

2016年4月7日
第2回臨床開発環境整備推進会議資料

資料4-3

再生医療技術の観点から クリニカル・イノベーション・ネットワークへの期待

(一社)再生医療イノベーションフォーラム
代表理事・会長 戸田 雄三

CINに再生医療の技術を組み合わせて 『治験先進国』を実現する (第1回会議再掲)

CIN構想の目標:

各種疾患登録情報を用いて臨床開発に関するネットワークを構築し、経済効率的な治験を実施できる開発環境を整備し、国内の開発を活性化し、海外メーカーを国内開発に呼び込み、臨床開発を加速する(クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想資料より)

今、まさに、臨床開発の加速が国家レベルの課題

- 新薬の社会実装までの期間の短縮
- 開発コストの削減
- 新薬開発確率の向上
- アカデミア、ベンチャーによる創薬機会の増加

+

日本の健康産業を
グローバルリーダーに育てる

CIN構想は最終的に、日本が治験先進国を目指すこと。

NCによってレジストリーを一元管理できるようになれば、非常に有効。これに再生医療の技術を組み合わせると、治験先進国の実現を加速できる。つまり、細胞技術を活用し、

『ヒト試験の一部を細胞での評価に置き換えていく』

結果、CINの活用により、日本が世界の治験をリードできる環境整備をする。

具体的には

(第1回会議再掲)

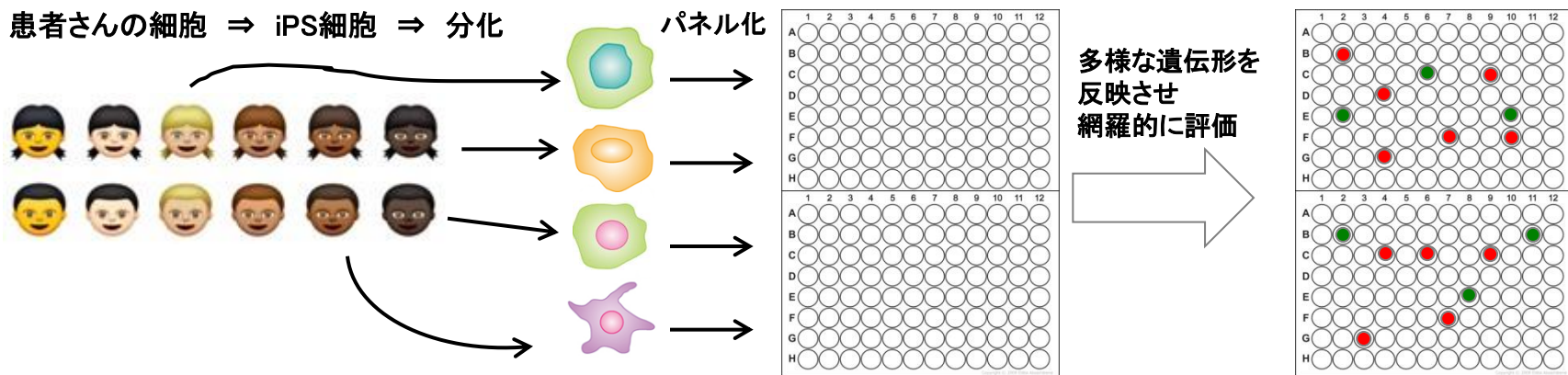
- ① レジストリーの主な登録項目に、『細胞』を加える(バンキング)。

年齢、性別、登録(主)疾患名、入退院日、
重症度、検査値、治療歴、併発疾患名、
投薬内容、ステージ、家族歴、生活習慣
治験情報提供の有無、、、等

患者さんの
細胞

- ② 同時に、この細胞を研究使用できるように同意を取得する。
例えばiPS細胞を経て病体モデルを作り、治療薬開発に活用する。

網羅的データを獲得し、疫学的に薬効薬理／毒性／フェノタイプを解析する



(第1回会議再掲)

日本発、世界初の創薬支援システムの構築

『治療ヒストリーに紐付けされた細胞を用いて、世界に先駆けた創薬支援システム』

を構築する。

手始めに、中枢神経系、癌、等、アンメット・メディカル・ニーズの高い疾患領域の中から絞り、具体的に検討したい。

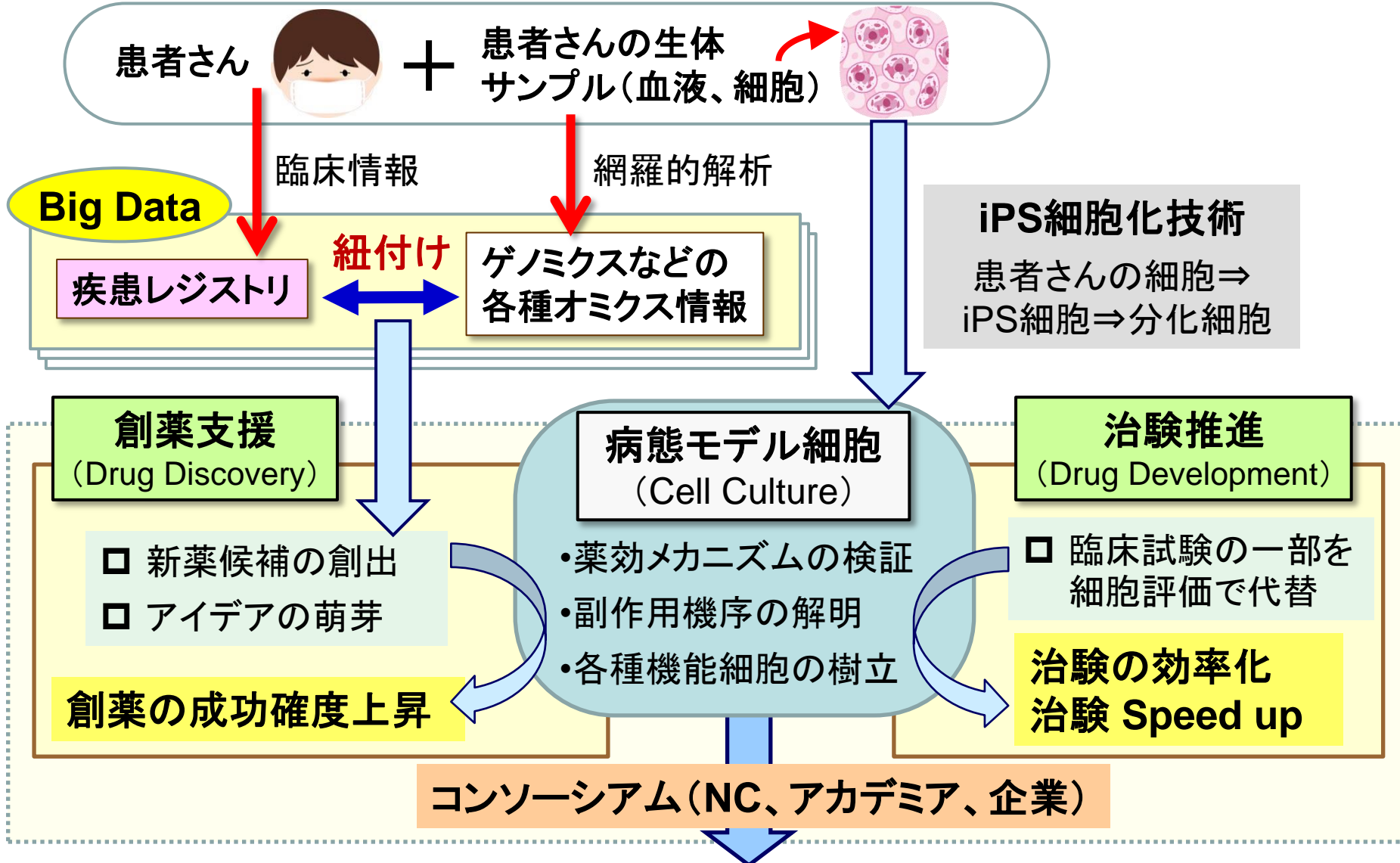
各WG情報からの考察

- 難病・希少疾患のレジストリ(患者数等の情報)は、研究開発の実施可能性を判断する上で企業には価値ある情報源である。
- 治験プロトコール作成時に必要な情報が網羅されており、また、当該レジストリが治験対照群として利用可能なヒストリカルデータに成るのであれば企業にとっての価値はさらに高まる。
- しかしながら、上記の企業視点の価値は、難病・希少疾患において製品開発を指向する企業に限定的である。

企業ニーズ(NCの強み)

- 医療現場のニーズ(臨床上の未解決課題)
- 疾患レジストリと患者さんの生体サンプル情報が紐付けされた質の高いデータベース
- 細胞利用を基にした『創薬支援』と『治験推進』(次ページ)

CINに対する企業の期待



Unmet Medical Needs の高い疾患に対する治療薬の効率的な研究開発

参考：NC WGに参加したFIRM加盟企業の声（一例）

【今後期待すること】

- 治験プロトコール作成時に必要な情報の登録
（例、既存治療の有効性、等）
- 疾患レジストリと市販後調査レジストリとの連携（紐付け）
- 治験対照群として利用可能なヒストリカルデータ
- 希少疾患、難治性疾患のレジストリ
- 研究開発の実施可能性判断に必要な情報（患者数、等）
- 生体サンプル（血液、細胞）のバンキングと疾患レジストリとの紐付け
- 現有の「疾患レジストリ」に蓄積されている情報の公開
（情報が少なく、現有レジストリに関するWGへの参加判断が出来ない）
- レジストリ構築に係る費用に対する公的資金による支援