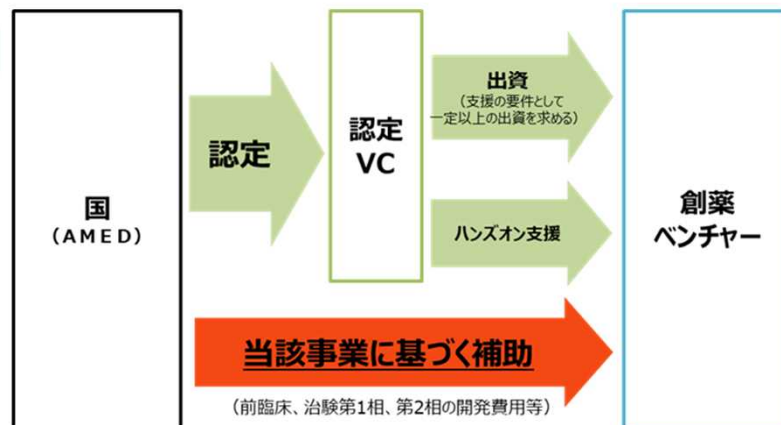
世界の医薬品創薬開発品目数シェア



事業のイメージ

VCの出資を条件に、
民間出資1に対して2倍までの範囲で補助

⇒ 治験費確保の円滑化 + 更なる民間資金の呼び水に



バイオ医薬品・再生医療等製品の進展①

目指す姿と解決すべき課題

- 成長領域として重要性を増すバイオ医薬品、その革新性に注目が集まる再生医療等製品について、我が国において研究開発・上市が加速することで、医薬品産業の成長と国民の健康水準の維持・向上につなげる。
- バイオ医薬品や再生医療等製品の研究開発に当たっては、求められる技術の専門性などからアカデミア・ベンチャーの活躍が特に求められるが、これらの者と製薬企業の間で密接な関係が十分には構築できていない。
- バイオ医薬品について、国内での開発事例の少なさもあいまって、バイオ製造設備・部素材・製造開発人材を有する企業は限られており、バイオ開発・製造人材が国内に十分には存在しない。
- 再生医療等製品は、工程や製剤の複雑性から、実用化・産業化の過程などで知的財産や規制の問題が顕在することがあるなど、出口を見据えた研究開発が求められる。

対応の方向性

<エコシステムの原型となるコミュニティの形成>

- 特定のテーマに関心がある国内外の製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業が、気軽に、かつ、定期的に参集できるような場の構築などを通じたコミュニティの形成促進を検討。

<バイオ医薬品やその製造に不可欠な部素材の製造拠点整備>

- 今後の変異株や新たな感染症への備えとして、製薬企業やCDMO/CMOにおいて平時は企業のニーズに応じたバイオ医薬品を製造し、有事には官の要請によってワクチン製造へ切り替えられるデュアルユース生産設備に加え、バイオ医薬品製造に不可欠な部素材の製造拠点等の整備を進める。

<バイオ医薬品の製造・開発に係る人材育成>

- バイオ医薬品の製法開発や分析、製造、薬事などを担う人材育成のために実施している研修について、製薬企業の協力も得つつ、新規モデルへの展開や研修機会増加、実技研修の場の多様化、さらにバイオ製造・開発人材のすそ野を広げるため、就学中の者へ人材育成することなどを検討。

バイオ医薬品・再生医療等製品の進展②

対応の方向性

<出口を見据えた研究開発支援>

- 今後の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進に向けて、疾患iPS細胞研究やリバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）（臨床上の課題を基礎研究にフィードバックする研究）の推進、CMO/CDMO事業者との連携支援、海外事例も参考にしつつ実用化に向けた知財対応等の伴走支援の充実等の切れ目ない支援を通じて、開発の早期より出口を見据えた研究開発を実施することを検討。

ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業

令和4年度補正予算額：1,000億円

（令和3年度補正予算額 2,273.8億円）

- 今後の変異株や新たな感染症への備えとして、平時は企業のニーズに応じたバイオ医薬品を製造し、感染症有事にはワクチン製造へ切り替えられる**デュアルユース設備**を有する拠点等を整備する。
- 資材高騰や円高の影響、申請事業者数の増加により、令和3年度事業に関しては、予算額の約2倍にかかる申請あり。採択を限定せざるを得ず、ワクチン製造に不可欠な**製剤化や充填、サプライチェーンリスクのある部素材等の製造事業者を十分に採択できないため、ワクチン戦略実現に向けて、基金拡充（1,000億円）**。

制度概要

● 補助対象事業・補助率：

(1) デュアルユース製造拠点

- ① ワクチン製造拠点（大規模） → 9/10以内
- ② 治験薬製造拠点（小規模）

(2) 製剤化・充填拠点

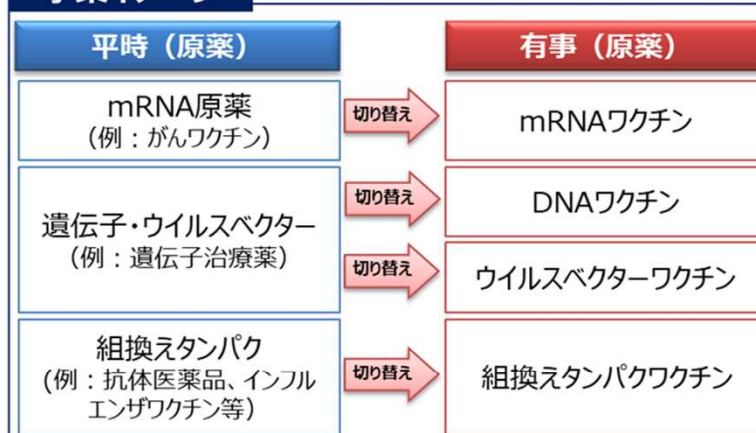
(3) 部素材等の製造拠点

大企業 2/3以内
中小企業 3/4以内

● 主な補助要件：

- 国からの要請に基づくワクチンの生産・供給への協力（治験薬の製造、製剤化・充填や部素材等も同様に国から要請を行う）
- 設備の保全・維持管理（事業開始から最低8年）、維持管理費の事業者負担 等

事業イメージ



<部素材のイメージ>

シングルユース対応
培養タンク



シングルユースバッグ



培地



バイオ医薬品開発等促進事業（厚生労働省）

令和5年度当初予算案 31百万円（44百万円）※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 革新的新薬を創出する製薬企業が成長できるイノベーション環境を整備するため、国内バイオ医薬品産業の強化を進めることが求められている。「医薬品産業ビジョン2021」では、バイオシミラーの国内普及を進めるに当たっては、国内においてバイオシミラーを含むバイオ医薬品の製造技術や開発処方を行う人材の育成が重要であること、医師や患者からのバイオシミラーへの信頼向上に向けた周知・広報が必要であるとされている。
- 現在実施中の「バイオ医薬品開発促進事業」において、研修プログラムを実施するなど人材育成を行う。また、バイオシミラーの利用を促進するための具体的な方策について、有識者による協議の場を開催し検討する。

2 事業の概要・スキーム・実施主体等

①技術研修事業

製薬企業やバイオベンチャーの社員等に対して、バイオ医薬品の製造技術、開発ノウハウ等に関する実践的な研修プログラムを実施し、我が国のバイオ医薬品産業に関する技術力の底上げを行う。

②普及啓発事業

バイオシミラーの科学的評価、品質等について、医療従事者に対して、正しい理解を広めるため、専門家や医療関係者等による講習会を開催。また、患者・国民に対し普及啓発を図る。

③BS利用促進のための有識者会議

「経済財政運営と改革の基本方針2022（令和4年6月7日閣議決定）」において、「バイオシミラーについて、医療費適正化効果を踏まえた目標値を今年度中に設定し、着実に推進する。」とされており、課題抽出等を行う。



3 事業実績

- ①技術研修事業の受講者数 ○座学 = 42名 ○実習 = 13名
- ②普及啓発事業の受講者数 ○医師向け = 36名 ○患者向け = 46名

※令和3年度実績 普及啓発事業については、新型コロナウイルス感染症拡大の影響により、縮小して実施

再生・細胞治療・遺伝子治療実現加速プログラム（文部科学省）

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

令和5年度要求・要望額 12,096百万円（新規）

※令和4年度は再生医療実現拠点ネットワークプログラム
（9,066百万円）で実施



背景・課題 / 令和5年度概算要求のポイント

（事業期間：令和5年度～令和9年度）

- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」では再生・細胞医療・遺伝子治療分野は国益に直結する分野と明示されており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」でも、次世代iPS細胞やオルガノイド等の革新的な研究開発を進めると共に、実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い一体的な研究開発を推進することが掲げられている。
- 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進、若手研究者の育成促進と裾野の拡大、異分野・他機関との連携と人材育成機能を包括したチーム型研究の推進、リバーストランスレーショナルリサーチの実施、中核拠点をハブとした連携・相乗効果の創出、開発早期から出口を見据えた研究開発と戦略的伴走支援の充実、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 （基礎応用・非臨床/個別型・チーム型）

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究を推進
- ・ 革新的な創薬・治療法の実用化を見据えた基礎・応用研究の実施
- ・ 治療法の臨床試験に直結する非臨床PoC取得研究の実施
- ・ リバーストランスレーショナルリサーチの実施
- ・ 異分野研究者・企業等との総合力を生かしたチーム型研究を推進

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 次世代iPS細胞の開発、リプログラミングの解明、革新的なゲノム編集技術開発等の再生・細胞医療・遺伝子治療分野の共通基盤研究の実施

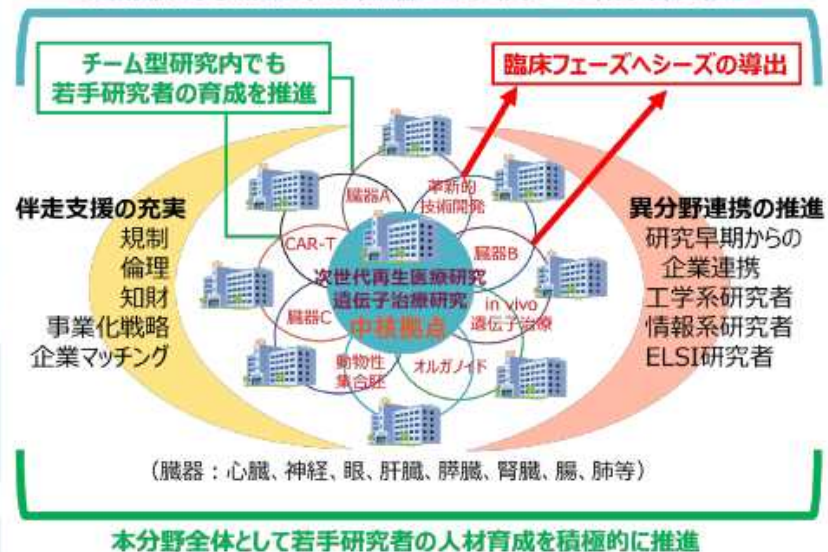
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究の推進
- ・ 疾患付随情報が充実した疾患特異的iPS細胞バンクの整備と利活用促進

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- ・ 実用化に向けた問題解決・回避のための伴走・マッチング支援の充実化
- ・ 規制・倫理・知的財産面（特許取得、パテントマップ）の伴走支援
- ・ 研究早期からの事業化戦略作成支援
- ・ 細胞・ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の製造基盤整備

中核拠点をハブとした各研究機関、異分野研究者、産業界、医療機関、支援機関による研究分野・対象臓器ごとの多彩なバーチャルラボ化の推進



【事業スキーム】



研究開発データ基盤等の整備に向けた取組①

目指す姿と解決すべき課題

- 医療情報が医療分野の研究開発につながることで、疾病メカニズムの解明や新たな医薬品等の開発やヘルスケアサービスの充実が実現され、国民一人ひとりが受けられる医療等の質が向上する。
- 医療情報の収集を個々の企業ですべて行うことは困難であり、国による環境整備が必要。
 - ・ とくに、遺伝子レベルの研究に基づく個別化医療が今後の革新的医薬品の主戦場となるところ、ゲノム情報の収集・解析を通じて、がんや難病患者等により良い医療を提供することが求められる。
 - ・ また、信頼性のあるリアルワールドデータを創薬等へ利活用する上で、疾患別に整備されたレジストリは重要。
- 医療情報を医療分野の研究開発につなげるには、制度的に、個人情報保護の観点を中心とした、効率的な提供環境が必要。

対応の方向性

<データ基盤の充実>

- 「全ゲノム解析等実行計画」の着実な実行を通じたゲノム情報の収集・解析
 - ・ がん・難病に関して、先行解析での検討を踏まえ、令和4年度から新規症例を対象に本格解析を実施。
 - ・ 詳細な経時的臨床情報の収集や、全ゲノム解析と併せたマルチオミックス解析の実施といった戦略的データ蓄積を実施。
 - ・ 蓄積データを用いた研究・創薬等を推進するため、アカデミアや産業によるフォーラムの構築や、事業実施組織によるデータ利活用のための基盤の構築等、必要な体制を整備。
- AMEDの研究開発データ活用のための連携基盤（CANNDs（※））の構築 ※AMEDデータ利活用プラットフォーム
 - ・ 利用者目線に立った使いやすくわかりやすい手続きやインターフェース（I/F）を整備、ワンストップサービスを提供。
 - ・ 早期のデータ活用が期待されるゲノム分野で、個人情報保護やセキュリティ確保に留意した5拠点（※※）間の連携を実現。
※※ 東京大学医科学研究所、東北メディカルメガバンク、国立遺伝学研究所、国立がん研究センター、国立国際医療研究センター
 - ・ ゲノム以外のデータに関する上記5拠点以外からの収載・連携も視野に、構築当初から拡張性の高い基盤・運営体制を設計。

研究開発データ基盤等の整備に向けた取組②

対応の方向性

- レギュラトリーサイエンスに基づく、疾患登録情報を用いて効率的な治験が実施できる環境の整備
 - ・ 疾患登録システム（レジストリ）の疾患登録情報を活用した臨床研究・治験を推進。
 - ・ 企業による疾患登録情報の利活用に向け、アカデミアと企業とのマッチングを実施し、企業ニーズに応じたレジストリ改修を支援。

<医療情報を活用できる環境整備>

- 健康・医療の先端技術の開発、創薬等に向けた医療情報の保護と利活用に関する法制度等の在り方の検討
(主な検討事項)
 - ・ 学会等が保有する質の高いレジストリデータを仮名化した上で製薬企業に提供し、医薬品の研究開発に活用するようなケースを想定し、同意・撤回手続の明確化や利用目的の適正性の確保等による個人の保護を図りつつ、データを積極的に利活用する法制度の在り方
 - ・ 医療研究の現場ニーズ^(※1)に的確に応えるため、次世代医療基盤法の認定事業者^(※2)と利活用者におけるデータの取扱いを見直すことにより、有用性の高いデータを提供できるような匿名化のあり方
 - (※1) ①希少な症例についてのデータ提供、②同一対象群に関する継続的・発展的なデータ提供、③薬事目的利用の前提であるデータの真正性を確保するための元データに立ち返った検証 等
 - (※2) 厳格なセキュリティ基準に基づき主務大臣からの認定を受けた事業者。患者本人の同意に替え、事前通知により、医療機関から医療情報を顕名で収集し、匿名加工して企業等へ提供することが可能。
 - ・ 多様な医療情報の連結・収集に向け、NDB（全国データベース）などのビッグデータとの連結に向けた検討や急性期病院以外の医療機関や自治体等のデータ収集を促進する方策 等

クリニカル・イノベーション・ネットワーク事業予算 (全体のイメージ)

	令和5年度予算案	(令和4年度予算)
CINコア事業	19.6 億円	(19.2 億円)
関連事業	56.5 億円	(57.5 億円)
CIN全体	76.1 億円	(76.7 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 6.8 億円 (5.7 億円) ※ デジタル庁計上分6.0億円を含む (R5 当初及びR4 第2次補正)
- ② 医薬品 8.4 億円 (8.4 億円)
- ③ 医療機器 3.1 億円 (3.1 億円)
- ※ ④ 疾患登録システムの利活用支援 1.0 億円 (1.6 億円)
- ※ ⑤ 中央支援 0.3 億円 (0.3 億円)
- 規制当局と連携した新しい研究手法の検討
- ⑥ 疾患登録情報を臨床開発に活用する手法の研究 - 億円 (- 億円)

関連事業

産学官連携による創薬等の推進

- ⑦ 創薬 6.9 億円 (6.7 億円)
- ⑧ 再生医療 12.4 億円 (12.4 億円)
- 治験・臨床研究環境整備
- ※ ⑨ 臨床研究中核病院の実用化促進体制の充実 26.5 億円 (27.4 億円)
- ⑩ 難病・希少疾病 [医薬基盤・健康・栄養研] 0.8 億円 (0.7 億円)
- ※ ⑪ 再生医療 3.5 億円 (3.9 億円)

人材育成

- ⑫ 生物統計家の人材育成 1.9 億円 (1.9 億円)

国際共同治験の推進等

- ⑬ アジア薬事トレーニングセンター[PMDA] 2.2 億円 (2.2 億円)
- ⑭ 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)

※: 医政局計上予算 (令和5年度予算案における医政局分は計31.3億円)



1. レジストリ構築・活用

- ① レジストリ構築
- ② 企業によるレジストリ活用推進に向けた検討
- ③ ワンストップサービス拠点
- ④ レジストリと企業ニーズとのマッチング・レジストリ改修

【KPI】レジストリ構築：15疾患
【これまでの取組】

- ・NC・基盤研で**18レジストリ**を構築
- ・AMEDにおいて**4レジストリ**（がん、ALS、筋ジストロフィー、医療機器（脳神経外科領域））の構築を支援
- ・企業ニーズとのマッチングを実施し、**8レジストリの改修支援**
- ・CIN推進の仕組みの検討や**横断的課題（同意取得等）の解決**（武田班）
- ・**全国のレジストリを調査し、一覧化**（国土班）

2. 治験ネットワーク構築・国際展開

- ① レジストリを活用した臨床研究・治験の実施
- ② 人材育成
- ③ 国際共同治験の推進
- ④ 再生医療の臨床試験の推進

【KPI】レジストリを活用した臨床研究・治験の実施：20件
【これまでの取組】
・**24研究班**でレジストリを活用した臨床研究等を実施

3. レギュラトリーサイエンス

- ① レジストリを活用した市販後調査、治験対象群としての活用等に関する**ガイドライン策定**
- ② アジア地域における薬事協力の推進

【KPI】レジストリを活用した治験・臨床研究に関するガイドラインの策定：5件

【これまでの取組】

・**6ガイドライン**を策定

製造販売後調査に活用するためのガイドライン整備
（基本的な考え方・留意点）

承認申請等に活用するためのガイドライン整備
（基本的な考え方・留意点）

臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化①

目指す姿と解決すべき課題

- 治験における新たな解析手法や実施手法の導入や再生医療等製品の承認事例の増加等により、以下のような課題が顕在化しており、産官学での最新の知見の共有や運用の明確化に向けた対話の促進により、開発の予見性の向上、研究開発の推進を図る。
- 諸外国で実装が始まっている患者の来院に依存しない治験（分散化臨床試験）導入に向けて、ルール作りや運用上の課題の検討が必要。
- 細胞等を用いるため品質が均一でなく、有効性の確認に時間がかかる等の再生医療等製品の特性を踏まえた審査の要件等の明確化が必要。
- 産業界のニーズ（例えば、症例集積能力の向上や治験コストの不透明）を踏まえた治験実施環境の更なる整備が必要。
- 治験の計画立案や結果の解析を行う生物統計家等の人材が海外に比べて不足しており、産官学協力の下での育成が必要。

対応の方向性

<薬事における運用の明確化>

- 分散化臨床試験の導入に向けたルール作り
 - ・ オンライン治験を行う際のデータの信頼性確保等に際して、治験依頼者等が留意すべき点について、ガイダンスの策定を行うことで実施に向けた予見可能性を向上。
 - ・ 運用上の課題である治験依頼者から被験者への治験薬の直接配送の可否について検討。
- 開発の予見性の向上に資する再生医療等製品の承認審査において求められる要件や考え方の検討
(主な検討事項)
 - ・ 再生医療等製品の特性を踏まえた承認審査等における要件・考え方の明確化
 - ・ 新規モダリティ医薬品等の開発のための生物由来原料基準の見直しや運用の改善の促進 等

臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化②

対応の方向性

<産官学での連携を通じた最新の知見の共有>

- 臨床研究中核病院等の拠点整備
 - ・ 産業界のニーズを踏まえた治験環境の整備につなげていくため、産業界と臨床研究中核病院による対話の場を設け、治験を巡る様々な課題について問題意識の共有や国内外の先進的な取組の周知を実施。
- 生物統計家（臨床研究や疫学研究における研究デザインと統計解析の方法論を専門に研究する者）等の人材育成
 - ・ 産業界と行政、臨床研究中核病院との情報共有の場等を通じて、職種毎に求められる人材像（専門知識等）やその規模を明確化。
 - ・ ニーズに即する新職種の育成や定着にむけて産官学で連携して取り組むための検討の場を創設。

① 施策の目的

治験データの信頼性確保に際し、オンライン技術を活用し医療機関のカルテ確認等の手間を省く等の方策を策定し、オンライン技術を活用した治験(オンライン治験)の早期の普及を図る。

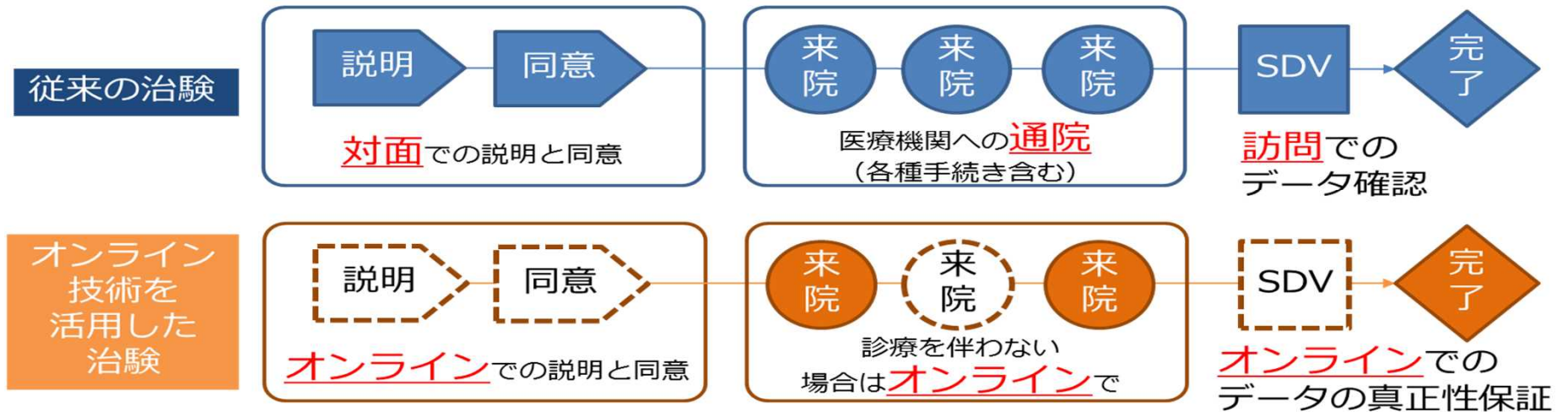
② 施策の概要

国内外におけるオンライン技術を用いた治験の実例を調査し、どのようにデータ等の信頼性を担保したか確認する。オンライン技術を用いた治験実施に関連する各国のガイダンスなどの情報を収集し、関係者間で検討を行い、ガイダンスの策定を行う。

③ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等

厚生労働省から業者へ委託

オンライン技術を用いた治験のイメージ



④ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

治験のオンライン化が進むことにより、効率的な治験の実施が可能となり、今後ますますオンライン技術が用いられることが想定される国際共同治験への日本の参加を確保すると共に、日本主導の国際共同治験を促進することが可能となる。

医療技術実用化総合促進事業 ＜先進的臨床研究環境基盤整備プログラム＞

令和3年度補正予算案
4.6億円

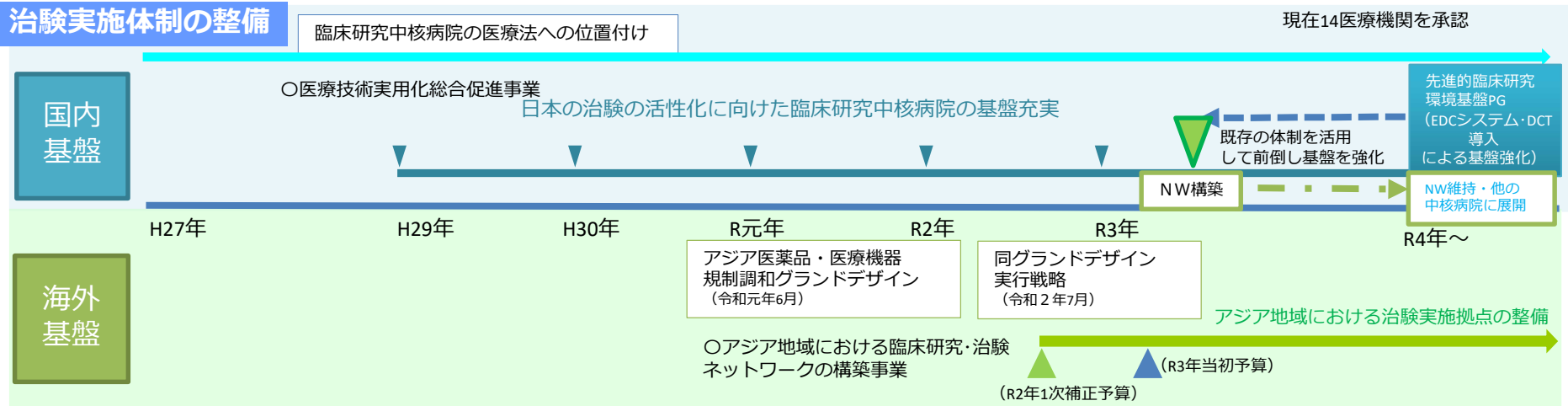
目的

- 今般の新型コロナウイルス感染症の流行において、日本国内におけるワクチンの開発が遅れ、未だ実用化されていない。「ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）」では、感染症ワクチンの第Ⅲ相試験では数万人単位の被験者の確保が必要となること、一方で日本でいまだかつてこのような大規模の治験を実施したことがない点が指摘されている。
- この様な背景から、新型コロナウイルス感染症等の新興・再興感染症に対する治療薬・ワクチン等について、迅速に大規模な臨床研究・治験を立ち上げるため臨床研究中核病院（※1）が持つネットワークを活用した体制強化を進め、短期間に大規模な患者の組入が可能となる体制を構築する。
- 現在、国産ワクチンについて第Ⅲ相試験の実施が計画されていることから、臨床研究中核病院と関連医療機関との既存の連携体制を活用した臨床研究EDC ネットワーク構築を行う。また、R4年度以降も当該EDCネットワークを維持していく。

※1 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）。

治験実施体制の整備



事業内容

- 臨床研究中核病院と傘下の医療機関との連携に基づき、**共通に試験データを入力・送達が可能となる臨床試験EDC（※2）ネットワークを構築**し、短期間に多数の医療機関が効率的にデータ収集を行うことを可能とする。
- 感染症流行時の患者の来院を避け、患者の負担を減らす**新規の治験手法(Decentralized Clinical Trial ※3)**の導入のために、**患者日誌の電子化を支援**することで、治験への参加を促すと共に、多数の患者から効率的かつ正確なデータ収集を可能とする。

※2 EDCシステム：Electronic Data Captureの略称で、治験や臨床試験の効率化を図るために、インターネットを使い電子的に臨床データを収集し、治験を実施する企業等にデータを送達するシステム。

※3 Decentralized Clinical Trials:デジタル技術等の活用により、患者が医療機関へ来院しなくても投薬や観察を受けられる新しい臨床試験手法。

(その他の取組み) 新薬の研究開発への再投資を促進するための方策

現状

- 研究開発税制とは、企業が研究開発を行っている場合に、法人税額から、試験研究費の額に一定の税額控除割合を乗じた金額を控除できる制度。民間企業の研究開発投資を維持・拡大することにより、イノベーション創出に繋がる中長期・革新的な研究開発等を促し、我が国の成長力・国際競争力を強化することを目的としている。
- 令和5年度の改正では、国内の企業とスタートアップとのイノベーションを加速させるための見直しを講じた。

試験研究を行った場合の法人税額等の特別控除（研究開発税制）の延長等 (所得税、法人税、法人住民税) (経産省、内閣府、総務省、文科省、農水省、国交省、環境省、防衛省、復興庁と共同要望)

1 大綱の概要

- 研究開発税制（法人税額から試験研究費の一部を控除できる制度）について、次の見直しを行う。

2 制度の内容

- 研究開発投資の維持・拡大に対するインセンティブを強化するため、試験研究費の増減割合に応じて控除上限が変動する制度を導入するとともに、税額控除率のカーブを見直し（コロナ特例については期限通り廃止）
- 時限措置（控除率の上限引上げ、控除上限・控除率の上乗せ措置）について、適用期限を3年間延長
- 国内の既存企業とスタートアップとのオープンイノベーションを加速させるため、オープンイノベーション型において、共同研究等の対象となる研究開発型スタートアップの定義を見直し等

① 控除上限のインセンティブ強化



② 控除率のインセンティブ強化



革新的医薬品の創出及び迅速な導入を促進させるための取組について

- 希少疾病・小児・難病等の治療薬など、海外では新興バイオベンチャー企業が主として開発している医療上特に必要な革新的新薬について、日本での創薬や日本への上市を進めるために、どのような取組が必要か。
(前回議論した薬価算定以外の取組について議論いただきたい。)