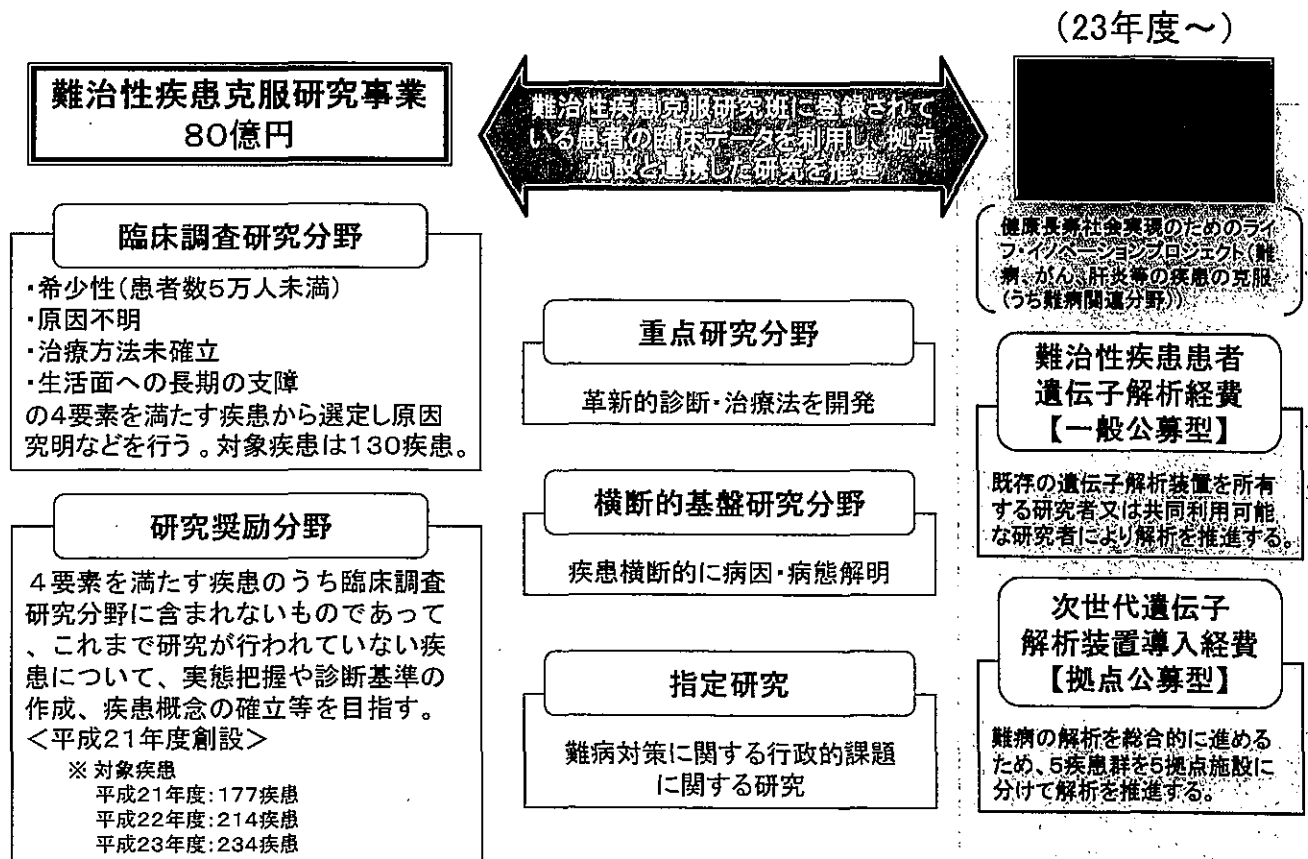


# 難治性疾患克服研究事業 について

## 1. 難病に関する研究の概要 平成24年度予算 100億円



※外国人研究者の招へいや外国への日本人研究者派遣により、海外との研究協力及び連携を推進する。

## 2. 難病研究に対する評価

### ○22年度概算要求に対する総合科学技術会議の評価(抜粋)

- 有識者コメント(有識者議員名)
  - 別の研究費と人の重複が多い。着実～減速(本庶佑議員)
- 改善・見直し指摘内容(最終決定)
  - 難治性疾患に関する診断・治療法等の研究推進については、製薬企業の参入が難しく、国が行わなければならない大変重要な分野である。
  - 臨床調査研究分野の研究班と、横断的基盤研究分野における生体試料収集に関する研究班とが連携して生体試料の収集を行うことや、研究奨励分野においては、研究分野を設け、多くの若手研究者が参加できるようにするなどの改善が見られる。
  - また、研究奨励分野では、フィージビリティスタディとして採用した課題について中間評価を行って継続の可否を判断するなど改善が見られる。
  - 重複した内容の疾患があり、研究班の整理が必要である。
  - 競争的資金の運営に関しては、研究費交付時期の早期化、報告書提出時期の見直し、利益相反の扱い、間接経費の拡充等、制度改善の努力が認められる。評価者データベースの整備などの審査体制の充実、繰越制度の一層の周知など、今後更なる改善に向けた取組が望まれる。
  - また、独立した配分機関への移行については、その試行を行い、現在は検討中であるが、早急に実施すべきである。
  - 上記の指摘を踏まえた上で、着実・効率的に実施すべきである。(本庶佑議員)

### ○23年度概算要求に対する総合科学技術会議の評価(抜粋)

- 判定：減速
  - 既存の実施計画を減速又は見直すべきもの
- 理由
  - 継続施策は着実に推進すべきであるが、原因究明以後の医療までの見通し感を持つことが重要である。
  - 難治性疾患克服研究は非常に重要であり、原因解明及び新たな治療法の開発を期待するが、他の重要疾患に比べ予算が過大。
  - 国が行う必要があるものなので、効率を上げる方法を考えるべきではないか。
  - 次世代遺伝子解析装置については、既存の装置を共同利用する、共同研究を行うといったことも含め、効率的に研究を進めることを検討すべきである。
  - 個人の全遺伝子を解析することとしているが、その先の原因を特定し、効果的、効率的な治療方法の開発に至るまでの研究計画が明確ではない。
  - 本事業は競争的資金制度である。研究者等が効果的に活用できるよう、アクション・プランに沿って、使用に関わる各種ルールの統一化及び簡素化・合理化に取り組むことが必要である

### 3. 平成23年度の対応

#### ○「希少難治性疾患に対する新たな医薬品開発に関する研究」の開始

- ・ 重点研究分野に23年度新規課題として作成。
- ・ これまで継続的に希少難治性疾患患者の臨床データを集積してきた当事業の知見を生かして、新たな医薬品開発を行うための研究を実施する
- ・ 新たな医薬品について薬事法に基づく承認申請が可能となることを目標とする
- ・ 医師主導治験を前提としたプロトコルを作成するための研究
- ・ 1課題あたり1,300万円(間接経費込)で8課題採択

#### ○健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト(難病、がん、肝炎等の疾患の克服(うち難病関連分野))の開始

- ・ 難病患者の全遺伝子を、次世代遺伝子解析装置を用いて、極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進する。

### 3. 平成24年度の対応予定

#### (1)臨床調査研究分野

##### ○現状と課題

- ・ 130疾患は固定化しており、再編・整理が困難
- ・ 研究成果の評価結果が研究費に反映されていない
- ・ 基礎研究が中心の研究班もあり、治療法の開発には向かっていない

##### ○対応予定

##### 研究評価方法の改善・工夫

- ・ 成績に応じた資金配分の厳格化
- ・ 研究報告会等でのヒアリングする
- ・ 大規模研究班についてはサイトビジットなどの実施

## (2) 研究奨励分野

### ○現状と課題

- 患者数把握等のため、アンケートを主とする課題が多く、現場の負担、アンケートの回収率の低下
- 希少性ゆえに、学会でも認められず、注目されない研究であり、研究者自身が孤立化する場合もあり

### ○対応予定

- 24年度から臨床調査研究分野同様のグループ化を実施
  - グループ化することにより、研究者間のレベルアップを図る
  - グループ化した結果の評価を行う必要がある
- グループ化出来ない疾患について
  - 単独疾患研究としての公募も実施

## (3) 横断的基盤研究分野

### ○現状(平成23年度までの研究課題)

- 希少性難治性疾患患者に関する医療の向上及び患者支援のあり方に関する研究
- 遺伝学的手法における診断の効果的な実施体制に関する研究
- 生体試料等の効率的提供の方法に関する研究

### ○対応予定

- 遺伝子リファレンスライブラリーの構築
- 研究資源を活用した分子レベルでの疾患特性の解明
  - 23年度まで成果の上がったiPS研究をさらに推進
- 希少性疾患に対する移植医療の技術確立に関する研究
- 患者および患者支援団体等による研究支援体制の構築に関わる研究

#### (4) 重点的研究分野

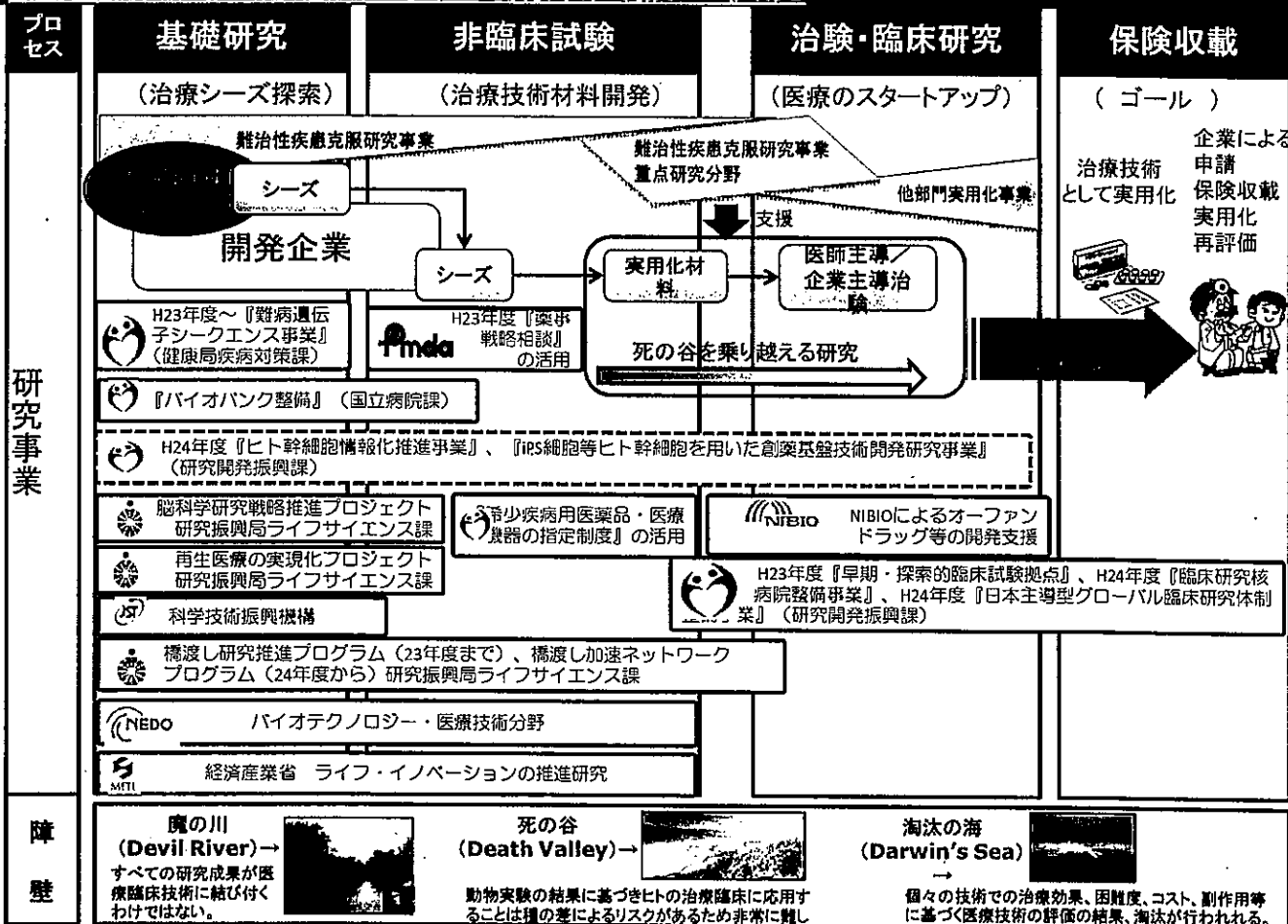
##### ○現状と課題

- 5つのスーパー特区研究班の終了
- 研究マネジメントが課題
  - 成果の評価をするための資料が不足
  - 実際に治験に入る為の管理・指導が必要

##### ○対応予定

- 医師主導治験を目指す課題に特化
  - 採択条件、評価資料を明確化する(PMDAでの「薬事戦略相談」事業の報告や、治験プロトコルの提出 等)
- 研究の管理マネジメントの徹底
  - サイトビジット、面接、成果報告会などを通じ、より厳格に実施
  - 文科省のTRI事業や厚生労働省の中核拠点病院等との連携

### 希少・難治性疾患に対する創薬支援の状況



## 希少・難治性疾患克服戦略 十ヶ条

- ★ 希少難治性疾患は、すべて特定機能病院で診療、相談窓口も開設、全例EDC登録・データベース化を義務付ける。  
➡ 医療法の厳格なる実施。
- ★ 開発は、薬事法に基づく治験で行う。学会が責任もってそれを推進する。 ➡ 学会の指導力
- ★ ジャーナルの創刊 → トップジャーナルに育てる。  
すべての研究をここに出版する。  
➡ J. Rare Disease Control (仮)
- ★ 戦略的に国家予算を投入する。  
投資マトリクスと予算投入原則を適用  
➡ 申請・審査はプロトコルベース。

2012/2/4

1

- 関係学会は、診療ガイドラインを作成し、それに基づいて治療し、データを取るように、すべての医師を対象に指導する。
- すべての疾患について患者団体を立ち上げ、特定機能病院、学会に担当者と窓口を置く。
- 同上ジャーナルにはまず、これまでの疾病登録データの集計、解析結果を順次載せていく。新規医薬品開発データもこれに載せていく。国家予算を使った研究については、同誌での出版を優先させる。
- 国家希少難治性疾患克服事業の推進  
プログラムマネジメントオフィスを設置し、上記すべてについて責任を持つ。

2012/2/4

2

## 予算投入の3原則-1 研究申請と審査

プロトコルベース ~~科研費申請書式~~

### 申請書類

- 概要書、プロトコル、説明同意文書
- 研究組織、研究者名簿
- 治療成績、レジストリー
- 症例登録計画、予定登録数の事前調査

2012/2/4

3

## 予算投入の3原則-2 契約形態と成果物

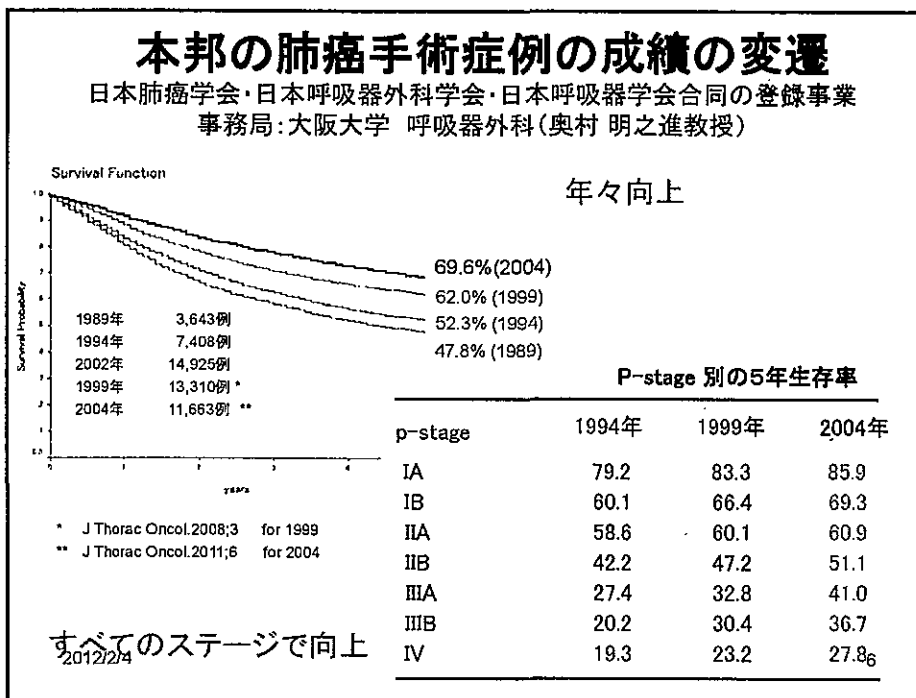
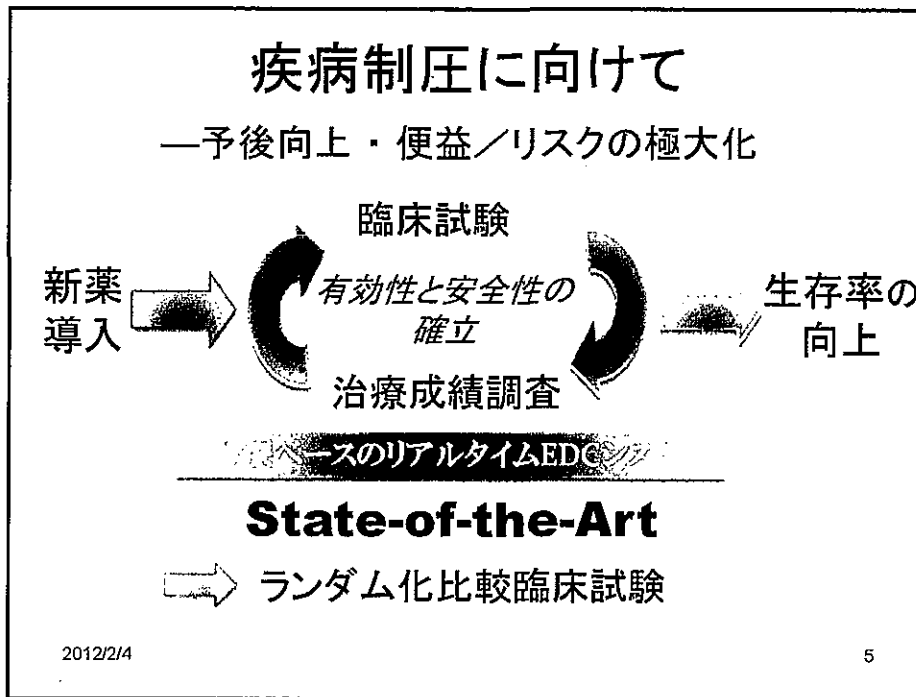
契約ベース

~~補助金~~

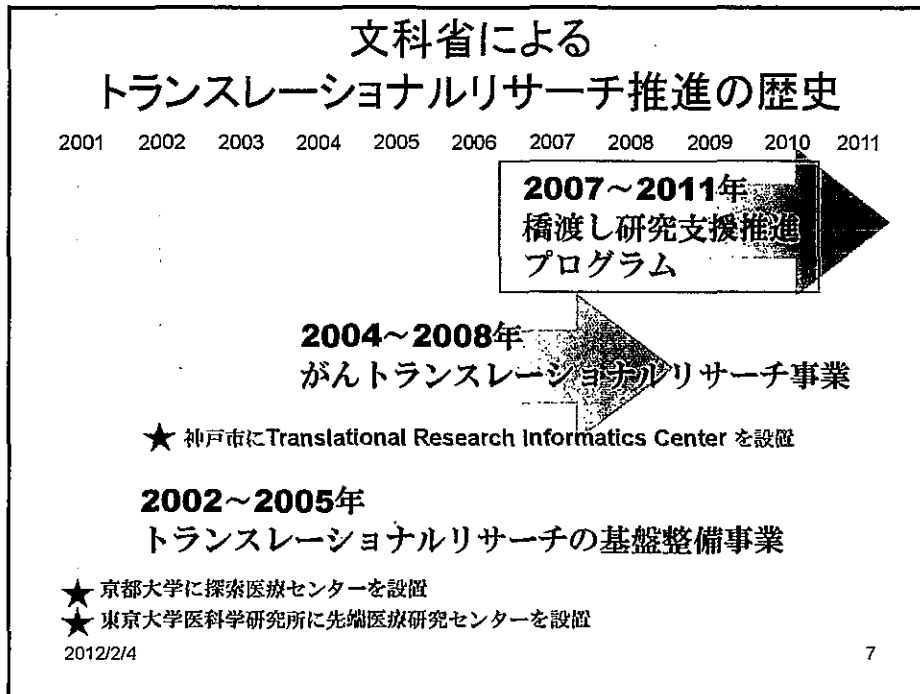
- 共同研究契約
  - 受委託契約
- } {
- 治療成績
  - 新たな知見
  - 技術革新
  - 臨床試験基盤形成

2012/2/4

4








医薬品・医療機器・医療技術の臨床開発は、そもそも個人の関心・興味に駆動される、いわゆる研究ではない。市販に向けて、国際的に法律に基づいて当局からの承認取得を前提として行なう事業かつ法的プロセスである。

薬事法外のいわゆる“臨床研究に関する倫理指針”による臨床研究の通用する世界ではない。

 **強力なマネジメントが必須**

2012/2/4 8

### R&Dパイプライン —対象疾患別—

※先進医療, 高度医療, 治験を出口とする支援シーズ

疾患分類	臨床研究段階	申請準備中/ 治験届準備中	承認・実施中/ 被験者登録・承認申請(準備)中
癌	○ ◇◇ ☆☆☆	◆ *	◆ (▲▲)※
脳・神経系疾患	☆	*	◆ (▲▲)
循環器疾患	○ ◇ ☆☆☆	◆◆ ☆☆☆	◆◆ (▲▲)
骨・関節疾患	○ ◇ ☆☆☆	● *	(▲▲)
眼疾患	◇	◆◆◆ *	
皮膚疾患	○	●	▲
感染症	☆	*	
糖尿病	◇		◆
その他	◇ ☆☆	◆ ☆☆	(▲▲)

先進医療: 臨床研究段階○ 申請・準備中● 承認・実施中●  
 高度医療: 臨床研究段階◇ 申請・準備中◆ 承認・実施中◆  
 治 験: 臨床研究段階☆ 治験届準備中★ 被験者登録・承認申請(準備)中▲

○ 医師主導治験シーズ  
 ※ がんTRからの継続シーズ  
第9回調査報告資料より(一部改変)  
2011年12月25日作成

### アカデミアにおける 希少疾患・難治性疾患等に対する進行中治験 新規医薬品候補例

	候補物	ポジション	対象疾患	フェーズ	現状	Next Step
★ 東北大 (青木正志教授)	Nアセチル ノイラミン酸	新	縁取り空胞を伴う 遠位型 ミオパチー	I	終了	II
★ 東北大 (青木正志教授)	HGF	新	ALS	I	登録中	II
★ 京大 (中尾一和教授)	レプチン	新	脂肪萎縮性 糖尿病	I/IIa	終了	申請
名大 (相父江元教授)	酢酸 リユープロレリン	効能追加	運動神経 変性疾患 (球脊髄性筋萎縮症)	II	終了	III

★文科省橋渡し研究支援推進プログラム開発シーズ

2012/2/4 10

社会保障・税一体改革大綱【難病関係部分抜粋】

[平成24年2月17日閣議決定]

3. 医療・介護等②

(12) 難病対策

○ (3)の長期高額医療の高額療養費の見直しのほか、難病患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えるため、医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象の希少・難治性疾患の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指す。

また、治療研究、医療体制、福祉サービス、就労支援等の総合的な施策の実施や支援の仕組みの構築を目指す。

☆ 引き続き検討する。

## 今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）（抄）

平成23年12月1日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

### 4. 今後の難病対策の見直しの方向性

ごくまれではあるが国民の中に一定の割合で発症する可能性のある難病について、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指す。

このため、

- 医療費助成について、事業の公正性、他制度との均衡、制度の安定性の確保の観点に立ち、法制化も視野に入れ、希少・難治性疾患を幅広く公平に助成の対象とすることを検討する。
- また、希少・難治性疾患の特性を踏まえ、治療研究の推進、医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策の実施や支援の仕組みを検討する。