

背景

- 新しい医薬品、医療機器等の開発に当たっては、世界的にコストが高騰している。特に、医薬品にあっては、タフツ大学の試算によると1新薬当たり\$ 2,558 million(約3,000億円)要するといわれている。(Nov. 18, 2014, Tufts Center for the Study of Drug Development)
- 近年、疾患登録システムを活用した新たな臨床開発の手法が開発されている。スウェーデンでは、ナショナルレジストリを活用した無作為化比較臨床試験を実施し、1症例当たりのコストを50ドルとした。(Lauer MS, D'Agostino RB Sr. *N Engl J Med* 2013;369:1579-1581.)
- また、国内でも、国立がん研究センターにおける先駆的な取組として、“Scrum-Japan”がある。全国のネットワーク病院においてがん患者のゲノムスクリーニングを行い疾患登録システムに登録することで、希少がん患者の治験組入れを効率的にする仕組みであり、10以上の製薬企業も費用負担し、参加している。
- 国立がん研究センター以外の各ナショナルセンター(NC)においても、平成26年から疾患登録システムの構築を開始しているところ。



CINの概要

- 各NCの疾患登録システムを治験・臨床研究に対して最大限活用するため、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するとともに、疾患登録情報を活用した臨床評価の手法に関するレギュラトリーサイエンス研究を行う。
- これらの取組により、国内開発の活性化を促すとともに海外メーカーを国内開発へ呼び込む。

クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築

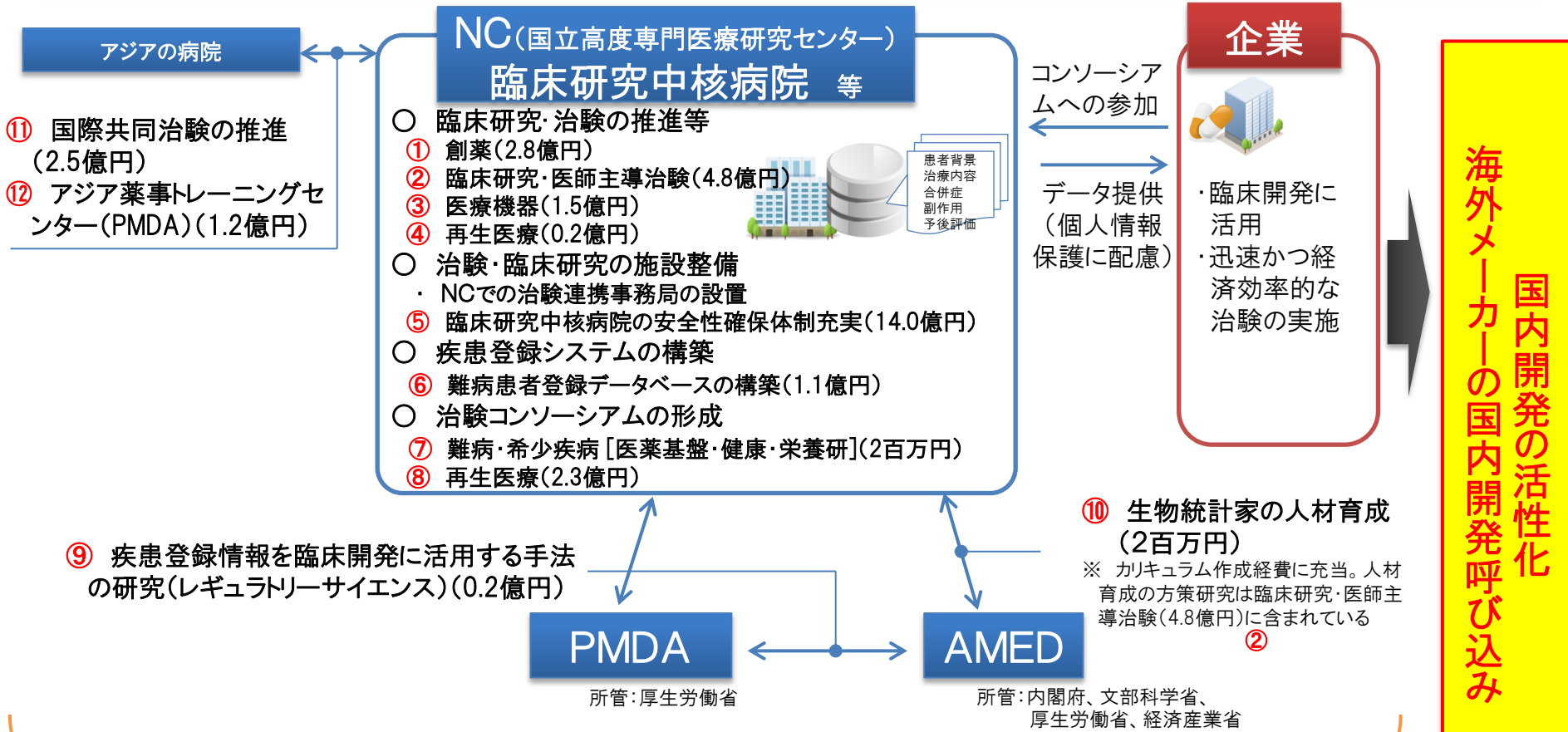
平成28年度予算額31億円

【課題・背景】

- ・医薬品等の開発費用は、世界的に高騰し、特に我が国は諸外国と比べて開発コストが高い。
- ・近年、海外では疾患登録情報を活用した新たな臨床開発手法が注目を集めている。

【施策の概要】

- ・レギュラトリーサイエンスに基づき疾患登録情報等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、新薬の早期開発により国民の健康寿命を延伸する。
- ・また、日本発製品のアジア地域への国際展開を支援する。



臨床開発環境整備推進会議：産学官(NC、業界、行政など)が一体となった会議を形成し、プロジェクトを協力して推進。

クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築を推進するための事業概要（平成28年度予算額31億円）

治験・臨床研究等の実施支援(27億円)

① 創薬基盤推進研究事業 (医薬品の研究支援) 臨床情報等を活用し、医薬品開発の基盤となる技術を開発することにより、臨床開発を加速	2.8億円
② 臨床研究・治験推進研究事業 (臨床試験・治験の支援) 日本発の革新的な医薬品開発を目指した医師主導治験等を推進	4.8億円
③ 医療機器開発推進研究事業 (医療機器の研究支援) 日本発の革新的な医療機器開発を目指した医師主導治験等を推進	1.5億円
④ 再生医療実用化研究事業 (再生医療の研究支援) 治療方法の探索のための臨床研究やiPS細胞等を用いた創薬等研究を推進することにより、臨床開発を加速	0.2億円
⑤ 未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業 被験者の安全性確保体制構築の取組を支援することにより、臨床開発を加速	14.0億円
⑥ 難病対策の推進のための患者データ登録整備事業 難病患者データベースの構築を推進することにより、臨床開発を加速	1.1億円
⑦ 希少疾病創薬Gateway 難病患者データベースに集められた情報について企業や研究者への利用を促進することにより、臨床開発を加速	2百万円
⑧ 再生医療臨床研究促進基盤整備事業 人材育成や、データベース整備等の臨床研究基盤を整備することにより、再生医療の実用化を加速	2.3億円

疾患登録情報を活用した評価手法の開発(レギュラトリーサイエンス)、人材育成 (0.2億円)

⑨ 医薬品等規制調和・評価研究事業(該当課題のみ) 疾患登録情報を活用した臨床評価手法の開発に関するレギュラトリーサイエンス研究を推進することにより、臨床開発環境を整備	0.2億円
⑩ 臨床研究・治験推進研究事業要望額の内数(再掲) 質の高い臨床研究実施のため、生物統計家等の人材育成を推進することにより、臨床開発環境を整備	4.8億円 の内数
⑪ 生物統計家人材育成支援事業 生物統計家の育成に係る研修内容の検討等を実施することにより、臨床開発環境を整備	2百万円

国際展開 (3.7億円)

⑫ 国際共同臨床研究実施推進事業費 医療法に基づく臨床研究中核病院における国際共同臨床研究・治験の推進により、日本発製品の国際展開を支援する。	2.5億円
⑬ アジア医薬品・医療機器薬事トレーニングセンター事業費 アジア主要国に赴いた研修を含め、アジア規制当局の要望のある分野や審査・査察等の能力に応じた効果的なトレーニングを提供することにより、日本発製品のアジア地域への国際展開を支援する。	1.2億円

クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)推進プロジェクト

臨床開発環境整備推進会議

運営方針、進捗管理等

- 疾患情報の共有や研究開発支援等を行うCIN構築に係る進行管理、課題の整理など実務上の課題の検討
- 臨床研究・治験など臨床開発の環境整備の推進に係る具体的な課題の整理及び支援策の検討

【構成員】 NC、PMDA、医薬基盤・健康・栄養研究所(厚生労働省所管)
AMED(内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省所管)
医薬品・医療機器業界
厚生労働省(NC担当、研究振興担当、薬事規制担当、難病等担当)、経済産業省、文部科学省
内閣官房健康・医療戦略室 等

がん

循環器

精神・神経

国際医療

成育

長寿

難病

臨床開発環境推進会議がんWG —NCと企業との意見交換の場—

- 疾患登録システムの内容や、情報提供の方法を検討

治験連携事務局 —協力病院とのネットワーク—

- 企業ニーズを適切に把握
- 協力病院を含め、治験の相談などを一括に受け付け

【構成員】医師、薬剤師、治験コーディネーター、臨床統計家、レギュラトリー・サイエンスの専門家 等

治験コンソーシアム —NCや協力企業で構成—

- 特定の疾患を対象に、NC、臨床研究中核病院、協力病院と企業が共同して疾患登録情報を活用した臨床開発を実施

PMDA —医薬品等の審査機関—

- レギュラトリー・サイエンス研究班と協力し、疾患登録情報を活用した臨床開発手法を検討

疾患登録システムの設計等

治験等の相談の一括受付

治験の実施

承認審査

承認審査の経験をフィードバック

今後構築する各国立高度専門医療研究センター(NC)の疾患登録システム

NC	対象領域(例) ※対象領域は変更される可能性あり	主な登録項目	参加施設数	登録目標及び期間
国立がん研究センター	希少がん(軟部肉腫、脳腫瘍、皮膚腫瘍、小児腫瘍)	登録可能(患者紹介可能)な治験情報	56施設 ※JCOG(日本臨床腫瘍研究グループ)参加施設	100～ 150人/年 (治験への組入れ人数)
国立循環器病研究センター	成人先天性心疾患、脳卒中、心不全、胎児不整脈	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、治験情報提供の有無、生活習慣等	計100施設程度 ※成人先天性心疾患ネットワーク、THAWS試験、胎児不整脈連携病院等	2,000～ 3,000人/年
国立精神・神経医療研究センター	精神疾患、パーキンソン病、筋ジストロフィーを含む遺伝性筋疾患、多発性硬化症、知的障害		31施設 ※精神疾患治験ネットワーク、大学病院、NC等	1.5万人 (2018年度末)
国立国際医療研究センター	糖尿病		200施設 ※最終的にはSS-MIX2を導入している全ての病院を対象	100万人 (2019年度末)
国立成育医療研究センター	小児分野の希少疾患、難病等		33施設 ※小児治験ネットワーク加盟病院	3万人
国立長寿医療研究センター	MCI(軽度認知障害) サルコペニア		22施設 ※MCI/サルコペニア診療連携病院	4,000人以上 5

2020年までに医薬品、医療機器、再生医療の医療関連産業の市場規模を16兆円とする(日本再興戦略(平成25年6月閣議決定)より)ことに向け、以下のKPIの達成に向け取り組む。

○ 疾患登録システムの構築関係

- ・構築したシステムの疾患数:5年後までに15疾患

- ・協力施設数:5年後までに次のとおり

(がん:50施設、循環器病:100施設、精神・神経疾患:30施設、糖尿病:200施設、成育疾患:30施設、加齢に伴う疾患:20施設)

- ・登録患者数:5年後までに次のとおり

(がん:500人(※治験への組入れ患者数)、循環器病:10,000人、精神・神経疾患:15,000人、糖尿病:1,000,000人、成育疾患:30,000人、加齢に伴う疾患:4,000人)

○ 治験・臨床研究の実施関係

- ・疾患登録情報を活用した治験・臨床研究の実施件数:5年後までに20件

○ レギュラトリー・サイエンス関係

- ・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策定件数:5年後までに5件

クリニカル・イノベーションネットワークWG検討状況

	疾患登録 レジストリ概要	WG日程	WG参加企業	成果・課題	今後の方向性
国立がん研究センター	1)SCRUM(肺がん、消化器がん)(A,B) 2)希少がん(軟部肉腫、脳腫瘍、皮膚腫瘍、小児腫瘍)(B)	10月27日	製薬 6社(6名) 機器 4社(5名) 再生 5社(5名)	・SCRUMについては有用 ・希少ながん種については、対照群なし治験に係るレギュラトリー検討必要	・治験情報を求める患者への継続的なアウトリーチ手法の検討
国立循環器病研究センター	1)脳卒中(B,C) 2)成人先天性心疾患 3)胎児不整脈 4)心不全(A)	10月30日	製薬 2社(2名) 機器 5社(7名) 再生 3社(3名)	・領域別臨床研究ネットワークの治験等への活用は有用 ・患者コホート或いは埋込型機器の市販後データを医療機器の適応拡大などに生かせるかどうか検討要	・領域別臨床研究ネットワークの拡大と治験への活用 ・電子カルテデータをレジストリに直接移行する仕組み
国立精神・神経医療研究センター	1)Remudy(A,B) 2)脳病態統合Imaging 3)ゲノム情報DB 4)精神疾患	10月13日	製薬 10社(10名) 機器 3社(4名) 再生 4社(4名) その他 3社(6名)	・既存レジストリ(Remudy etc.)は有用。コンソーシアム構築の可能性については、企業毎に見解が異なるため継続検討 ・難病・希少疾患での治験対照群での検討必要	・企業負担を見込める具体的疾患について意見交換(小規模WTの構築)
国立国際医療研究センター	1)糖尿病(A) 2)肝炎(A,B) 3)HIV(B) 4)国際感染症(A,B)	9月28日	製薬 3社(3名) 機器 4社(5名) 再生 1社(1名)	・バイオマーカー探索のための病歴、投薬歴、家族歴等の取得 ・海外機関との連携 ・医療経済的観点	・4つのレジストリについて、それぞれ分科会の設置
国立成育医療研究センター	1)小児分野の希少疾病、難病(約700疾患)(A,B,C,D)	10月14日	製薬 5社(5名) 機器 3社(3名) 再生 4社(4名)	・小児慢性特定疾患事業(医療費助成)との連携が可能となるシステム ・小児希少疾病治療薬開発に対して、採算性等のため企業側消極的	・小児治験ネットワークを介した迅速な治験の実施 ・小児での副作用情報収集(安全対策)にも活用が可能
国立長寿医療研究センター	1)軽度認知障害(MCI) 2)サルコペニア(B,C)	10月19日 2月15日	製薬 6社(8名) 機器 2社(2名) 再生 2社(2名)	・MCI以外の患者もレジストリ参加者として有用 ・登録してもMCI以外の患者が多く組入れ困難 ・参加者メリットがある仕組み作り	・新たな疾患レジストリの検討 ・継続的なレジストリ運営に向けた企業参加等の検討
医薬基盤・健康・栄養研究所	1)難病	11月13日	製薬 2社(2名) 機器 4社(4名) 再生 3社(4名)	・医療機関を持たないため、リエゾンとして治験事務局機能を果たす ・難病バンクと患者自発的研究参加支援システムを立ち上げた	・平成28年度中に難病登録システムを立ち上げ予定(対象とする希少疾病はNCが対象としないもの)

クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)特別研究班

国立高度専門医療研究センター(ナショナルセンター)等において構築する疾患登録システム(患者レジストリ)を基盤とした、新たな治験・臨床研究の推進方策に関する研究(H27-特別-指定-018)

研究代表者: 武田伸一(国立精神・神経医療研究センター)

研究費総額: 7,000千円(うち間接経費1,615千円)

実施期間: 平成27年9月29日～平成28年3月31日

参加者: 6NC, 医薬基盤・健康・栄養研, 林教授(群馬大)

臨床開発環境整備推進会議

産学官(NC、業界、行政など)が一体となった協議会を形成し、プロジェクトを協力して推進。

特別研究班

検討課題

- 1) 治験・臨床研究における患者レジストリの意義
 - －疫学調査、市場調査 etc.
 - －治験・臨床研究への患者リクルート
 - －自然歴・対照群としての活用
- 2) 企業が活用する際の問題点の整理
 - －倫理的課題、コンソーシアム、対価、運営資金 etc.
- 3) 自然歴調査、対照群としての活用可能性
 - －必要な領域
 - －システム要件、登録項目、データの質の確保

検討内容
の報告

検討結果の
フィードバック

各NC等
ワーキンググループ

班会議のスケジュール

	留意事項等	開催時期
第一回班会議	各NC等ワーキングの現状報告、論点整理、今後の予定	平成27年11月17日
第二回班会議	中間報告	平成28年1月26日
第三回班会議	最終取りまとめ	平成28年3月4日