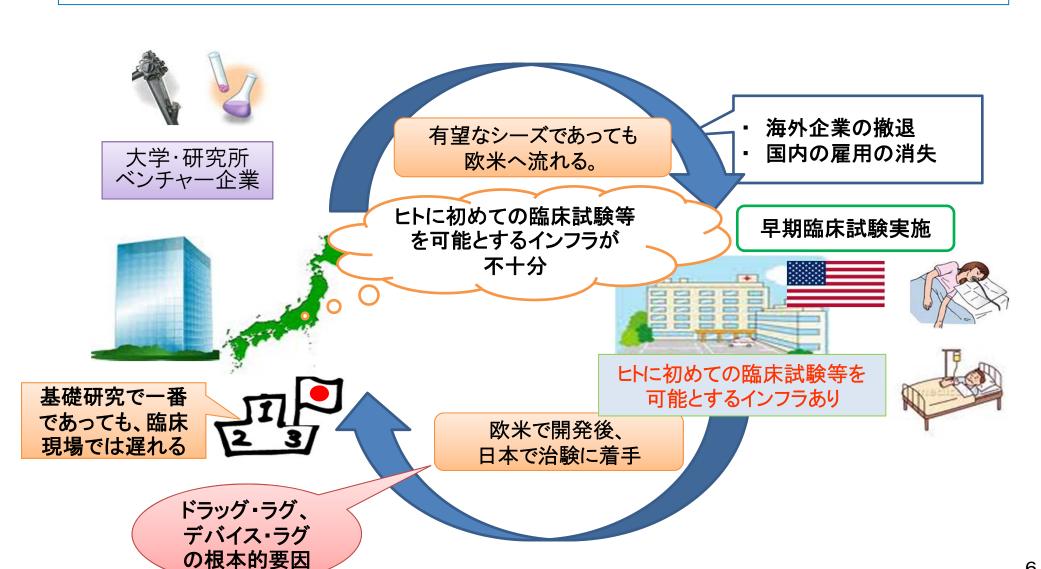
現状の医薬品・医療機器開発の問題点

○ 日本発のシーズであるにもかかわらず、欧米での臨床試験・開発が先行し、日本の患者がその恩恵 を受けるのが欧米より遅れるケースもある → 患者·国民の理解が得られない。



革新的新薬・医療機器創出のための臨床研究中核病院の創設

現状では、欧米に比べ、 早期・探索的臨床試験の インフラが不十分

大学·研究所 ベンチャー企業

> 有望なシーズを 速やかに臨床試験へ

> > 薬事戦略 相談



文部科学省

- ・大学等を中心とした基礎研究
- ・臨床研究等へ繋げるための取組

三省協働に よる推進

厚生労働省

- ・治験・臨床研究
- ・医療現場との連携

経済産業省

- ・研究成果の産業化
- ・産業界との連携

ヒトに初めての臨床試験を可能とするインフラの整備

特定分野の拠点病院



- 〇特定領域(癌、神経・精神、 脳心血管等)において15ヶ所程度
 - ・企画、立案、評価のための 人材が重要。
 - ①医師(臨床試験の精通者)
 - ②臨床研究コーディネーター
 - ③生物統計家
 - 4プロジェクトマネージャー
 - ⑤関係法令の精通者 等
 - ▪設備整備
 - ・新規薬物等の品質確保
 - •非臨床試験

早期•探索的臨床試験



実施



- 〇個別の臨床試験に以下 - の費用が必要
 - ・治験薬の製造
 - データモニタリング業務
 - データ管理業務

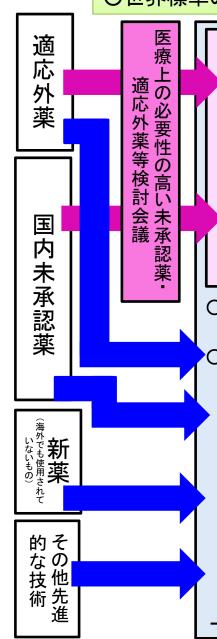


世界に先駆けた 日本発の革新的 新薬・医療機器 を創出

先進医療制度の運用の見直し(案)

平成22年11月26日 中央社会保険医療協議会 資料を基に作成

- 〇先進医療制度の申請・審査手続きの効率化
- 〇世界標準の医薬品へのアクセス向上



- 基本的に企業への開発要請から1年以内に治験又は半年以内に公知申請(適応外薬のみ)
- 例外として、開発企業を公募している場合等結果として長期間治験が着手されない場合、
 - 1-1 海外の実績等から安全性等が確認されたものを用いる技術を<u>あらかじめ先進医療の</u> 対象技術として特定し、
 - 1-2 当該技術を先進医療として実施可能な機関群をあらかじめ特定した上で、
 - 1-3 実施を希望する医療機関の申請により<u>実施計画書を審査して、実施可能</u>とし、 ※適応外薬を使用するものについては当該審査を外部機関において実施できることとする
 - 1-4 当該先進医療の実績により一定程度の<u>薬事承認の効率化を図る</u> (国際的なGCP基準を満たす場合など、臨床試験の質を確保できた場合)
- →先進医療制度の申請・審査手続きの効率化、世界標準の医薬品へのアクセス向上
- 未承認、適応外の医薬品や機器を用いた技術、その他先進的な技術は、それぞれ薬事承認や 技術評価分科会での評価を経て保険適用されている。
- こうした技術のうち一定のものについては、将来的な保険導入の必要性の可否を評価するため ・ 先進医療として申請に基づく審査を経て保険外併用療養費制度の対象となっている。
- 2-1 現在、第2項先進医療は先進医療専門家会議を経て技術及び施設要件を決定、第3項先進医療は当該会議及び高度医療評価会議を経て技術及び個別の施設を決定しているが、 当該二つの会議を改組し、より効率的、重点的な審査を行う。
- 2-2 現在、先進医療の申請には、国内で一定の実施実績が必要とされているが、一定の高度 な臨床研究機能を有する医療機関等において実施する場合には、申請された技術の成熟 度等に応じて、申請に必要な実施実績を先進医療の対象とする。
- 2-3 特に現行の第2項先進医療については、診療報酬改定に合わせて当該技術の評価を行っているところであるが、実施計画書において実施期間を明記するなど、当該評価に加えて、 当該期間の終了時において的確な評価を行うこととする。
- →先進医療制度の申請・審査手続きの効率化

8

臨床研究の成果等を治験や承認につなげるための基盤整備 及び効果的な保険償還価格の設定

アカデミア・ベンチャー等の優れたシーズを日本発の革新的医薬品・医療機器として実用化に結びつけるための強力なサポート体制を構築するとともに、保険償還価格の設定において、医療経済的な観点も踏まえ、より適切なイノベーションの評価を検討する。

これまでの課題

- 画期的な医薬品・医療機器の開発には、有望なシーズの絶え間ない供給とその実用化への方策が重要だが、国内では、有望なシーズを発見したアカデミア(大学)、ベンチャー等が、製品化につながるための開発戦略に不案内ということがあり、実用化に向けての橋渡しが円滑に進められていない現状がある。
- このような革新的な医薬品・医療機器 等の研究開発を促進するためには、これら に係る保険償還価格の設定において、医 薬品・医療機器のイノベーションをより適切 に評価するとともに、保険財政を効率的・効 果的に活用していくことが求められる。

具体的な政策

- 〇 実務的な相談支援
- ・(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)において、大学・ベンチャー等を対象に、日本発のシーズを非臨床・臨床試験、治験、承認を経て実用化につなげるための実務的な相談(薬事戦略相談)に応じる。
- OPMDA等の体制強化
 - ・相談支援の着実な実施(相談員の確保)
 - ・審査人員の増員
 - ・PMDAの有為な人材の獲得に向けた就業規則の見直し
 - ・実用化を見据えたレギュラトリーサイエンス(※)の推進
 - (※)科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、 科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学
- (独)医薬基盤研究所による橋渡し研究や、オーファンドラッグ(希少疾病 用医薬品)・オーファンデバイス(希少疾病用医療機器)の研究開発の拡充
- 薬価・医療機器の保険償還価格等の設定におけるイノベーションや医療 経済的な観点を踏まえた評価のさらなる検討



新医薬品・医療機器の創出(薬事戦略相談事業)

日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器に関する薬事戦略の相談事業

「薬事戦略相談を導入し、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出につなげる」

背景

- 創薬の開発に要する期間・コストの増加傾向等により、シーズ探索段階の基礎研究に注力することが難しい。
- 画期的な医薬品・医療機器の開発には、有望なシーズの絶え間ない供給とその実用化への方策が重要。
- 国内では、有望なシーズを発見したアカデミア(大学)、ベンチャー等が、製品化につなげるための開発戦略に不案内ということがあり、実用化に向けての橋渡しが円滑に進められていない現状がある。

概要

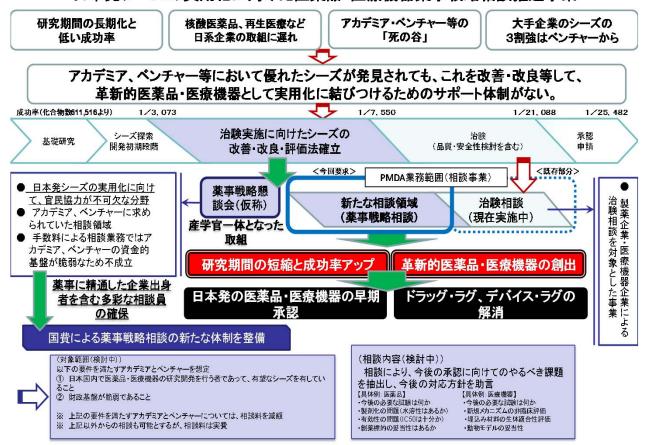
- 〇 シーズ発見後のアカデミア(大学)、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とする「薬事戦略相談」を導入する。
- 「薬事戦略相談」においては、薬事に精通した製薬企業 出身者を含む多彩な相談員を確保して、開発・薬事の相談に 応じる。
- 〇 官民協力により事業を推進するため、「医薬品・医療機器 薬事戦略懇談会(仮称)」を設置し、相談事業の優先順位付 け、実現可能性等の検討を行う。

目標

- 日本発の医薬品・医療機器の早期承認
- ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消

(事業イメージ)

日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器薬事戦略相談推進事業



PMDAの審査体制等の強化

【PMDAの常勤数の推移】

	平成16年 4月1日	平成17年 4月1日	平成18年 4月1日	平成19年 4月1日	平成20年 4月1日	平成21年 4月1日	平成22年 4月1日	平成23年 4月1日	第2期中期 計画期末 (25年度末)
機構全体	256名	291名	319名	341名	426名	521名	605名	648名	751名 (現行計画)
うち審査部門	154名	178名	197名	206名	277名	350名	389名	415名	
うち安全部門	29名	43名	49名	57名	65名	82名	123名	133名	



革新的医薬品・医療機器の実用化を見据え、レギュラトリーサイエンスの推進のため、引き続き合理化・効率化を図りつつ、今後、さらなる増員等について検討

日本発の革新的医薬品・医療機器の迅速な実用化に向けて - レギュラトリーサイエンスの推進 -

我が国の医薬品・医療機器開発の現状

革新的な医薬品・医療機器の評価の考え方・手法が確立されていない

開発ストラテジーが設計できず、開発の見通しが立たない。 基礎研究の成果(創薬シーズ)が実用化につながっていかない。

基礎研究

日本発の創薬シーズ

結果として欧米に流出するケースあり

非臨床試験 臨床試験

実用化

革新的医薬品 医療機器

問題点の例

再生医療等に用いる細胞・組織やがんワクチン等のバイオ医薬品に関する品質・毒性試験 法が確立していない。

> 人での安全性・有効性を適切に評価できるバイオ マーカーが必要(開発が非効率)

品質試験

必要な被験者数の明確化や試験を 効率的に進めるデザインが必要

人への影響を確実に把握できる市販後 安全システムを構築することが必要

出口(実用化)を見据えた開発を可能とするために 迅速な実用化を可能とするために・有効性と安全性を確保するために

レギュラトリーサイエンス研究の推進が不可欠

希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス) の指定制度について

制度の目的

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・ 医療機器の開発を支援する。

オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

対象者数

対象者数が国内において5万人に達しないこと

医療上の必要性

代替する適切な医薬品・医療機器又は治療方法がない こと、又は既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又 は安全性が期待されること

開発の可能性

対象疾病に対して、当該医薬品・医療機器を使用する 根拠があり、開発計画が妥当であること



支援等の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施

<PMDA>

総審査期間の中央値 (平成23年度PMDA目標)



新医薬品(優先品目)9ヵ月 (通常品目は12ヵ月) 新医療機器(優先品目)は15ヵ月 (通常品目は20ヵ月)

申請手数料の減額

試験研究費への助成金交付

く(独)医薬基盤研究所>

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の 2分の1に相当する額を上限。

税制措置上の優遇措置

<(独)医薬基盤研究所による認定>

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

研究開発に関する指導・助言

★(独)医薬基盤研究所>

医薬基盤研究所による助成金交付事業について

助成対象

厚生労働大臣から指定を受けたオーファンドラッグ・デバイスの研究開発に助成金を交付。助成対象は、指定を受けた日以降、承認申請までに行われる試験研究の費用であるものの、指定を受けたからといって助成金交付を受ける義務を課すものではない。

助成経費

オーファンドラッグ・デバイスに関する試験研究を遂行するため直接必要な経費。

助成額

平成19年度以降は6~7億円の間で推移しているところ。

運営費交付金の範囲で、助成金の交付対象となる経費の50%に相当する金額を限度としているが、予算の制約もあり、<u>平均助成率は平成21年度で36.9%、平成</u>22年度は38.2%で40%を下回っている状況。

助成期間

助成金の交付が開始された事業年度から原則として3事業年度

13

医療上必要な医薬品・医療機器の患者への迅速な提供

(ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグへの対応)

医療上必要な医薬品・医療機器が患者に迅速に提供されるよう、ドラッグ・ラグやデバイス・ラグを解消するための取組を推進する。

これまでの課題

- 世界標準の医薬品・医療機器のうち、日本において承認されていない等の理由で必要な医療への患者のアクセスが遅れているものがある
- 〇その背景には、
 - ・薬事申請までに時間を要している という「申請ラグ」
 - ・薬事審査に時間を要している という「審査ラグ」

等の課題がある

具体的な政策

〇申請ラグ短縮への取組

・実務的な相談支援(再掲)

○審査ラグ短縮への取組

・新医療機器、改良医療機器、後発医療機器の区分ごとに 専門の審査チームを設ける3トラック審査制を導入

○医療保険制度における取組

- ・「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に おいて医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、 長期間治験の実施が見込まれない場合に先進医療制度の 運用を効率化すること等を検討
- ・先進医療における実績等により薬事承認審査の一定程度の 効率化を図るため、PMDAの相談制度を活用するなど、当該 先進医療の質を確保
- 〇上記の他、「革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略」「医療機器の審査迅速化アクションプログラム」に基づく取組を推進



ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの推移について

現状と目標

医薬品

● 目標

「<u>革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略</u>」に基づき、ドラッグ・ラグを解消し、米国並みとする

平成16年度

平成23年度

30か月(2.5年) ※申請ラグ 18か月

審査ラグ 12か月



O年

● 最近の実績

(米国との差)		18年度	19年度	20年度	21年度
ドラッグ・ラグ(月)		28	41	28	24
	申請ラグ(月)	14	29	19	18
	審査ラグ(月)	14	12	9	6

医療機器

● 目標

「<u>医療機器の審査迅速化アクションプログラム</u>」に基づき、デバイス・ラグを解消し、米国並みとする

平成17年度

平成25年度

19か月

※申請ラグ 12か月 審査ラグ 7か月



Oか月

● 最近の実績

(米国との差)		18年度	8年度 19年度		21年度
デバイス・ラグ(月)		17	14	23	36
	申請ラグ(月)	12	12	18	36
	審査ラグ(月)※	5	2	5	0

- ※米国の平成18年度以降の総審査期間のデータが公表されていないため、 平成17年度(14.5月)と同等と仮定して比較
- ※デバイス・ラグの数値については、新医薬品と比較して新医療機器として 承認される品目数が少なく増減が多くなること、また、世界で先行して承 認されている未承認医療機器の掘り起こし(申請の促進)による申請ラグ の顕在化(長期化する傾向があること)に留意が必要。

ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消による革新的医薬品の創出等について

取組

1. 世界に先駆けた 革新的医薬品等創出 医薬品•医療機器

● 薬事戦略相談の創設

H23年度中実施予定

アカデミア・ベンチャー等による優れたシーズを実用化につなげるための新たな相談 体制を創設する。(<u>成長戦略)(平成23年度中実施予定)。</u>産学官一体となった取組として、薬事戦略懇談会(仮称)の設置。

医薬品•医療機器

● 治験のあり方に関する懇談会

平成22年9月から実施

2. 世界で先行している 未承認薬等への対応

治験を管理又は実施する関係者等から治験の効率的な実施に必要と考えられる 課題に関する意見を聴取する。

(2-1). 早期申請による早期承認

医薬品

● 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

継続実施

¦ 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬について、製薬企業に開発要請を行うこと等により早期 ¦ 承認につなげる。

医療機器

● 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会

継続実施

医療ニーズの高い未承認医療機器等について、企業に開発要請を行うこと等により早期承認につなげる。

(2-2). 早期保険適用

医薬品

● 公知申請における保険上の取扱い

平成22年8月末から実施

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において検討され、薬事・食品衛生審議会において、公 知申請で差し支えないとされた適応外薬の効能等について、承認を待たず、保険適用とする。

3. 医療機器審査の 合理化

(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

医療機器

● 3トラック審査制の導入

平成23年度から実施

新規性の程度によって審査プロセスを明確にした上で、新医療機器、改良医療機器、後発医療機器の区分ごとに専門の審査チームを設ける3トラック審査制を導入する。

申請ラグ短縮

承認前の の 用

審査ラグ短縮