

第5回 臨床研究・治験 活性化に関する検討会	資料
平成24年1月26日	2-2

次期臨床研究・治験活性化計画（仮称）（素案）

I . 臨床研究・治験活性化に関するこれまでの経緯と今後の方向性	1
1. 臨床研究・治験活性化に関するこれまでの経緯	1
(1) 臨床研究・治験活性化計画の策定の経緯	1
(2) 現 5 力年計画の中間見直し	3
2. 今後の臨床研究・治験活性化の方向性	4
(1) 次期臨床研究・治験活性化計画の検討	4
(2) 今後の臨床研究・治験活性化の方向性	4
II . 臨床研究・治験活性化計画	6
1. 9年間の活性化計画を踏まえたさらなる飛躍と自立	6
(1) 治験中核病院、拠点医療機関等における、継続的に自立可能な治験実施体制の構築	6
(2) 新たな治験活性化5力年計画で残った課題の解決に向けた取組み	6
① 症例集積性の向上(主に企業主導治験)	6
② 治験手続の効率化(主に企業主導治験)	8
③ 医師等の人材育成および確保(企業主導治験、医師主導治験、臨床研究に共通)	9
④ 国民・患者への普及啓発(企業主導治験、医師主導治験、臨床研究に共通)	111
⑤ コストの適正化(主に企業主導治験)	12
⑥ IT技術のさらなる活用等(主に企業主導治験)	12
2. 日本発の革新的な医薬品・医療機器等創出に向けた取組(イノベーション)	13
(1) 臨床研究・治験の実施体制の整備	13
① それぞれの拠点等の位置づけと質の高い臨床研究等の推進	14
② 必要な人材の育成	16
(2) 臨床研究における倫理性および質の向上	16
① 「臨床研究に関する倫理指針」の改定(平成 25 年目途)における検討	16
② 質の高い臨床研究の実施促進と被験者保護の在り方	17
(3) 治験審査委員会の治験の高度化への対応等	18
(4) 大規模災害が発生した際の迅速な対応	18
① 被験者の安全確保を行う。	18
② データの信頼性確保等を行う。	18
(5) その他	18
① 小児疾患、希少・難治性疾患等への取組み	18
② 医療機器・先端医療への取組み	19
③ 資金提供等	20
④ 制度等	21

I. 臨床研究・治験活性化に関するこれまでの経緯と今後の方向性

1. 臨床研究・治験活性化に関するこれまでの経緯

(1) 臨床研究・治験活性化計画の策定の経緯

平成8年の薬事法改正により、医薬品の治験に関して GCP(Good Clinical Practice)が法制化され、平成9年に施行されたことにより、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」(平成9年3月27日厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。)が制定されている。GCP省令は、ICH(日米EU医薬品規制調和国際会議)により合意された、ICH-GCP^{注1}に基づくものであり、国際水準の臨床試験実施基準である。また、医療機器の治験に関しては、平成14年の薬事法改正により、GCPが法制化され、平成17年に施行されたことにより、「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令」(平成17年3月23日厚生労働省令第36号)が制定されている。

GCP省令が治験に適用されることにより、治験の倫理性、科学性等に関する水準は従来と比較して大きく向上したが、医療機関等の実施体制が必ずしも十分ではなく、平成9年以降の治験実施件数は、それ以前よりも大きく減少することになった。

そのような状況を改善するため、平成15年4月に文部科学省と厚生労働省は共同で「全国治験活性化3カ年計画」(以下「3カ年計画」という。)を策定し、①治験のネットワーク化の推進、②医療機関の治験実施体制の充実、③患者の治験参加の支援、④企業における治験負担の軽減、⑤臨床研究全体の推進、の5つの柱を掲げて治験等の活性化に取り組んだ。なお、3カ年計画は1年延長して、平成18年度まで実施された。

その後、3カ年計画の実施状況を踏まえて、平成18年6月に設置された「次期治験活性化計画策定に係る検討会」において検討が行われた結果、3カ年計画の実施により治験の実施体制は改善されつつあるものの、治験スタッフの量的・質的不足は十分改善されていないこと、治験事務の効率化が不十分であること、また、医療機関ネットワークの更なる充実・活用の方策が必要であること等、質の高い治験を効率的かつ迅速に実施するための環境整備が引き続き必要であるとされ、平成19年3月に、文部科学省と厚生労働省は共同で「新たな治験活性化5カ年計画」(以下「現5カ年計画」という。)を策定した。

現5カ年計画は、「国民に質の高い最先端の医療が提供され、国際競争力強化の基礎となる医薬品・医療機器の治験・臨床研究実施体制を確保し、日本発のイノベーションの創出を目指す」ことを目的としており、以下の5つの柱を掲げている。

- ① 治験・臨床研究を実施する医療機関(治験中核病院、拠点医療機関等)の整備
- ② 治験・臨床研究を実施する人材の育成と確保
- ③ 国民への普及啓発と治験・臨床研究への参加の促進

- ④ 治験の効率的実施及び企業負担の軽減
- ⑤ その他の課題(GCP 省令の見直し等)

また、現5カ年計画の実施により期待される治験・臨床研究の姿として、以下が提示された。

- ① 治験・臨床研究のコスト、スピード、質が米国等諸外国並に改善されている。
- ② 国際共同治験の実施数がアジア周辺国と同等以上の水準まで向上している。
- ③ 質の高い最先端の医療の提供を確保し、国民が安心して治験・臨床研究に参加することができる体制が確保されている。

現5カ年計画の進捗状況等については、以下のとおりである。

新たな治験活性化5カ年計画の進捗状況

(1) 治験・臨床研究を実施する医療機関を整備

- ▶ 治験中核病院・拠点医療機関を指定、相互の連携を強化する場として、協議会を設置。
- ▶ 毎年、治験・臨床研究基盤整備状況調査を実施→ 体制整備の進捗を評価

(2) 治験・臨床研究を実施する人材を育成し、確保する

- ▶ CRC(初級・上級)養成、ローカルデータマネージャー、IRB研修を実施
- ▶ 初級者臨床研究コーディネーター養成研修の内容の見直し

(3) 国民への普及啓発と治験・臨床研究への参加を支援する

- ▶ 国立保健医療科学院に臨床研究登録情報検索ポータルサイトを設置。
- ▶ 平成20年10月に世界保健機構(WHO)により、臨床試験登録のUMIN-CTR、JAPIC、JMACCTとの連携体制を、Japan Primary Registries Networkとして認定

(4) 治験・臨床研究の効率的な実施と、企業負担を軽減する

- ▶ 治験の依頼等に係る統一書式の作成、統一書式入力支援ソフト作成・公開
- ▶ 平成22年～治験等適正化作業班を設置(コスト、共同IRB、治験のプロセスの見直し、症例集積性の向上について検討した)し、「治験等の効率化に関する報告書」(平成23年6月30日医政研発0630第1号)にまとめ、研究開発振興課長通知として発出した。

(5) その他の課題

- ▶ GCP省令等、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒト幹細胞を用いた臨床研究に関する倫理指針」改正
- ▶ 平成20年度～高度医療評価制度施行(臨床研究における保険併用を可能に)

注1: 日米 EU 医薬品規制調和会議(International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use: ICH)において合意された医薬品の臨床試験の実施の基準。日本の GCP 省令は ICH-GCP に基づき手続きを定めたもの。GCP 省令では、被験者保護に関する規定のほか、モニタリング・監査、記録の保存など、データの信頼性保証に関する規定が定められており、治験の結果を承認申請に用いることが可能である。

(2) 現5カ年計画の中間見直し

現5カ年計画の中間年にあたる平成21年6月には「新たな治験活性化5カ年計画の中間見直しに関する検討会」が設置され、検討が行われた。平成22年1月に同検討会の報告（以下「中間見直し報告」という。）がまとめられ、現5カ年計画の進捗状況等が確認されるとともに、今後の方向性等が提言されている。

中間見直し報告においては、臨床研究・治験の活性化により達成されるべき最終的な目標は、世界における最新かつ質の高い医療が我が国において患者に提供される体制の実現であることが確認され、同時に、医薬品・医療機器の自立的な開発が我が国における恒常的な安全の確立につながることに及び、医薬品・医療機器の治験を含む臨床研究の国内実施体制の確保及び強化は、我が国の当該産業の国際競争力の基礎となる日本発のイノベーションの創出やこれにより得られたエビデンスの世界への発信に必須であること等が強調されている。

また、それまでの我が国における取組みとしては、開発後期の治験の実施体制整備に重点が置かれてきたが、革新的医薬品・医療機器の創出のためには、より早期段階の治験やPOC（Proof of Concept）試験等の臨床研究に比重を移し、これらの国内での実施を加速する体制の確実な整備を行うことが必要であること。また、あわせて、適応拡大を目指した治験や臨床研究、又はエビデンスの創出につながる臨床研究も医療の発展に向けて重要であることから、これらの推進に向けても体制整備を一層進める必要があることが提言されている。

上記の治験・臨床研究活性化の必要性・方向性を前提に、中間見直し報告では、現5カ年計画の重点的取組事項（アクションプラン）に関する進捗状況の評価を行い、今後より一層強化すべき課題として以下の事項を挙げている。

- ① 症例集積性の向上
- ② 治験・臨床研究の効率化
- ③ 研究者の育成
- ④ 治験・臨床研究の実施に必要な人材の確保
- ⑤ 治験・臨床研究の情報公開
- ⑥ 治験にかかるコスト・スピード・質の適正化

さらに、今後の取組みとして、現5カ年計画における重点的取組事項のうち残される課題に対して着実に取り組むべきこと、現5カ年計画における取組みにより整備された体制を活用し、革新的医薬品・医療機器の創出や標準治療等のエビデンスの確立等を実現すること、そのために研究者らが研究に専念できる環境を確保すること、そして経験を通じて質の高い臨床研究・治験の実施のノウハウを身に付けた研究者を将来に向けて育成すべきであること等が提言されている。

2. 今後の臨床研究・治験活性化の方向性

(1) 次期臨床研究・治験活性化計画の検討

第3期目となる次期臨床研究・治験活性化計画(いわゆる「ポスト5カ年計画」)の策定にあたっては、現5カ年計画の実施状況や中間見直し報告をふまえ、また、平成22年から23年にかけて治験等適正化作業班により、取りまとめられた「治験等の効率化に関する報告書」(平成23年5月)を参考として今後の方向性を議論することが必要である。このため、平成23年8月に有識者による「臨床研究・治験の活性化に関する検討会」を設置し、これまで〇回の検討を行ってきた。

現5カ年計画に基づく取組みにより、企業主導の治験に関しては、治験中核病院、拠点医療機関等が整備され、臨床研究コーディネーター(Clinical Research Coordinator;以下CRC)等の人材育成やその他の治験実施環境が整備され、概ね欧米諸国等に劣らない治験実施体制が整備されたものと考えるが、中間見直し報告で指摘されているように、いくつかの課題が残されている。

また、早期・探索的な段階の臨床研究・治験の実施体制の整備や、企業主導治験以外の医師主導治験や治験以外の臨床研究に対する更なる支援についても、その必要性が指摘されている。

以上のような課題を解決していくためには、今後も具体的な目標を持って計画的かつ着実に臨床研究・治験の実施体制の整備、人材育成、その他の環境整備等を引き続き推進していく必要がある。

(2) 今後の臨床研究・治験活性化の方向性

臨床研究・治験は、新規の医薬品、医療機器、再生医療、遺伝子治療等の研究開発に不可欠のものであり、医薬品、医療機器の有効性・安全性に関する情報の多くは治験等の結果によってもたらされるものである。そのため、新規の医薬品、医療機器の迅速な製品化には、治験等の活性化が求められるものであり、日本の国民に最先端の医薬品、医療機器を届けるためには一層の治験等の活性化が必要である。それにより、近年問題となっているドラッグラグ、デバイスラグの解消にも資するものである。

また、今後の臨床研究・治験の実施体制や環境整備により、日本発のシーズによるイノベーションの進展、実用化につなげることが求められている。

さらに、開発段階の治験等のみならず、市販後のエビデンスの創出や適応拡大、医療機器の改良のための臨床研究についても、同様に推進すべきである。

以上のような目的のため、これまでの取組の成果や課題を踏まえ、具体的な目標を定め、それを達成するための新たな計画を策定し、それに基づいた取組を推進していくことが必要

である。

次章以下においては、以下の項目について検討を行い、課題を明らかにし、具体的目標と、それを解決するための方策等を取りまとめた、次期臨床研究・治験活性化計画を示した。

1. 9年間の活性化計画を踏まえたさらなる飛躍と自立
 - (1) 治験中核病院、拠点医療機関等における、継続的に自立可能な治験実施体制の構築
 - (2) 現5カ年計画で残った課題の解決に向けた取組み
2. 日本発の革新的な医薬品・医療機器等創出に向けた取組(イノベーション)
 - (1) 臨床研究・治験の実施体制の整備
 - (2) 臨床研究における倫理性および質の向上
 - (3) 治験審査委員会の治験の高度化への対応等
 - (4) 大規模災害が発生した際の迅速な対応
 - (5) その他

なお、本計画は、中間年で達成状況进行评估し、それに基づいて必要な見直しを行う等、今後の状況変化に応じた方策を採っていくことが適切であることから、5カ年計画とし、中間年である3年目に見直しを行うものとして策定した。

次期臨床研究・治験活性化計画の目標

1. 日本の国民に医療上必要な医薬品、医療機器を迅速に届ける
2. 日本発のシーズによるイノベーションの進展、実用化につなげる
3. 市販後の医薬品等の組み合わせにより、より最適な治療法を見出すためのエビデンスの構築を進める



日本の医療水準の向上

日本発のイノベーションを世界に発信

Ⅱ. 臨床研究・治験活性化計画

国や国以外の関係者は互いに連携しながら、以下の取組について具体的な数値目標を定め実施していく。

なお、本計画では、今後2～3年以内に達成すべき事項を「短期的に目指すこと」、今後5年以内に達成、又は検討に着手すべき事項を「中・長期的に目指すこと」とした。

1. 9年間の活性化計画を踏まえたさらなる飛躍と自立

(1) 治験中核病院、拠点医療機関等における、継続的に自立可能な治験実施体制の構築

- 現5カ年計画で整備してきた治験中核病院、拠点医療機関は、現5カ年計画でのこれまでの取組みの成果を踏まえ、スタッフ育成のネットワーク機能を維持しつつ、公的助成終了後においてもより良い治験環境・治験実施体制を構築する。
- その他の治験実施医療機関においては、治験実施医療機関、治験依頼者が互いに過度に依存することなく、それぞれが責任を持ってより良い治験環境・治験実施体制を構築する。
- 「Ⅱ. 1. (2) 新たな治験活性化5カ年計画で残った課題の解決に向けた取組み」に積極的に取り組むことにより、国際共同治験を実施できる体制整備を進める。

(2) 新たな治験活性化5カ年計画で残った課題の解決に向けた取組み

① 症例集積性の向上(主に企業主導治験)

<短期的に目指すこと>

(治験等の効率化に関する報告書の徹底)

- 「治験等の効率化に関する報告書」(平成23年5月治験等適正化作業班)の「3. 症例集積性向上の必要性及びその対応策について」に記載している以下の内容について、国は周知に努め、医療機関・治験依頼者等の治験に携わる関係者は理解し、確実に実行する。
 - ・ 治験ネットワークに求められる機能の明確化
 - ・ 治験ネットワークのモデル案について
 - ・ 疾患・インフラ等に関するデータベースについて

(治験ネットワークの促進)

- 治験ネットワークにおいてコアとなる病院(治験ネットワーク事務局となる病院)がリーダーシップを発揮し、症例集積性を高めるために、例えば病床数が400から500床程度

の3～5の医療機関があたかも1医療機関のように機能できる体制を構築する。

その際治験ネットワークが効果的に機能するためには、最低限、

1. 標準業務手順書の作成と各種様式等の統一
 2. 共同 IRB (Institutional Review Board: 治験審査委員会) 等^{注2}の設置及びその活用
 3. 治験ネットワーク事務局の積極的なマネジメント
- の機能が必要である。また、各治験ネットワークはその活動状況(受託治験数、実績等)をウェブサイト等で公開する等、可視化の推進に努める。(※参照)

注2: 他の治験実施医療機関、臨床研究機関の長からの依頼による審査を行うことが出来る審査委員会、複数の治験実施医療機関、臨床研究機関の長が共同で設置する共同審査委員会を含む

- 治験ネットワークは、治験ネットワーク参加医療機関が共同で臨床研究・治験を実施するのみならず、共同 IRB 等や患者紹介システムの構築等により、治験の効率化や症例集積性の向上を図るように努める。また、各医療機関の情報共有及び教育を行う。
- 治験依頼者やネットワーク事務局は、治験ネットワーク内での治験実施に際し貢献度の高い医師に企業等の委託研究費の重点配分等を行うなど、インセンティブを持たせる工夫を行う。(地域のネットワークにおいて他の医療機関へ被験者を紹介する等、治験に協力する開業医へのインセンティブについても工夫する。)
- 国等において、症例集積性や事務手続の効率化・迅速化等の点で優良な治験ネットワークの要件を定めた上で、要件を満たす治験ネットワークを厚生労働省等のウェブサイトで公表する。また、ネットワーク事務局はその活動を医療機関や治験依頼者に積極的にアピールする等して、治験ネットワークの活性化に努める。

※ 「比較的ネットワークが機能していると考えられた受託実績のあるネットワーク事務局例」

- ① 熱意があり、周りとの協力関係を構築する指導的な中核となる人物・組織が存在すること
- ② 目的意識が共有されていること
- ③ 医師等のインセンティブが維持される体制が機能していること等

すなわち、ネットワークを有効なものとするには、治験を実施する意義を参加する医療機関で共有し、また医療機関側にもそれを支援する一定の体制が必要である。

(新たな治験活性化5カ年計画より)

<中・長期的に目指すこと>

(疾患に応じた治験ネットワークの構築)

- 治験ネットワークについては、対象疾患の特性に応じて疾患別ネットワークと地域ネットワークを使い分け、疾患レジストリー^{注3}等を活用した十分な症例集積性を示せるように取り組む。

注3:各医療機関における特定の疾患の患者数等に関するデータベース

- 希少疾患のレジストリー構築にあたっては、例えば厚生労働科学研究費補助金により組織されている研究班のデータを活用する等、具体的な方法を検討する。

(治験ネットワークにおける契約形態の見直し)

- あたかも1医療機関のように機能するために、治験ネットワーク事務局が傘下の実施医療機関の契約窓口として機能することは GCP 省令上、可能であるが、治験実施医療機関がそれぞれの責任を遂行することを前提に、さらなる効率化を図ることが可能か検討する。

② 治験手続の効率化(主に企業主導治験)

<短期的に目指すこと>

(治験等の効率化に関する報告書の徹底)

- 「治験等の効率化に関する報告書」の「4. 治験プロセスにおける効率化について」に記載している以下の内容について国は周知に努め、実施医療機関・治験依頼者等の治験に携わる関係者が理解し、確実に実行することにより、業務の効率化と負担の軽減、更に治験コストの低減を図る。
 - ・ GCP の要求に沿った必要最小限の手順等を取りまとめる。
 - ・ IRB 審査資料の統一化と電子化を行う。
 - ・ 実施医療機関における治験実施体制の整備と役割分担を適正化する。
 - ・ モニタリング業務(直接閲覧を含む)を効率化する。

(治験ネットワーク事務局機能の強化)

- 治験依頼者及び実施医療機関は、症例集積性の向上の観点からだけでなく、効率的な運用の面からも治験ネットワークを積極的に活用する。そのためにも治験ネットワークに参加する各医療機関は治験事務局業務の集約化を図るなど、治験ネットワーク事務局機能の強化に努める。(「Ⅱ.1.(2)①症例集積性の向上」の項 参照)

(統一書式の徹底)

- 治験の実施に際して、実施医療機関と治験依頼者で取り交わされる文書については、実施医療機関、治験依頼者双方で、「治験の依頼等に係る統一書式」(平成19年12月21日付け医政研発第1221002号厚生労働省医政局研究開発振興課長通知、平成20年1月16日付け19高医教第17号文部科学省高等教育局医学教育課長通知)(以下「統一書式」という。)の使用を徹底する。また、さらなる治験の効率化の実現に向けて、必要に応じて統一書式の見直しについての検討を行う。

(IT(Information Technology:情報技術)の活用)

- ITを活用した治験手続の効率化については、「Ⅱ.1.(2)⑥IT技術のさらなる活用等」を参照。

(共同IRB等の活用)

- 地域・疾患別ネットワークを問わず、治験ネットワークに参加している医療機関は、効率化の観点から積極的に共同IRB等を活用し、重複審査をさけるように努める。なお、共同IRB等の活用や質の向上のための方策については、「Ⅱ.2.(2)②質の高い臨床研究の実施促進と被験者保護の在り方」を参照。

<中・長期的に目指すこと>

- 現在治験ネットワークに参加していない医療機関は、治験ネットワークへの参加を検討するとともに共同IRB等を積極的に利用するように取り組む。

③ 医師等の人材育成および確保(企業主導治験、医師主導治験、臨床研究に共通)

<短期的に目指すこと>

(臨床研究・治験に関する教育、研修)

- 現5カ年計画で実施することとされている各種研修(研究者、初級者CRC、上級者CRC、ローカルデータマネージャー、IRB委員等を対象とした研修)を引き続き実施し、その内容についても適切に見直し、常に最新の内容で教育を実施する。さらに、必要に応じて研修対象、教育プログラムの追加についても検討する。
- 臨床研究・治験に携わる医師が医師主導治験や臨床研究を体系的に学ぶことができるよう現5カ年計画で整備されたe-learningの一層の活用を促す。
- 初級者CRCの養成について、どの団体が実施しても質が適切に保たれるよう、標準的なカリキュラムの策定を行い、研修内容の標準化を図る。

<中・長期的に目指すこと>

(臨床研究・治験に精通する医師の育成)

- 医学教育の中で、臨床薬理学、医薬品・医療機器の開発や臨床統計・研究倫理等、広く臨床研究・治験について学べる機会を増やし、臨床研究・治験の基礎となるべき教育をより充実させるとともに、臨床研修や実地臨床の場での経験や、学会、医療機関以外の団体が主催する研修等に参加する等を通して、臨床研究・治験に関する知識・技術を習得できる機会を増やすように取り組む。また、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下、「PMDA」と言う。)における連携大学院制度等による人材育成も考慮する。
- さらに、国際社会において、日本が臨床研究・治験をリードしてゆくために必要な研究者を育成する方策について検討する。
- 国や関係学会は、例えば日本医学会等において臨床研究の専門医・認定医制度の導入を検討するなど、臨床研究・治験の質を高められるような研究者の認定制度について検討する。
- 関連学会に、年次学術集会の開催に合わせて臨床研究・治験に関する教育・研修等の実施を働きかける。例えば、臨床研究・治験に関する情報を臨床医(特に開業医)に発信する機会を持てるような仕組みを作る。

(臨床研究・治験に携わる医療関係職種の育成)

- 医学教育に限らず薬学・看護学教育等においても、広く臨床研究・治験の科学性・倫理性を学べる機会を増やす。
- 特に、臨床研究・治験を実施する医療機関においては、「Ⅱ.1.(2)③「医師等の人材育成および確保」(臨床研究・治験に関する教育、研修)」に記載されている研修への積極的な参加を促すことを含め、医療人として基本的な臨床研究・治験の知識を持つことができる教育を継続的に実施する。

(臨床研究・治験に携わる人材の確保)

- 各医療機関は、臨床研究・治験の実施に必要な医師や研究を支援する人材の安定雇用と適正な配置、キャリアアップの取組みを積極的に行う。

例えば、臨床研究・治験を支援する部門では、薬剤、看護等の部門や、事務部門等との連携を密にして、人事交流が積極的に図れるように取り組むことや、研究者の業績評価においては、基礎研究のみならず臨床研究・治験における研究者・専門職としての評価を行える制度を確立する等により、臨床研究・治験に関する人事考課の一層の推進に取り組むことなど。

④ 国民・患者への普及啓発(企業主導治験、医師主導治験、臨床研究に共通)

<短期的に目指すこと>

(臨床研究・治験の意義に関する普及啓発)

- 臨床研究・治験の意義に関する普及啓発については、国民、患者の視点からよりわかりやすい内容とし積極的に取り組むべき。また、治験依頼者、実施医療機関側と国民、患者側との双方向の対話を推進する。例えば、国も含めた関係者が相互に協力して以下の取組を行うことが考えられる。
 - ・ 製薬企業と患者会との意見交換の場を設ける。
 - ・ 患者会のウェブサイトを活用して、治験の情報を企業とも連携を図りながら提供する。
 - ・ 患者を対象としたフォーラム、市民講座等を開催する。
- 臨床研究・治験の普及啓発のため、1年間のうち一定期間を定めて積極的に広報を実施する。例えば、厚生労働省が実施している「薬と健康の週間」にあわせて実施する。
- 子どもに対しても、発達段階を踏まえて、医薬品・医療機器の開発の仕組みや意義について、教育や情報発信を行う。
- 医薬品について、学校教育や患者に対する教育・情報提供の中で、ベネフィットとリスクを適正に伝えていく教育を、発達段階やそれぞれの立場を踏まえて行う。

(実施中の臨床研究・治験に関する情報提供)

- 臨床研究・治験の情報提供については、国立保健医療科学院の「臨床研究(試験)情報検索ポータルサイト」で実施しているが、更に国民のニーズや我が国からのイノベーション発信の観点も踏まえて利用しやすいものとする。また、厚生労働省の「治験ウェブサイト」や、医療機関や患者会等のウェブサイトを通じて、本ポータルサイトが広く周知されるよう取り組む。
- 治験審査委員会の情報提供はPMDAが、臨床研究に関する倫理審査委員会の情報提供は厚生労働省がそれぞれ行っており、更なる周知に努めるよう取り組む。

<中・長期的に目指すこと>

- 日本における治験の実施状況を明らかにするために、治験届の情報・GCPの遵守状況に関する情報等を一定のルールを定めて公開することを検討する。特に治験届の情報は、希少・難治性疾患、難病、小児領域等において特に求められており、企業の開発戦略にも配慮することが必要である。
- 国民皆保険により、すべての国民に医療サービスへのフリーアクセスが保障されてい

る環境の中で、より多くの国民に臨床研究・治験に参加してもらうため、臨床研究・治験に参加する患者にとってメリットがある診療体制についての検討を行う。

⑤ コストの適正化(主に企業主導治験)

<短期的に目指すこと>

- 治験依頼者、実施医療機関は、治験依頼者からの治験費用の支払い方法について、前納返還なしの支払い方式をやめて「治験等の効率化に関する報告書」にある出来高払い方式を採用する。
- 保険外併用療養費制度^{注4}の適用範囲について、個々の実施医療機関や治験依頼者によって考え方の違いがあるとの指摘を踏まえ、治験における保険外併用療養費制度^{注4}の適用範囲について更なる周知を図る

注4:保険診療との併用が認められている療養のこと。

評価療養・・・保険導入のための評価を行うもの

(医薬品の治験に係る診療、医療機器の治験に係る診療、先進医療等)

選定療養・・・保険導入を前提としないもの

(特別の療養環境、歯科の金合金等、予約診療、時間外診療、大病院の診療等)

<中・長期的に目指すこと>

- 国際共同治験・小児治験を含めた日本におけるコストの適正化について引き続き検討する。例えば、国際共同治験が一般的に実施されるようになる以前に作成されたポイント算定表の見直しやコストの削減につながるような効率的なモニタリング・監査の在り方について検討する。
- 抗がん剤の併用療法による医師主導治験が増加していることを踏まえ、医師主導治験における治験薬と同様の効能又は効果を有する医薬品に対する保険外併用療養費の適用拡大について検討する。

⑥ IT技術のさらなる活用等(主に企業主導治験)

<短期的に目指すこと>

- 治験業務の効率化・迅速化を目的として、IT技術を更に活用するために以下の項目を推進する。
 - ・ 治験審査委員会等の業務のIT化(審査資料の電子ファイル化等)

- ・ EDC (Electronic Data Capturing)^{注5}の利用の促進
- ・ サンプルング SDV^{注6}、リモート SDV (Source Document Verification)^{注7}実施に向けた調査・研究

注5: 治験依頼者が、治験データを紙媒体を経由せず、電子データの形式で直接収集すること又は収集するための端末のこと。

注6: 予め定められた方法に従って抽出(サンプルング)したデータをSDV対象とし、その結果からデータ全体の信頼性(正確性、完全性)を確認する方法

注7: 治験依頼者が遠隔地の医療機関に出向くことなく、通信回線等を通じて治験データの原資料(カルテ等)を直接閲覧し、調査・検証すること。

<中・長期的に目指すこと>

- 臨床研究中核病院等の臨床研究の中核的役割を担う医療機関においては、病院情報システムと EDC との連動について取り組む。
- 治験業務の IT 化の基盤となる SS-MIX (Standardized Structured Medical Information Exchange)^{注8} や CDISC (Clinical Data Interchange Standards Consortium)^{注9} の導入を検討する

注8: 「厚生労働省電子的診療情報交換推進事業」で提唱された、処方内容や検査結果など主要医療情報についての標準的な記録方式。

注9: 臨床試験データ交換仕様コンソーシアム。EDC の標準フォーマットの 1 つ。

2. 日本発の革新的な医薬品・医療機器等創出に向けた取組(イノベーション)

(1) 臨床研究・治験の実施体制の整備

これまでの3カ年計画、現5カ年計画により、企業主導治験の体制についてはある程度整備されてきた。今後は下記の拠点等を整備する事業により、医師主導治験や質の高い臨床研究を推進し、日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出を目指す。

- 橋渡し研究支援拠点
「橋渡し研究支援推進プログラム(平成 19 年～23 年度)」において整備してきた橋渡し研究支援拠点のシーズ育成能力を強化するとともに、恒久的な拠点の確立を促進する。
- 早期・探索的臨床試験拠点
日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出を目的に、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験の拠点を整備する。

○ 臨床研究中核病院

我が国で実施される臨床研究の質を薬事承認申請データとして活用可能な水準まで向上させることを目的として、早期・探索的臨床試験や市販後の大規模臨床研究等も含めた国際水準(ICH-GCP 準拠)の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担うとともに、他の医療機関に対する支援機能も有する病院を整備する。

○ 日本主導型グローバル臨床研究拠点

国内の医療機関と海外の医療機関が共同で臨床研究を実施する体制を日本が主導して構築し、かつ円滑に運営することを目的とする。そのために、グローバル臨床研究を企画立案するとともに、研究を実施する医療機関に対し、研究開始から終了までの過程を支援する体制等を整備する。なお、本拠点整備事業は、臨床研究の実施医療機関の整備を目的とするものではない。

① それぞれの拠点等の位置づけと質の高い臨床研究等の推進

<短期的に目指すこと>

(橋渡し研究を実施するための体制)

- 有望な基礎研究の成果を実用化に繋げる橋渡し研究を重点的に推進する体制の在り方については、橋渡し研究加速ネットワークプログラムで採択した橋渡し研究支援拠点の整備状況を評価しつつ検討を進め、具体的な成功例を提示する。

(初期段階の臨床研究を実施するための体制)

- 早期・探索的試験等の初期段階の試験を重点的に推進する体制の在り方については早期・探索的臨床試験拠点の整備の状況を評価しつつ検討を進め、具体的な成功例を提示する。

(ICH-GCP水準の臨床研究を実施するための体制)

- ICH-GCP 水準での臨床研究を実施するための中核的な役割を担う医療機関の機能・役割・育成の在り方については、臨床研究中核病院の整備の状況を評価しつつ検討を進め、具体的な成功例を提示する。(グローバル臨床研究を実施するための体制)
- グローバル臨床研究において、日本がリーダーシップを発揮できる研究分野や実施体制の在り方については、日本主導型グローバル臨床研究拠点整備の状況を評価しつつ検討を進め、具体的な成功例を提示する。

(臨床研究の実施を支援するための体制)

- 大学や研究機関における臨床研究の支援組織(いわゆる ARO:Academic Research

Organization)については、その機能が、臨床研究中核病院や日本主導型グローバル臨床研究拠点に求められる機能に含まれていることから、整備の進捗状況を評価しつつ、その具体的な在り方について検討を進める。

<中・長期的に目指すこと>

(臨床研究グループの体制)

- がん等の領域では、多施設共同臨床研究の企画・調整・実施等を行う JCOG^{注10}、JGOG^{注11}、WJOG^{注12}JALSG^{注13}等の臨床研究グループがあるが、それらのグループ間での連携の在り方について検討を進める。また、がん等の領域以外においても同様の臨床研究の統合・調整組織の必要性について検討する。

注10:Japan Clinical Oncology Group(日本臨床腫瘍研究グループ)

注11:Japanese Gynecologic Oncology Group(特定非営利活動法人 婦人科悪性腫瘍化学療法研究機構)

注12:West Japan Oncology Group(特定非営利活動法人 西日本がん研究機構)

注13:Japan Adult Leukemia Study Group(特定非営利活動法人 成人白血病治療共同研究グループ)

- 希少・難治性疾患の領域では、厚生労働科学研究費補助金により組織されている研究班があるが、これらの研究班間での連携の在り方について検討を進める。
- 臨床研究に対する競争的資金配分機関が果たすべき役割を明確化し、効率的な運営のために備えるべき機能や事業実施体制等のありかたについて検討する。
- 実際の臨床においては、合併症や併用薬の相互作用等により、厳格に管理し、制限された臨床試験では見出し得なかった結果が市販後に高頻度に出現することがある。実臨床における医薬品・医療機器の適正な評価のためには、適切な評価項目を定めた上で臨床データを広範囲に収集し解析するシステムが必要である。このようなシステムの整備を通じて、大規模臨床研究とは異なった観点による実際の臨床に即した一定の評価を行える体制を整える。
- 臨床研究の効率的な運用に向けて、共用データセンター^{注14}の設置を検討する。具体的には、共用データセンターについては、臨床研究中核病院や日本主導型グローバル臨床研究拠点に求められる機能に含まれていることから、それらの整備の進捗状況を評価しつつ、多施設共同臨床研究におけるセントラル(共用データセンター)及びローカル(各参加機関)のデータマネジメント業務の在り方等について検討する。

注14:複数の医療機関で実施された臨床研究のデータを収集・解析するための施設。たとえば、大規模臨床研究等で収集された臨床研究データを扱えるEDCのシステムとサーバーを有する。また、

臨床研究のデータマネージメントに精通した IT 技術者が存在し、医療機関のデータマネージャーと共同して各研究に適した EDC とデータシステムの構築、運営を行う等。さらにデータを解析できる生物統計家や中央におけるデータマネージャーが存在すればデータセンターにおいて一元的にデータ解析が実施できるので、より望ましい。

(疾患レジストリーの構築)

- がん領域、小児疾患、希少・難治性疾患等の疾患レジストリーについては、治験のみならず、臨床研究でも活用できるよう積極的にその構築を検討する。具体的には、専門学会とも連携を取りながら、各領域別に個人情報の取り扱いに十分配慮しつつ専門医療機関、臨床研究グループ等を中心に、研究者が活用しやすいデータベースの構築を検討する。

② 必要な人材の育成

<短期的に目指すこと>

- 質の高い臨床研究を実施できる人材を育成するため、「1. (2)③医師等の人材育成及び確保」の事項に加えて次の施策に取り組む。
 - ・ 臨床研究の企画・立案ができる臨床医の育成と配置を着実に実行していく。
 - ・ 臨床研究を支援する人材(CRC、データマネージャー、生物統計家、プロジェクトマネージャー、開発戦略と知的財産戦略の担当者、薬事に精通する者、倫理審査委員会等事務局担当者等)の育成とその配置を充実させる。

(2)臨床研究における倫理性および質の向上

①「臨床研究に関する倫理指針」の改定(平成 25 年目途)における検討

<短期的に目指すこと>

- 現行の「臨床研究に関する倫理指針」の改正にあわせて、その他の指針との関係を整理し、臨床研究を適切に実施できる指針策定を行う。
 - ・ 「臨床研究に関する倫理指針」及び「疫学研究に関する倫理指針」の適用関係の明確化を図るためにそれらの一本化を検討する。
 - ・ 被験者保護の在り方について、法制化を含めた議論を開始する。その際には、米国におけるIND (Investigational New Drug)^{注15}のような臨床研究の届出制度についても参考にする。

注15:米国におけるFDA(食品医薬品局)に提出する臨床試験実施申請資料のこと

<中・長期的に目指すこと>

- 被験者保護のみでなく、臨床研究の質に関しても規定するよう検討する。

② 質の高い臨床研究の実施促進と被験者保護の在り方

<短期的に目指すこと>

(倫理審査委員会の質の向上等)

- 倫理審査委員会の質を向上させるために以下の項目について更に推進する。
 - ・ 倫理審査委員会委員への教育を充実させる。
 - ・ 厚生労働省のウェブサイト上で全国の倫理審査委員会の委員名簿や議事概要について情報提供を行う。
 - ・ 倫理審査事例集や倫理審査ガイドラインを作成する。
 - ・ 倫理審査委員会事務局への専任担当者の育成・配置を行う。
 - ・ 共同倫理審査委員会の普及を図る。
- 共同倫理審査委員会の普及にあたっては、共同倫理審査委員会が医療機関の適格性(研究責任医師、研究分担医師、臨床研究実施体制等の適格性)を適切に審査する手法や専門領域毎に審査を集約する手法等を検討する。

(臨床研究における被験者の相談窓口)

- 治験の場合は、診療科にかかわらず被験者が相談できる一元的な窓口が各医療機関にあるが、臨床研究に関しても同様の窓口を設置することを検討する。

<中・長期的に目指すこと>

(倫理審査委員会の認定制度)

- 国等による倫理審査委員会の認定制度(倫理審査委員会の質を保証するシステム)の導入
 - ・ 国等が一定の基準を満たしているものを適切な倫理審査を行える委員会と認めて、審査の質を保証するとともに継続的な質の向上を図る。
 - ・ 医療機関等は認定を受けた倫理審査委員会を積極的に利用するように努める。

(被験者への補償)

- 臨床研究における被験者への補償のあり方について検討する。(特に、植え込み型医療機器による不具合が生じた場合等)

(3) 治験審査委員会の治験の高度化への対応等

<短期的に目指すこと>

- 早期・探索的な治験を推進していく上で、治験審査委員会の委員も、後期治験では求められなかった非臨床試験等の知識が求められているところ。「ヒト初回投与試験の安全性を確保するためのガイダンス」を発出し、特に、ファースト・イン・ヒューマン試験等を実施する施設に周知する。
- 治験の高度化に伴い、被験者保護の観点から、一般の人にもわかりやすい同意説明文書の作成が求められており、そのために必要なガイドライン等を検討する。

<中・長期的に目指すこと>

- GCPの遵守状況の公表を検討する際には、共同IRB等の質についても公表を検討するなど、質の高い共同治験審査委員会を有するネットワークに治験が集まるようなインセンティブについて検討する。

(4) 大規模災害が発生した際の迅速な対応

(楠岡班の研究結果を踏まえて議論)

- ① 被験者の安全確保を行う。
- ② データの信頼性確保等を行う。

(5) その他

① 小児疾患、希少・難治性疾患等への取組み

<短期的に目指すこと>

(開発が進まない分野へのインセンティブ)

- 小児疾患、希少・難治性疾患等、治験が進みにくい分野の臨床研究を促進するために、研究グループの育成や、開発企業や研究者のインセンティブについて検討を行う。(例えば、研究者においては継続的に予算を確保する等の仕組みについて検討する。)
- 患者数が少ない等の理由により製薬企業が開発に着手しない医薬品・医療機器を対象とした臨床研究・治験に対して、財政上の支援の充実を図る。特に、厚生労働科学研究費等において、医師主導治験への更なる支援を行う。
- 臨床研究中核病院等の整備事業の成果を評価する際に、開発の進まない医薬品・医療機器の臨床研究・治験の実施に関する実績や、遺伝子治療や再生医療等の新たな

治療法の開発実績等を踏まえた適切な評価指標を設定する。

<中・長期的に目指すこと>

(開発が進まない分野へのインセンティブ)

- これまで、研究者、被験者、産業界のインセンティブについては検討されている。しかし、医薬品等の開発には公益性や社会の安全保障の観点から必要とされるが研究者、被験者、産業界のいずれもが興味を示さないものが存在し得る(例えば、自然発生はまれであるが、バイオテロ等に使用されるような感染性病原体へのワクチンや治療薬など)。このような医薬品等の開発における研究者、被験者、産業界等それぞれのインセンティブについて検討する。

(希少・難治性疾患等の治験に関する情報提供)

- 特に希少・難治性等については、国立保健医療科学院の臨床研究(試験)情報検索ポータルサイトだけでなく、独立行政法人医薬基盤研究所のウェブサイトや公益財団法人難病情報センターのウェブサイト等においても、関係企業の協力を得て現在実施中の治験の情報提供を行う等、国民・患者目線に立った情報提供の在り方について検討を進める。

② 医療機器・先端医療への取組み

<短期的に目指すこと>

(医療機器に関する臨床研究・治験の実施体制)

- 医療機器の臨床研究・治験の質を向上させるために、医療機器(特に植え込み型医療機器等)の臨床研究・治験を実施する臨床研究中核病院等の体制を整備する。

(医療機器開発に携わる人材の育成)

- 医療機器の特性を踏まえ、その研究開発に関する知識・経験を有する人材の育成について検討する。

<中・長期的に目指すこと>

(医療機器開発における評価方法の検討等)

- 医療機器開発における評価方法について、機器自体の機能や使い勝手、利便性等をどのように評価するかについて検討する。
- その他の医療機器開発のための臨床研究・治験実施上の問題点を整理し、検討する。

(特に植え込み型医療機器等)

(先端医療への取組)

- 先端医療分野の研究の進歩に合わせたゲノム医学に関連するヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針、ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針、遺伝子治療臨床研究に関する指針等の整備について検討する。

③ 資金提供等

<短期的に目指すこと>

(臨床研究に対する研究費等の配分)

- 質の高い大規模臨床研究がより実施しやすくなるよう、公的研究費による支援の在り方について検討する。
- 高度医療評価会議において高度医療評価制度^{注16}のもとで実施することが、「適」又は「条件付き適」と判断された質の高い臨床研究に対しては、引き続き優先的に研究費の配分を行う。

注16: 薬事法の承認等が得られていない医薬品・医療機器の使用を伴う先進的な医療技術については、原則として保険との併用が認められていない。しかし、これらの先進的な医療技術のうち、一定の要件の下に行われるものについて、当該医療技術を「高度医療」として認め、保険診療と併用できるとし、薬事法による申請等に繋がる科学的評価可能なデータ収集の迅速化を図ることを目的として創設された制度。

- 臨床研究に関する厚生労働科学研究費の採択にあたっては、プロトコルの審査を行った上で、実施する。
- 厚生労働省・文部科学省が実施している整備事業や研究費については、それぞれの役割・機能を明確化した上で、効率的に資金配分を行う。また、採択後一定期間を経ても成果がでない場合には減額・打ち切りも考慮する。

<中・長期的に目指すこと>

(臨床研究・医師主導治験に対する民間資金の充実)

- 臨床研究・医師主導治験を実施する際の資金を充実するため以下の取組を行う。
 - ・ 臨床研究・医師主導治験における支援財団の育成について厚生労働省・文部科学省と共同で検討する。
 - ・ 企業からの資金提供の方策を検討する。その際には、利益相反の管理、透明性の確保、被験者への説明と同意が前提である。

(臨床研究に対する研究費配分機関の一本化の在り方)

- 限られた資源を効率的かつ有効に活用するために、競争的資金配分機関を一本化して無駄を排除し、重要度の高い研究に対しては重点的に、かつ研究の各段階に渡って中断することなく研究費を配分できるような仕組みを作ることを検討する。

④ 制度等

<中・長期的に目指すこと>

(承認薬を用いた臨床研究における医療保険の取り扱い)

- 保険診療と臨床研究の整合性が図れるように、特に承認薬を使用した無作為化比較試験(RCT:Randomized Controlled Trial)^{注17}の保険診療下での実施可能性について検討する。(過去の事例を集めて「Q&A」を出すこと等を検討する)

注17: 臨床研究及び治験においてデータの偏り(バイアス)を軽減するため、被験者を無作為(ランダム)に処置群(治験薬群)と比較対照群(治療薬群など)に割り付けて実施し、評価を行う試験。