

事業実施体制及び平成30年度予算案等

厚生労働省 医政局
研究開発振興課

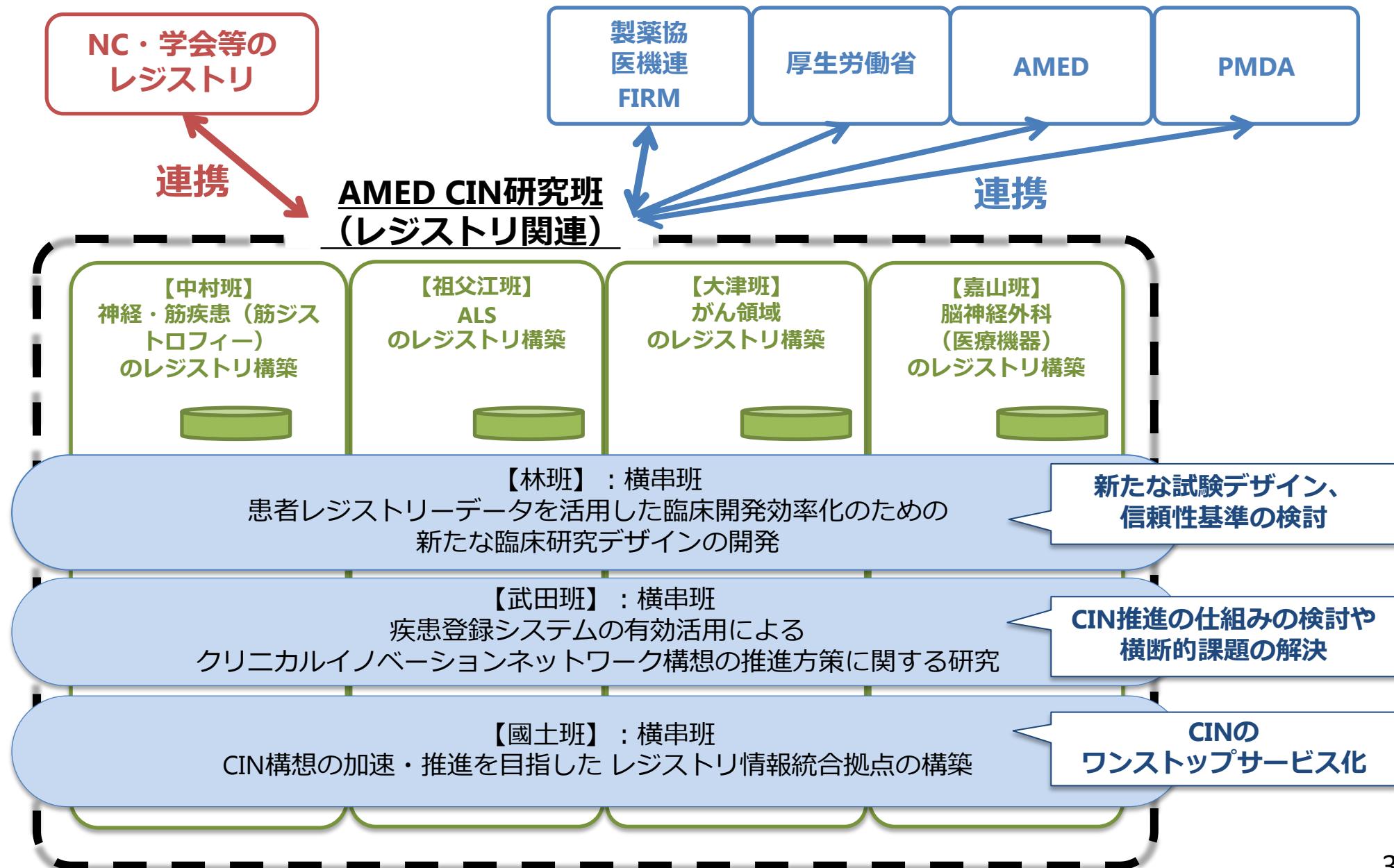
平成29年度のコア事業取組例

事業概要	研究代表者	所属	研究課題名
疾患登録システムの構築	医薬品	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	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ック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	日本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ック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	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リーサイエンス研究	
疾患登録システムの利活用支援	○國土 典宏 国立国際医療研究センター	CIN構想の加速・推進を目指したレジストリ情報統合拠点の構築	

平成29年度のコア事業取組例

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	久留米大学	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11 β -HSD1阻害剤の臨床開発
	米盛 勘	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 渉	国立がん研究センター 東病院	产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	難治性リンパ管異常にに対するシロリムス療法確立のための研究
	○吉野 孝之	国立がん研究センター 東病院	产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BRAF遺伝子変異陽性切除不能・再発大腸がんを対象にした医師主導治験
	○檜山 英三	広島大学	小児がんレジストリーを用いた転移性肝芽腫に対する薬剤開発戦略としての国際共同臨床試験
	○森実 千種	国立がん研究センター 中央病院	产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陽性の切除不能または再発胆道癌に対する医師主導治験
	○植田 真一郎	琉球大学	糖尿病合併冠動脈疾患レジストリを基盤としたコルヒチン第3相検証的試験の実施とRCT On Registryに向けたレジストリデータの品質管理と標準化に関する研究
	○加藤 光広	昭和大学	限局性皮質異形成Ⅱ型のてんかん発作に対するシロリムスの有効性と安全性に関する無対照非盲検医師主導治験
医療機器	飯原 弘二	九州大学	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

コア事業の研究実施体制



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30年度予算案 (平成29年度予算額)
コア事業 ※ 17.0億円 (20.7億円)
※ 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、世界的に高騰している。
- 近年、海外では疾患登録情報（リアルワールドデータ）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】

- 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・臨床研究を実施する。
- 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30年度 C I N 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

- 難病患者登録データベースの構築 1.8億円 (7.1億円)
- 医薬品 11.2億円 (10.6億円)
- 医療機器 3.1億円 (2.5億円)
- 疾患登録システムの利活用支援 0.7億円 (0.3億円)

○ 規制当局と連携した新しい研究手法の検討

- 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)

臨床研究中核病院

N C (国立高度専門医療研究センター) 等



M H L W

P M D A

A M E D



疾患登録
システムの
構築・活用
治験コンソ
ーシアムの形成

企業



- 臨床開発に活用
- 迅速かつ経済効率的な治験の実施

国内開発の活性化
海外企業の呼び込み

平成30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 2.8億円 (2.5億円)
⑦ 再生医療 9.2億円 (2.8億円)

○ 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 23.5億円 (16.0億円)
⑨ 難病・希少疾病 [医薬基盤・健康・栄養研] 0.8億円 (0.3億円)

- ⑩ 再生医療 2.8億円 (2.6億円)

○ 人材育成

- ⑪ 生物統計家人材育成 2百万円 (2百万円)
・ 臨床研究・医師主導治験 (再掲) 11.2億円の内数 (10.6億円の内数)

○ 国際共同治験の推進等

- ⑫ アジア薬事トレーニングセンター (PMDA) 1.3億円 (1.2億円)

- ⑬ 國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)

臨床研究中核病院

N C (国立高度専門医療研究センター) 等

アジアの拠点

MHLW

PMDA

AMED



治験コンソーシアムの形成

企業



- ・ 臨床開発に活用
- ・ 迅速かつ経済効率的な治験の実施

海外企業の呼び込み
国内開発の活性化

課題① 開発が進んでいない領域

- わが国では、患者数が少なく治験が難しい小児領域や希少疾病領域等での医薬品や医療機器の開発は必ずしも円滑に進んでいるといえない。



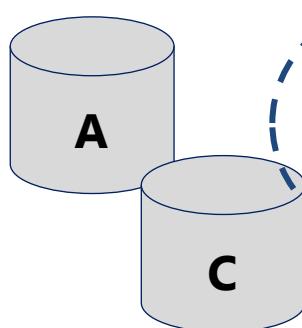
課題② レジストリの活用が不十分

- 希少疾病・難病及び小児分野の慢性特定疾患等を対象としたレジストリは存在するが、それらのデータが企業側の開発に結びついていない。
一方、一部で、すでに产学研連携によりレジストリデータを治験リクルート等に活用している例もある。

平成29年度CIN調査 (実施中) H29年度当初予算 0.3億円

全国のレジストリ情報の収集・公開

※調査結果は、リスト化して公開



このレジストリを使ってみたい

製薬企業・
医療機器メーカー等

調査項目:

- ・対象分野・疾患
- ・データ数
- ・登録項目数、項目内容
- ・検体等の試料の有無及びその保存状態
- ・患者情報の同意取得状況

そこで

この要望を元に

企業ニーズを踏まえた
レジストリ改修・活用 (新規)

H29年度補正予算
1.9億円

開発が進んでいない領域 (小児領域、希少疾病領域等) のレジストリを保有している機関とそのレジストリを活用したい企業とを、AMEDを介してマッチング (平成29年度末から半年程度を予定)

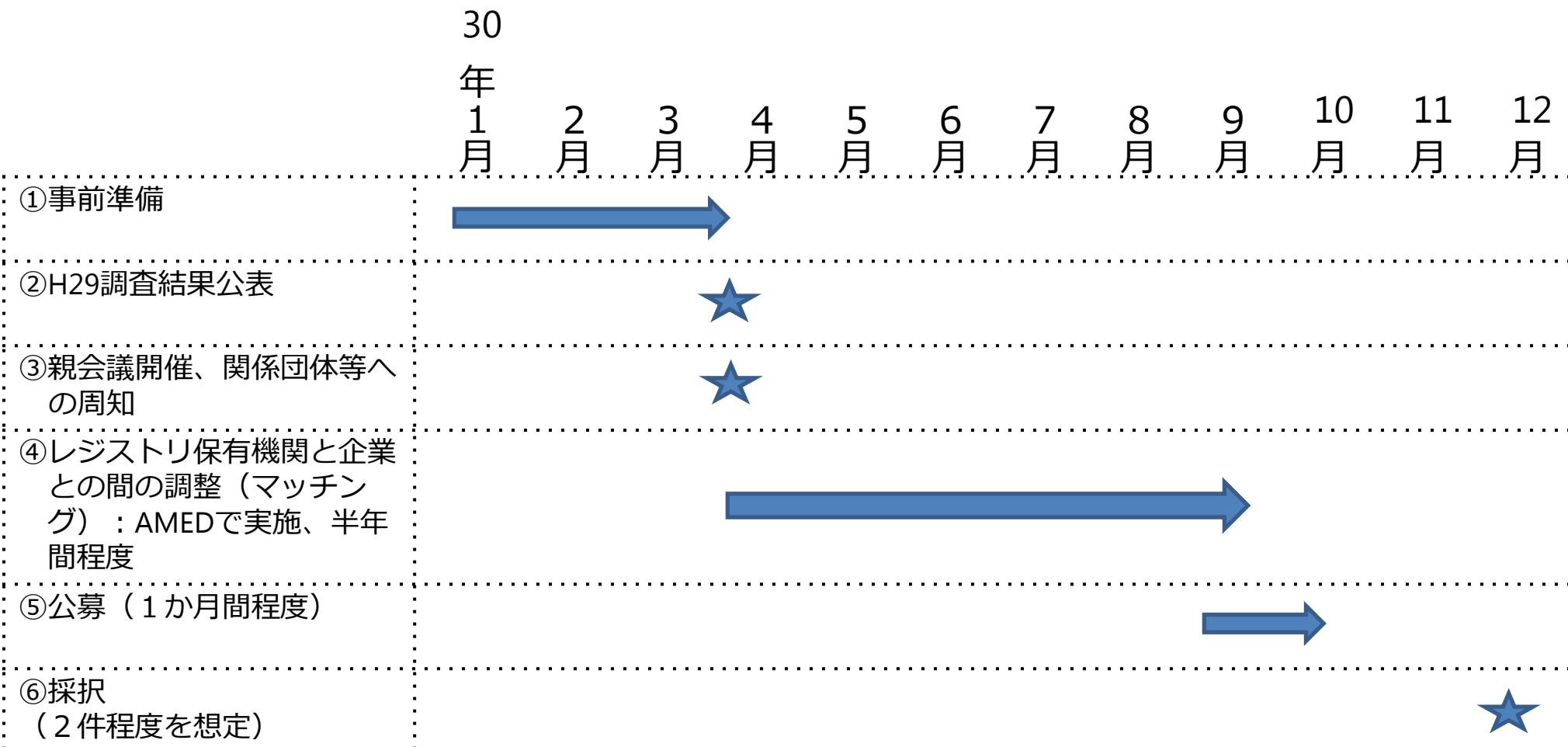
公募し、実施主体を決定 (契約締結)

事業実施 (企業ニーズに応じてレジストリを改修 平成30年度末まで)

※その後、平成31年度末までの間で、データを収集等を実施し、レジストリを実際に活用

【活用例】①レジストリデータの統計解析結果や観察研究を契機とした開発の基礎研究の開始、②対照群・ヒストリカルデータとしての活用、③データに紐付く生体試料等の活用
④製造販売後調査 等

CIN推進支援事業（企業ニーズを踏まえたレジストリの改修及び活用） のスケジュール



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

疾患登録システム（患者レジストリ）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、

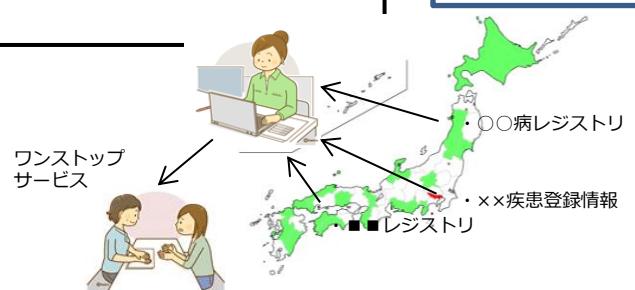
- ① 利用目的に応じた必要な情報が収集されていないなど、必ずしも企業が活用しやすいものとなっていない
- ② 大学、NC、学会など様々な機関がその運用を独自に行っていることから、どこにどのような種類のレジストリーが構築されているのか判然としないとの指摘がある。

【資金の流れ】

厚生労働省

A M E D

N C ・ 大学等



平成29年度実施内容

全国に散在する患者レジストリ情報を収集し、公開を開始

平成29年度に本事業で収集した患者レジストリ情報を基に

平成30年度実施内容

C I N 構想を実用化に向けて
収集した患者レジストリ情報の利活用を加速するため、
登録項目(同意取得、利用目的等)を精査

AMED
研究班の
成果反映

AMED 臨床研究・治験推進研究事業

- 企業等における疾患登録システムの活用に関する検討
- 疾患登録システムの活用に係る費用負担のあり方に関する検討

(参考) 「企業ニーズを踏まえたレジストリの改修及び活用」のイメージ

1. 目的及び実施内容

- わが国では、患者数が少なく治験が難しい小児領域や希少疾病領域等において、医薬品や医療機器の開発が必ずしも円滑に進んでいくといえない。特に小児領域については、小児の適用を含む承認数が増加傾向にあるものの、小児適用を含む医薬品等の絶対数は未だに少ない状況にある。
- 医薬品等の開発に関する全般的な動きとしては、開発費用が世界的に高騰しており、近年、海外では疾患登録情報（リアルワールドデータ）を活用した新たな臨床開発手法が注目を集めている。我が国でも、既に産学連携によりレジストリデータを治験リクルート等に活用している例もあり、国立高度専門医療研究センター（NC）、学会等においてもレジストリの構築が進んでいる。このため、各NCや学会など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効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制の構築を推進してきている。
- 他方、上記の小児領域や希少疾病領域等については、難病や小児分野の慢性特定疾患等を対象としたレジストリは存在するものの、それらのデータが企業側の開発に必ずしも結びついていない状況にある。
- 以上の点を踏まえ、小児領域や希少疾病領域など、医薬品等の開発が難しい領域における開発を促進する観点から、レジストリを保有する医療機関等とそうした領域での開発等の意思がある医薬品・医療機器企業とが共同（※1）し、企業側のニーズに応じてレジストリを改修しつつ、開発等に活用（※2）することで、同領域における医薬品等の開発を促進しつつ、レジストリの活用の促進を図る。

※1 共同に当たっては、事前に国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が両者のニーズ等の調整（マッチング）を実施する。

※2 活用例：①レジストリデータの統計解析結果や観察研究を契機とした開発の基礎研究の開始、②対照群・ヒストリカルデータとしての活用、③データに紐付く生体試料等の活用、④製造販売後調査等を想定

2. 事業実施主体

疾患レジストリを保有する医療機関、学会等（2施設程度を想定）及び

当該レジストリを活用した開発等の意思がある製薬企業又は医療機器企業

※ 実施主体の採択にあたっては、小児領域、希少疾病（難病）領域その他開発が進みにくい領域の疾患レジストリを優先する。

3. 実施期間

平成29年度末から平成31年度末まで

4. 予算（費用負担）イメージ

平成29～30年度（初年度）：レジストリ改修等の費用として、0.9億円程度×2か所 ※初年度は企業負担なし

平成31年度（2年目）：データ収集費等（未定） ※国の予算：企業拠出 = 1 : 1

5. その他

医療機関等と企業側との契約に当たっては、研究成果の帰属、レジストリデータ・試料の使用料等について取り決めることとする。

CIN事業の今後の進め方について

クリニカルエビデンス構築促進パッケージ (CINとMID-NETの融合)

高齢化の進行等に伴い、**国民医療費が増加の一途**
新薬、新医療機器等の**開発コストが世界的に高騰**

※リアルワールドデータ（実臨床での情報）の活用について業界団体
からも強い要望（平成29年官民対話）

そこで

CIN

平成26年～

クリニカル・イノベーション・ネットワーク

- 国立高度専門医療研究センターや学会などの疾患登録システム（レジストリ）を活用した**効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進**し、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するため、

- ① レジストリに関する情報を整理、治験等を推進するための課題解決を行う体制を構築
- ② レジストリの要件及び信頼性基準を確立、薬事承認・再審査にレジストリを用いるためのガイドラインを策定 等

を実施



MID-NET

平成30年から本格運用

- 全国の拠点病院（現時点で10拠点）の電子カルテ等の医療情報を大規模に収集・解析
- ビッグデータの活用により、**医薬品等の安全対策の高度化を推進**

⇒これまでの副作用報告制度では把握できなかつた**副作用の発現頻度を評価が可能に**

⇒リアルワールドを反映した副作用・投与実態等を迅速・低コスト・能動的に収集することが可能に

相乗効果

- MID-NETのノウハウにより、**基本的な診療データを精度良く、かつ自動的に収集する仕組みが全国に拡大**
- **治験・臨床研究、市販後安全対策の効率化（医療従事者の負担軽減）**が進み、それぞれの**質も着実に向上**
- **開発から市販後の安全対策までのクリニカルエビデンス構築が一層促進**され、**創薬や市販後安全対策の効率化、低コスト化が実現**
- **医療費の低減にも寄与**