

医療イノベーションに関する資料

平成23年5月19日

厚生労働省

～ 日本の医薬品・医療機器産業の国際競争力強化と高い経済成長を実現 ～

基本的考え方

【現状の課題】

- 日本で行われる臨床研究に対する支援や制度上の制約が障壁となり、**日本発**のシーズが革新的な医薬品・医療機器の開発につながっていない。
- 企業の治験着手の遅れ、治験の実施や承認審査に時間がかかる等により欧米との間にドラッグ・ラグ、デバイス・ラグが生じている。

【施策の方向】

- **臨床研究**の質・量の向上を図るとともに、**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等を強化する。
- 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、デバイス・ラグを解消する。

改革案の具体的内容（ポイント）

■ **日本発**の革新的医薬品・医療機器の開発と実用化

○ **日本発**の革新的医薬品・医療機器の研究開発の推進

- ・ 日本の**臨床研究**の質・量の向上（ICH-GCP水準の**臨床研究**を実施する臨床研究中核病院等の創設、臨床研究中核病院等における先進医療の取扱いを検討、PMDA・厚生労働省との連携、人材の育成、ITの活用等）
- ・ 個別重点分野の研究開発支援（がん、再生医療、医療機器、個別化医療等）

○ **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

- ・ PMDAによる薬事戦略相談
- ・ PMDA等の体制強化
- ・ 実用化を見据えた**レギュラトリーサイエンス**の推進
- ・ （独）医薬基盤研究所によるオーファンドラッグ等の開発支援の拡充
- ・ 保険償還価格の設定における医療経済的な観点を踏まえたイノベーションの評価等のさらなる検討

■ 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）

- ・ 「申請ラグ」「審査ラグ」短縮への取組等
- ・ 医療保険制度における取組（医療上の必要性が高いとされた医薬品に係る先進医療制度の運用の見直し、先進医療データの質の確保の検討）

日本発の革新的な医薬品・医療機器の研究開発の推進

基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況を解消するため、基礎研究から実用化の間の橋渡しに支援を重点化する。臨床研究中核病院等の創設をはじめ、基礎研究から非臨床試験・臨床試験につながる段階の支援体制を強化するとともに、臨床試験の推進体制・制度改革を検討する。

これまでの課題

○ 新薬の開発には多大な費用と長い時間がかかり、リスクも高い。そのため、優れたシーズを広く学会などから吸い上げ、産業界の新薬開発につなげることが不可欠であるが、この橋渡しが円滑に進まない。

○ 日本は、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験体制(人材及び設備)が不十分であるため、基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況にある。

具体的な政策

【日本の臨床研究の質・量の向上】

- ①臨床研究中核病院等の創設
ICH-GCP水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院等を創設し、ヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験等を推進し、臨床研究中核病院等においては、未承認等の医薬品・医療機器について、その特性に応じて先進医療制度の申請・審査手続きの効率化を図る。
- ②臨床研究に係る研究費の拡充・集中及び審査組織の創設
臨床研究のプロトコル審査を一元的に行う組織を創設するとともに、その審査で見込みのある研究に対して研究費を集中的に投入する。
- ③革新的な医薬品・医療機器創出のための人材の育成
- ④臨床研究・治験活性化のためのIT基盤の整備
- ⑤臨床研究・治験の無過失補償制度の創設の検討 等

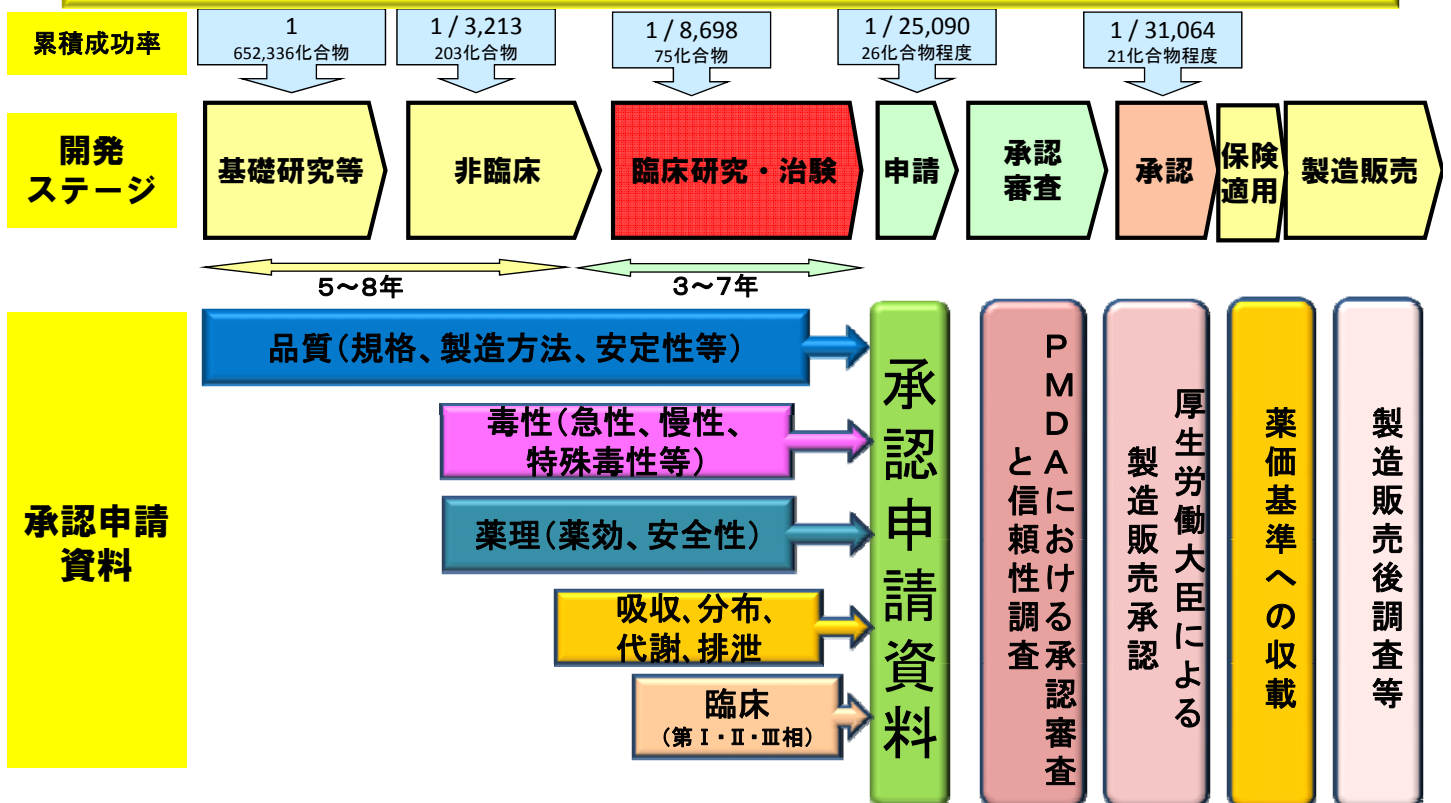
【個別重点分野】

- ①がん
日本発のがんワクチン療法による革新的がん治療の開発のほか、難治性がんや再発がんを中心に、バイオマーカーを用いた新規性の高い画像診断方法の開発や、がん幹細胞を標的とした革新的な治療技術の開発を推進する。
- ②再生医療
切れ目ない基礎研究から臨床研究・実用化への移行を可能とする仕組みを構築するとともに、効率的で加速度的な臨床研究が実施できる臨床研究支援体制等の基盤構築を目的とした研究を実施する。
- ③医療機器
世界標準の臨床試験実施体制を有する施設における試験研究が円滑に実施できるよう、薬事に係る諸手続の合理化等を行うとともに、改良・改善に伴うリスク評価を可能にする基準の策定や、ものづくり企業の技術が早期に実用化されるよう審査・相談体制を強化する。
- ④個別化医療
病態の解明や日本発の診断・治療法の開発に必要な基盤整備を目指して、バイオバンクを構築する。また、難治性疾患患者の遺伝子の解析を推進するとともに、医薬品等の安全対策の向上に活用するための医療情報データベースを構築する。

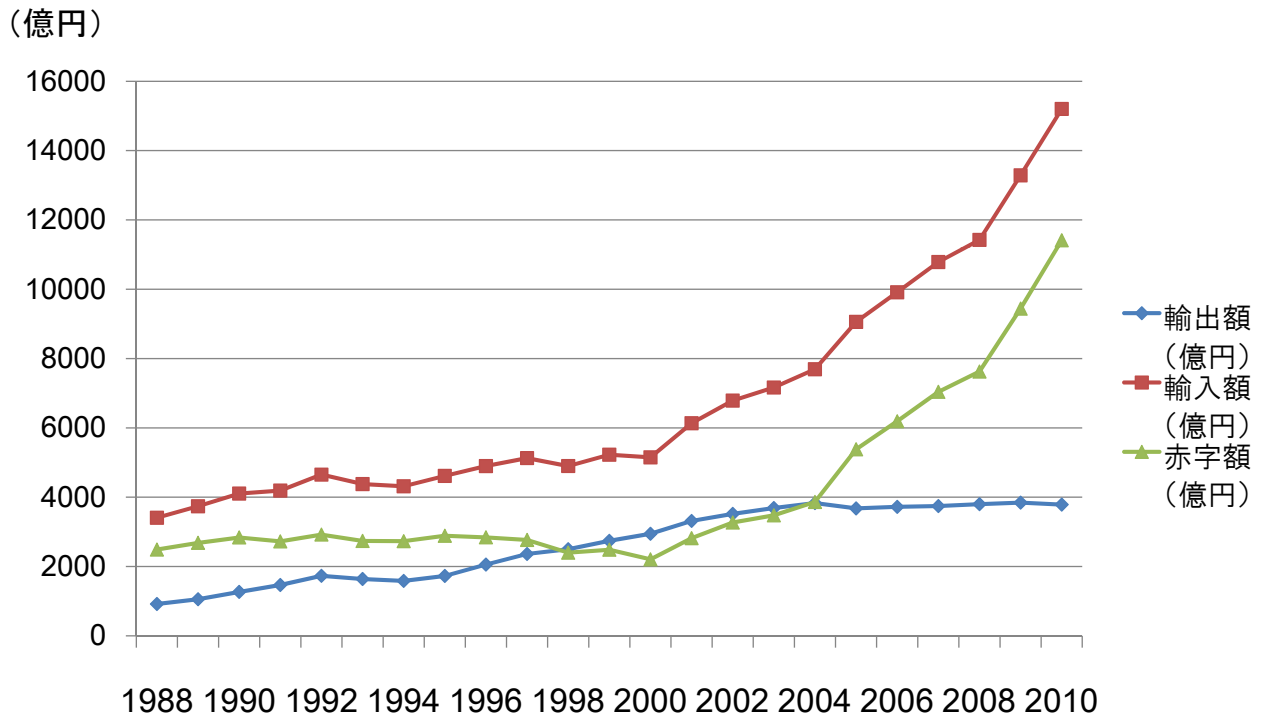
※ICH-GCP (International Conference on Harmonisation-Good Clinical Practice) 人を対象とする治験・臨床研究の倫理的、科学的な質を確保するための国際的な基準

医薬品、医療機器の開発

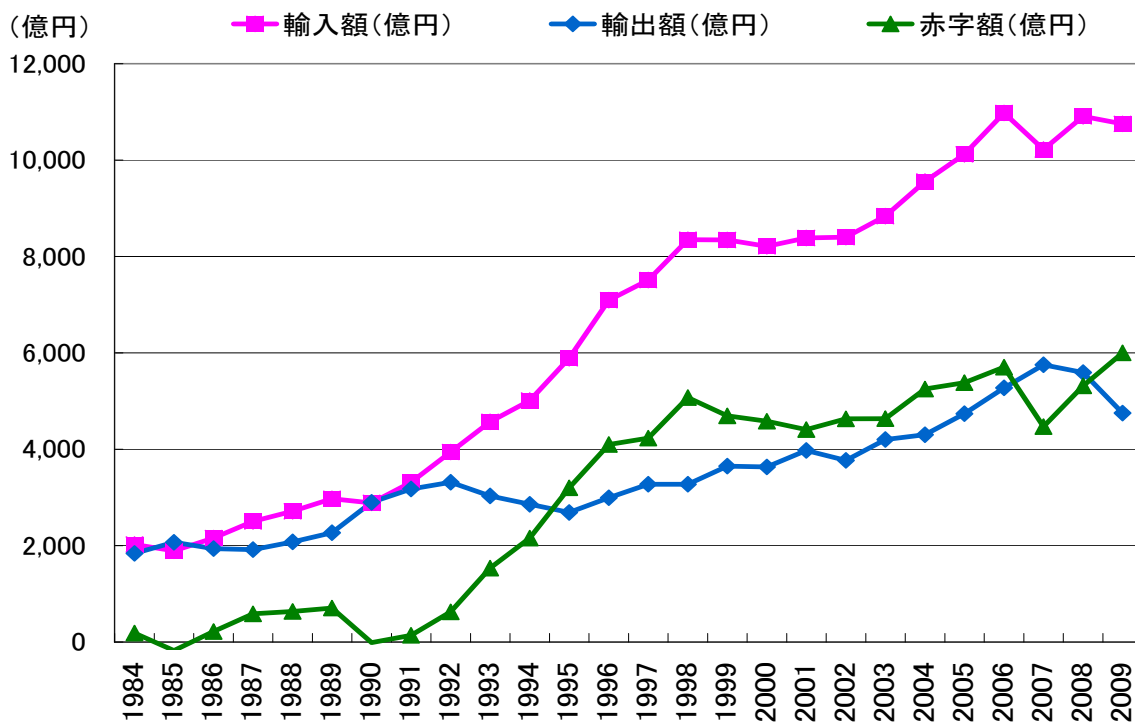
※データは医薬品の場合
(出典：製薬産業2011)



日本の医薬品輸出入額の推移

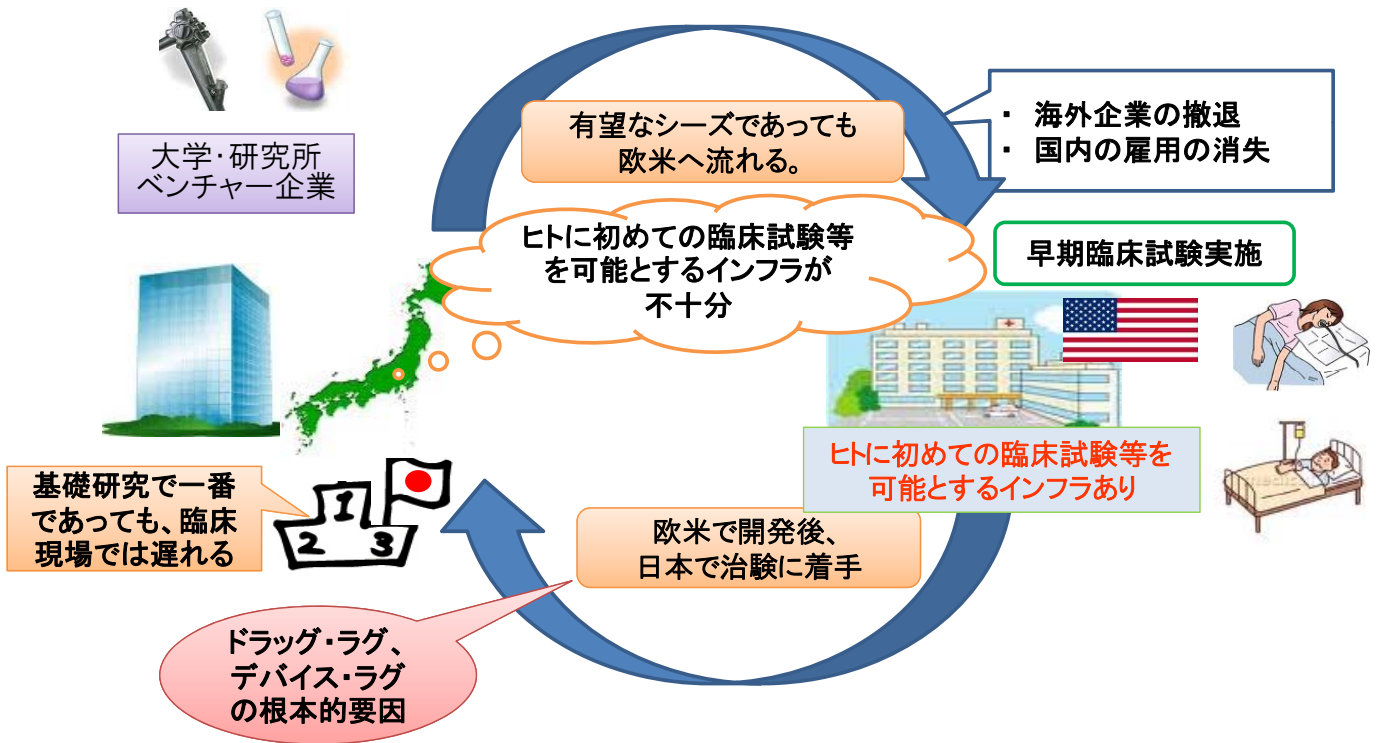


日本の医療機器輸出入額の推移



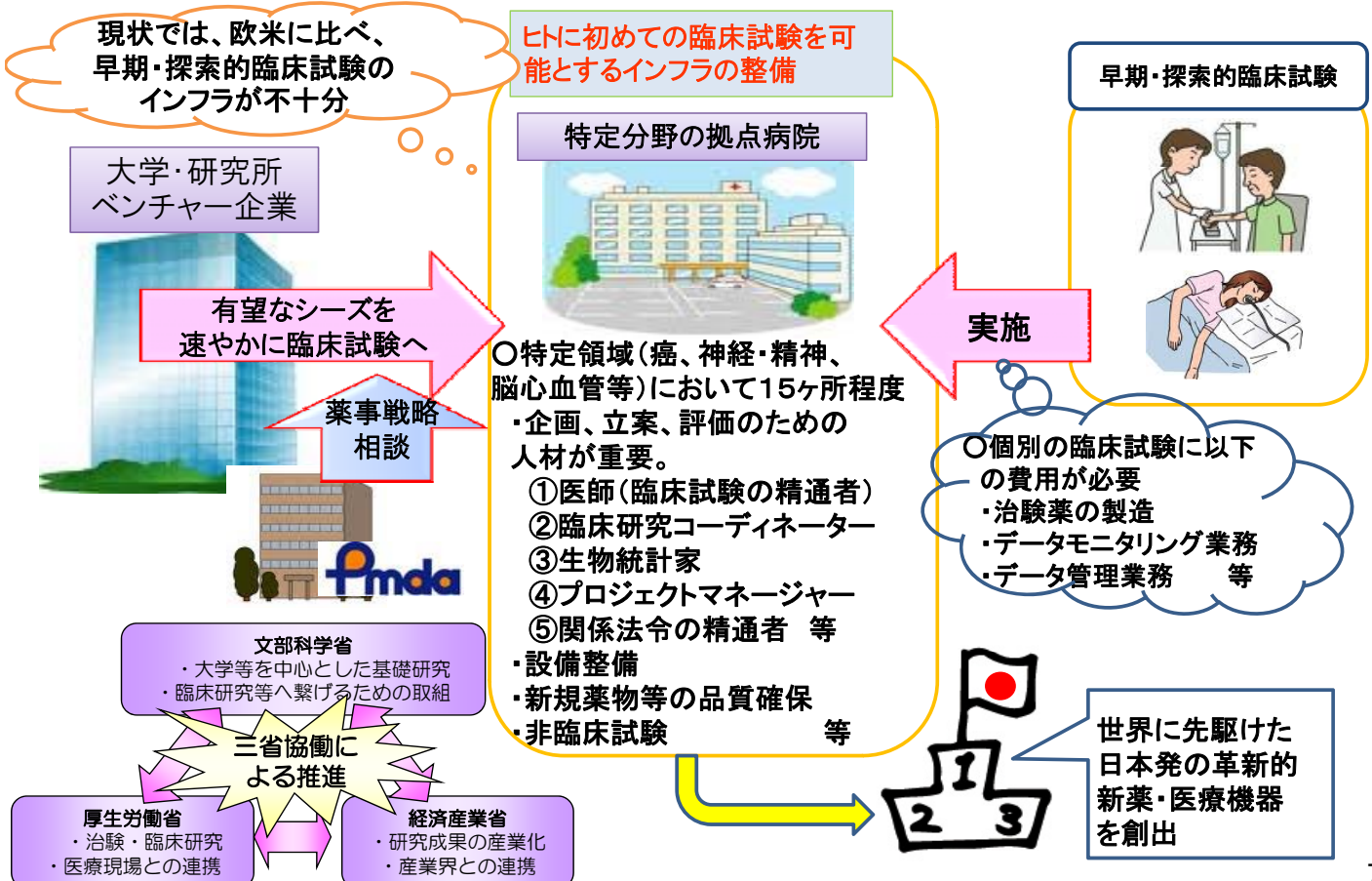
現状の医薬品・医療機器開発の問題点

○ 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。**



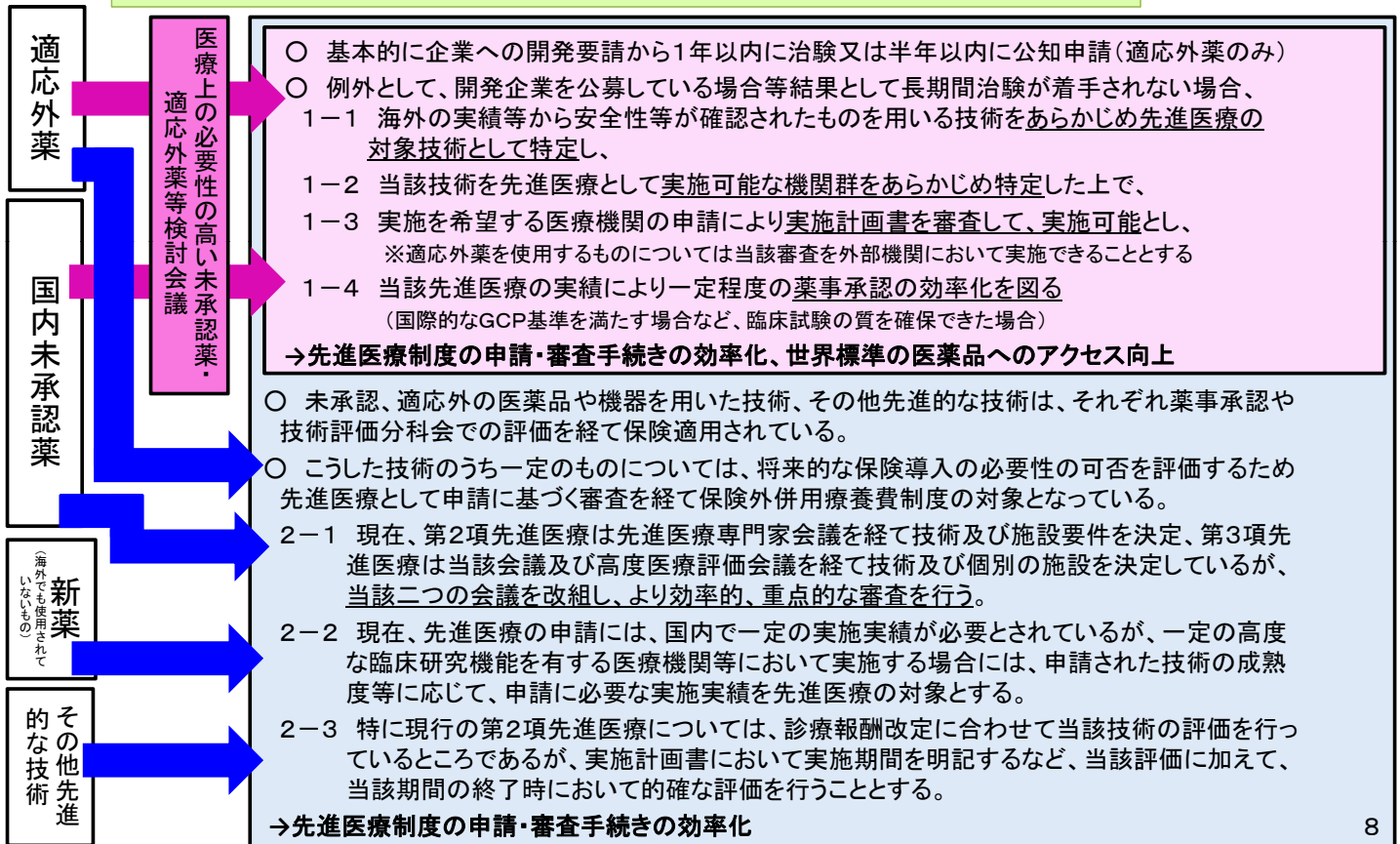
6

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



7

- 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



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

- 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。
- PMDA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、根拠に基づいた確かな予測、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ます、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

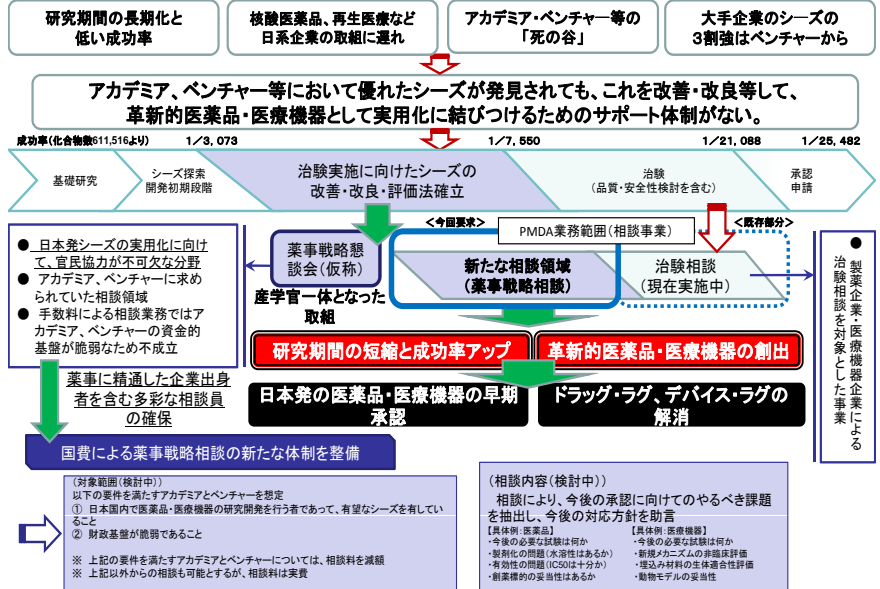
- シーズ発見後のアカデミア(大学)、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とする「薬事戦略相談」を導入する。
- 「薬事戦略相談」においては、薬事に精通した製薬企業出身者を含む多彩な相談員を確保して、開発・薬事の相談に応じる。
- 官民協力により事業を推進するため、「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会(仮称)」を設置し、相談事業の優先順位付け、実現可能性等の検討を行う。

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



10

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

11

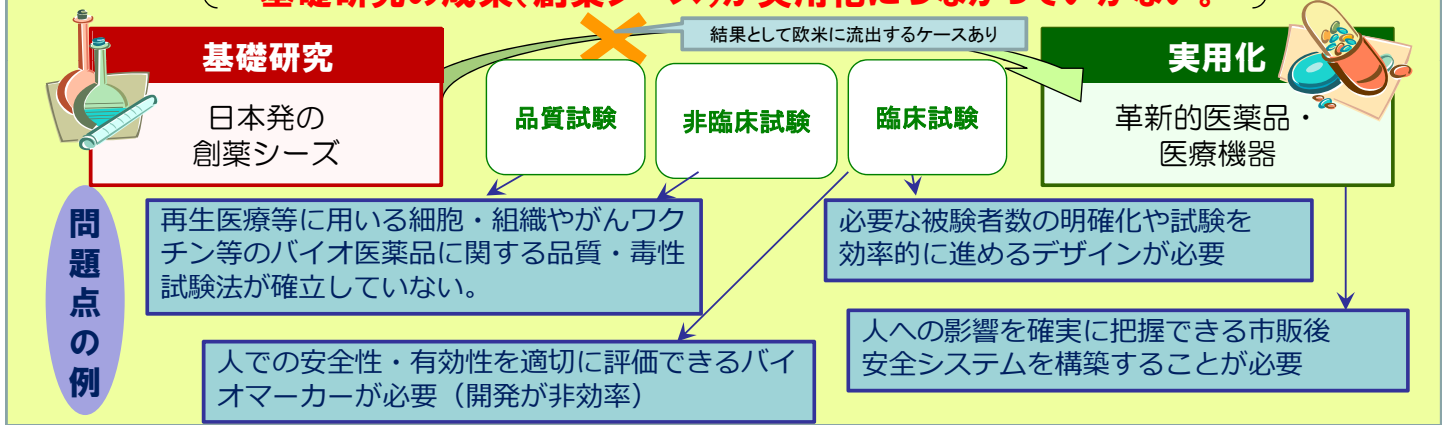
日本発の革新的医薬品・医療機器の迅速な実用化に向けて

- 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

開発戦略が設計できず、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ない。



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

これらの条件を満たす医薬品・医療機器を指定
 （薬事法第77条の2）

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 <(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、平均助成率は平成21年度で36.9%、平成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。

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
 - 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

- 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
- 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

14

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 「革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略」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) → 0年

※申請ラグ 18か月
審査ラグ 12か月

● 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 「医療機器の審査迅速化アクションプログラム」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 → 0か月

※申請ラグ 12か月
審査ラグ 7か月

● 最近の実績

(米国との差)	18年度	19年度	20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。

15

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。(成長戦略)(平成23年度中実施予定)。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。

2. 世界で先行している未承認薬等への対応

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

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

承認前の保険適用

審査ラグ短縮