

臨床開発に係る取組

(クリニカル・イノベーション・ネットワーク)

平成29年3月
厚生労働省医政局
研究開発振興課

日本再興戦略2016（平成28年6月2日閣議決定） 抜粋

2. 世界最先端の健康立国へ

(2) 新たに講ずべき具体的な施策

iv) 日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化、グローバル市場獲得・国際貢献

② クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築等によるイノベーション推進

国立高度専門医療研究センター（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「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。

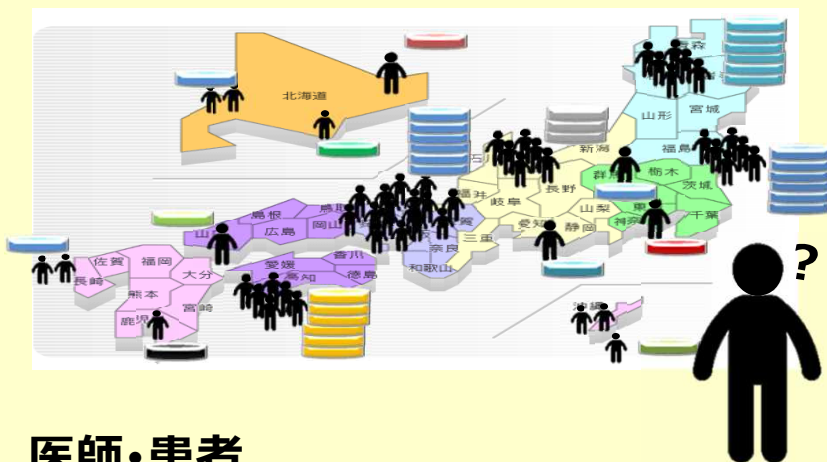
また、疾病の早期発見・早期治療による先制医療や、患者の個人差を踏まえた個別化医療、再生医療といった先端技術を活用し、効果的な医療を実現するため、医療機関、企業、研究機関等が緊密に連携し、人工知能、IoT技術、高精細映像技術等を活用した診断支援システムなどの開発支援や、それらの実用化に当たって要となる性能や安全性の評価技術・体制の整備を行う。その際、人工知能を活用した医療診断支援システムを含め適用される「医療機器プログラムの承認申請に関するガイダンス」（本年3月31日公表）の周知を図り実用化を後押しするとともに、再生医療等製品やバイオ医薬品の製造技術の開発、早期診断技術の開発等を支援する。

さらに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）においては、薬事戦略相談による実用化促進のための支援を強化するとともに、臨床試験成績等のビッグデータを活用し、データ解析等による新たな薬効評価の指標・手法の開発やガイドライン作成等とそれを通じた企業による開発促進の実現に向けて、本年度から試行的に取組を開始した上で、2018年には本格的な取組を行うレギュラトリーサイエンスセンターを設置する。その取組を踏まえ、MID-NETの診療データ及びNC等の疾患登録情報の解析や、企業や医療機関でのMID-NETの活用促進を通じて、安全対策の強化を図る。

疾患登録システム

※疾患登録システム：患者が、どこに、何の疾患で、どのような状態で存在しているかを集めたデータバンク

現状、疾患関連情報が全国に点在



医師・患者

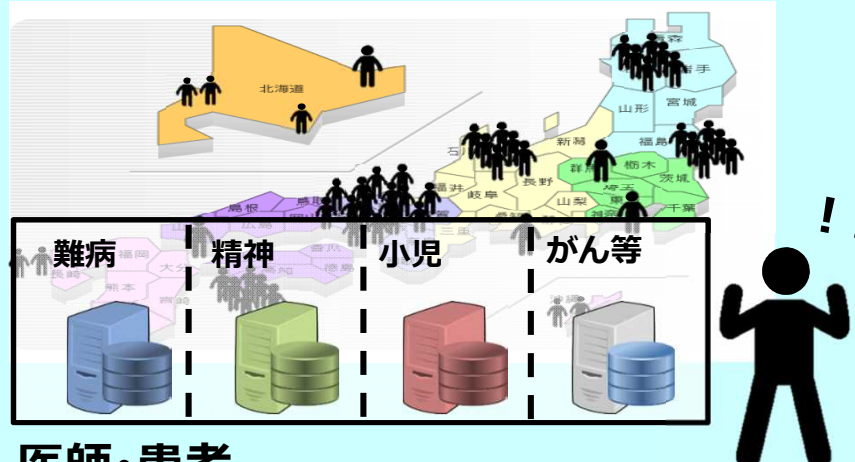
- ・病状から病名が診断できない
- ・治療機会がない
- ・どこの病院に行けば良いの？

製薬企業

- ・市場規模は？
- ・患者リクルートが困難
- ・調べるには、コストと手間がかかる

臨床研究開発を躊躇！！

疾患登録システムが整備されると



医師・患者

- ・患者数・分布等が把握できる
- ・専門的知見等を有する医療機関・医師が分かる
- ・どこの病院に行けば良いか分かる

製薬企業

- ・市場性がわかる
- ・患者リクルートが容易
- ・臨床研究開発コストが削減

**希少疾患・難病であっても、
臨床研究開発が進む！！**

疾患登録システムの活用例

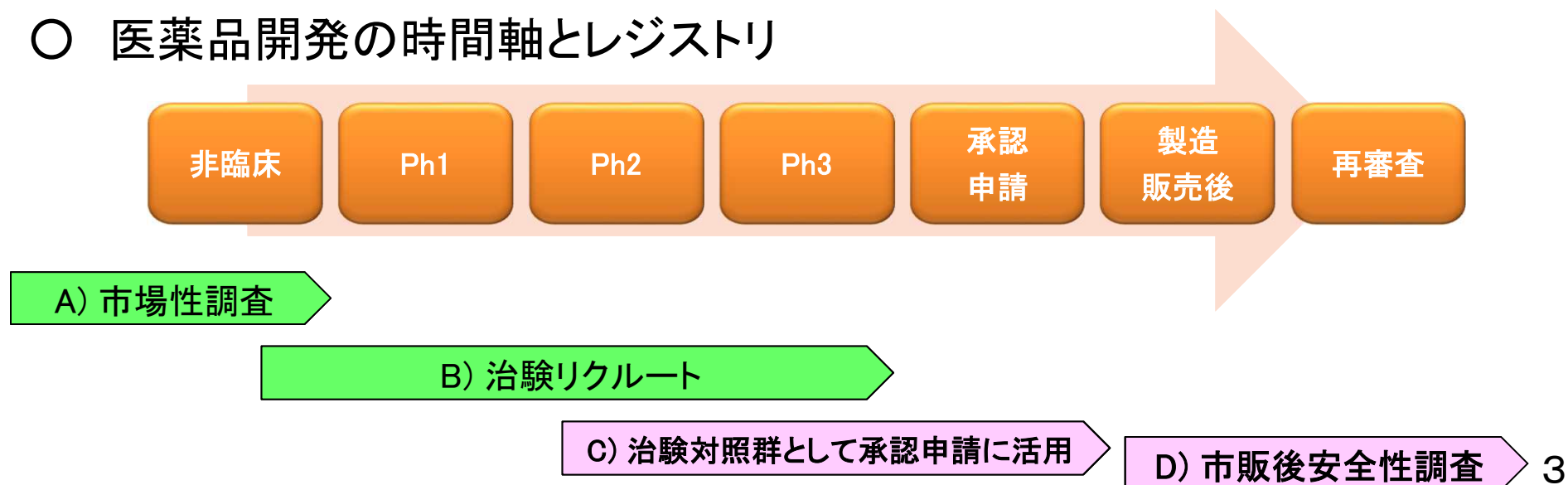
○ レジストリの分類（企業の活用方法として、主に、下記の4つを想定）

- 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、新たなレジストリを構築・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レジストリ



クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築 (疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備)

平成29年度予算案 (平成28年度予算額)
コア事業 ※ 20.7億円 (7.6億円)
 ※ 疾患登録情報を活用した治験・臨床研究等

【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。

平成29年度 CIN コア事業 (疾患登録情報を活用した治験・臨床研究の推進)

- 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 7.1億円 (1.1億円)
 - ② 医薬品 10.6億円 (4.8億円)
 - ③ 医療機器 2.5億円 (1.5億円)
 - ④ 疾患登録システムの利活用支援 0.3億円 (新規)
- 規制当局と連携した新しい研究手法の検討
 - ⑤ 疾患登録情報を臨床開発に活用する手法の研究 0.2億円 (0.2億円)



国内開発の活性化
 海外企業の呼び込み

クリニカル・イノベーション・ネットワーク関連事業

平成29年度予算案（平成28年度予算額）
 CIN関連事業 27.6億円（23.0億円）
 （CIN全体 48.3億円（30.6億円））

平成29年度 CIN関連事業（産学官連携研究、治験・臨床研究環境の整備、人材育成、国際展開等）

- 産学官連携による創薬等の推進
 - ⑥ 創薬 2.5億円（2.8億円）
 - ⑦ 再生医療 2.8億円（0.2億円）
- 治験・臨床研究環境整備
 - ⑧ 臨床研究中核病院の実用化促進体制の充実等 16.0億円（16.5億円）
 - ⑨ 難病・希少疾病〔医薬基盤・健康・栄養研〕 0.3億円（2百万円）
 - ⑩ 再生医療 2.6億円（2.3億円）
- 人材育成
 - ⑪ 生物統計家の人材育成 2百万円（2百万円）
 ・ 臨床研究・医師主導治験（再掲） 10.6億円の内数（4.8億円の内数）
- 国際共同治験の推進等
 - ⑫ アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター〔PMDA〕 1.2億円（1.2億円）
 - ⑬ 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（新規）



国内開発の活性化
 海外企業の呼び込み

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

| 事業概要 | 研究代表者 | 所属 | 研究課題名 |
|-------------------------|-------|--------------------------|---|
| 疾患登録システムを活用した臨床研究・治験の推進 | 小牧 宏文 | 国立精神・神経医療研究センター | 疾患登録システムの効果的活用に基づく筋ジストロフィーの医師主導治験、ならびに医薬品開発に資する臨床研究の実施 |
| | 野村 政壽 | 九州大学病院 | 患者レジストリを活用した難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群の病態解明と11β-HSD1阻害剤の臨床開発 |
| | 米盛 勸 | 国立がん研究センター中央病院 | がん領域Clinical Innovation Network事業による超希少がんの臨床開発と基盤整備を行う総合研究 |
| | 岡本 涉 | 国立がん研究センター東病院 | 産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)患者レジストリを活用したHER2陽性の切除不能・再発大腸がんを対象にした医師主導治験 |
| | 小関 道夫 | 岐阜大学医学部附属病院 | 難治性リンパ管異常に対するシロリムス療法確立のための研究 |
| 医療機器 | 飯原 弘二 | 九州大学医学研究院 | 脳卒中高リスク群を抽出する革新的な臨床診断意思決定システムの開発に関する研究 |
| 疾患登録システムの構築 | 大津 敦 | 国立がん研究センター東病院 | 産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)を利用したがん新薬開発に資する疾患登録システムの構築 |
| | 祖父江 元 | 名古屋大学大学院 | 筋萎縮性側索硬化症患者の疾患登録システムの研究開発 |
| | 中村 治雅 | 国立精神・神経医療研究センター | 難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進を目指した疾患登録システム(患者レジストリ)の構築 |
| 医療機器 | 嘉山 孝正 | 日本脳神経外科学会 | 脳神経外科学会データベースを用いた医療機器開発のためのコンソーシアムの運用と実用化に関する研究 |
| 疾患登録システム及び治験ネットワークの連携等 | 武田 伸一 | 国立精神・神経医療研究センター | 疾患登録システムの有効活用によるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進方策に関する研究 |
| 規制当局と連携した新しい研究手法の検討 | 林 邦彦 | 群馬大学大学院保健学研究科 医学部保健学科 | 患者レジストリーデータを用い、臨床開発の効率化を目指すレギュラトリーサイエンス研究 |

背景

「日本再興戦略(平成28年6月2日閣議決定)」において、「国立高度専門医療研究センター(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「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築を推進し、効率的な臨床開発のための環境整備を進める。」と決定され、平成28年度より、クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築が進められている。

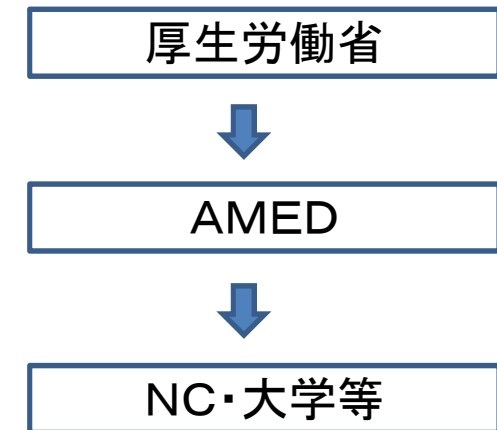
現状・課題

疾患登録レジストリは、患者の把握、治験・臨床研究へのエントリ、市販後安全対策等、様々な目的のために構築されており、医薬品等の治験・臨床研究の推進に貢献しているが、

- ① 利用目的に応じた必要な情報が収集されていないなど、必ずしも企業が活用しやすいものとなっていない
- ② 大学、NC、学会など様々な機関がその運用を独自に行っていることから、どこにどのような種類のレジストリが構築されているのか判然としない

との指摘がある。

※ 資金の流れ



対応方針

疾患登録レジストリの更なる活用を図り、CIN構想を加速させるため、

- ① 利用目的毎にレジストリ情報を収集し
- ② 治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービス化を推進する。

