

臨床研究

平成27年7月23日(木)
JSGT 臨床試験トレーニングコース

厚生労働省 医政局 研究開発振興課

再生医療等研究推進室長補佐

虎島 泰洋

2015JSGT臨床試験トレーニングコース COI 開示

発表者名： 虎島 泰洋

演題発表に関連し、開示すべきCOI 関係
にある企業などはありません。

本日の話

再生医療新法制定の背景

再生医療新法の概要

医薬品医療機器法

臨床研究をめぐる動き

- ・ 臨床研究中核病院
- ・ 臨床研究に関する倫理指針
- ・ 臨床研究の法制化

研究開発関連予算

高度先進医療

再生医療新法制定の背景

再生医療とは

- 再生医療とは、細胞加工物を用いて、人の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成、疾病の治療又は予防を行うもの。

【医療】

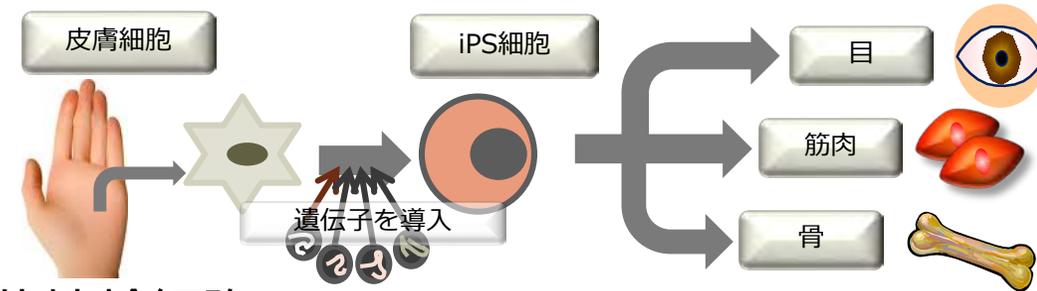
ES細胞（胚性幹細胞）

受精卵から作製された細胞。倫理面の課題あり。



iPS細胞（人工多能性幹細胞）

体の細胞に特定の遺伝子を導入し作製された細胞。がん化等の課題あり。



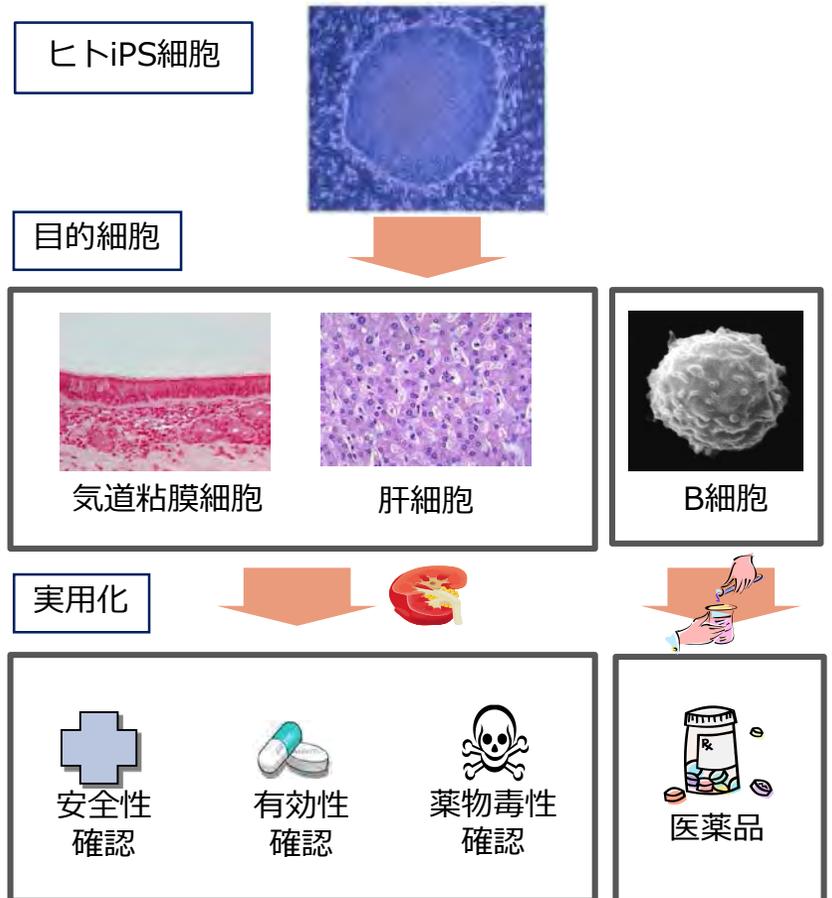
体性幹細胞

生物が元々持つ細胞。限定された種類の細胞にしか分化しない。



【創薬】

- ・ ヒトiPS細胞等から目的とするヒトの細胞を作製し、薬物の安全性等を確認。



日本再興戦略

(平成25年6月14日閣議決定)

- 医薬品・医療機器開発、再生医療研究を加速させる規制・制度改革
 - ・再生医療等安全性確保法案について、早期の成立を目指す。
 - ・産官学が一体となって、再生医療の実用化を促進するための環境の整備を図る。
 - ・「再生医療実現化ハイウェイ構想」等に基づき、研究開発から実用化までの一貫した支援体制を構築することにより、質の高い臨床研究・治験への迅速な導出を図る。

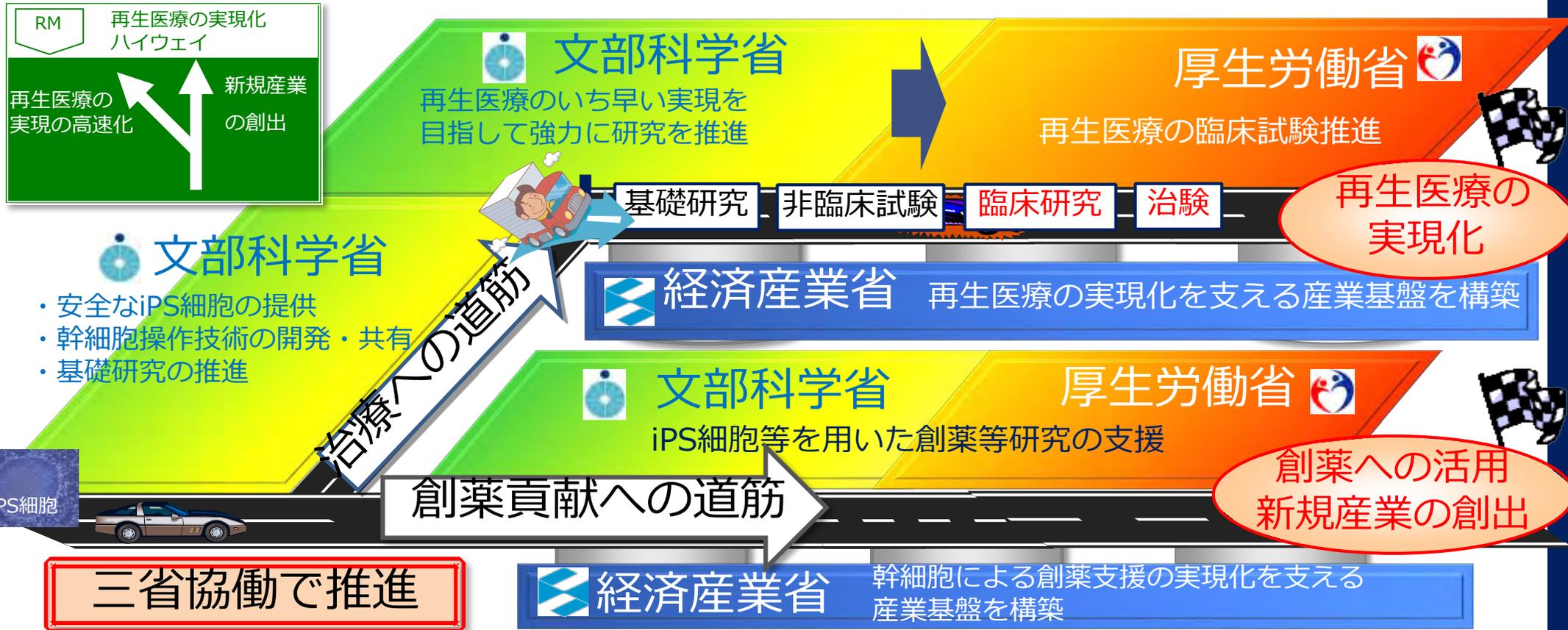
- 革新的な研究開発の推進
 - ・革新的な医薬品・医療機器の研究開発、再生医療等の先端医療研究を推進するとともに、再生医療製品の安全性と有効性の評価法の確立に資する研究の充実等の基盤強化を図る。
 - ・iPS細胞等の再生医療の研究と実用化推進のための研究を集中的かつ継続的に推進する。

再生医療の実現化ハイウェイ構想

文部科学省、厚生労働省、経済産業省の連携による、いち早い再生医療・創薬の実現

| 再生医療市場の拡大（国内） | 2012 | 2020 | 2030 |
|---------------|-------|-------|---------|
| 再生医療 | 90億円 | 950億円 | 1.0兆円 |
| 周辺産業 | 170億円 | 950億円 | 5,500億円 |

出典：「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」（平成25年2月経済産業省）



厚生労働科学研究費補助金（再生医療実用化研究事業）

○再生医療の実用化に向けた研究の支援

- ・ヒト幹細胞の保存方法などの確立のための研究
- ・ヒト幹細胞の腫瘍化リスクなどに対する安全性の確保に関する研究

○創薬応用に向けた研究の支援

- ・iPS細胞を利用した創薬のための研究

等

等

| 年度 | H 2 2 | H 2 3 | H 2 4 | H 2 5 | H 2 6 |
|----|-------|---------|---------|---------|---------|
| 予算 | 5. 7億 | 1 3. 8億 | 1 5. 1億 | 2 1. 3億 | 2 9. 8億 |



5年の間に5倍以上に

再生医療新法の概要

今後の再生医療の実用化を促進する制度的枠組み

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律【議員立法】平成25年4月26日成立、5月10日公布・施行

再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図る

自由診療

臨床研究

製造販売

再生医療等安全性確保法

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】
【平成26年11月25日施行】

再生医療等の安全性の確保等を図るため、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工施設についての基準を新たに設ける。

医薬品医療機器法（薬事法改正）

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】
【平成26年11月25日施行】

再生医療の実用化に対応できるよう、再生医療等製品の特性を踏まえた承認・許可制度を新設するため、改正を行う。

迅速性

細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療等製品の特性に応じた早期承認制度の導入

安全性

再生医療等のリスクに応じた三段階の提供基準と計画の届出等の手続、細胞培養加工施設の基準と許可等の手続を定める

患者への説明と同意、使用の対象者に関する事項の記録・保存など市販後の安全対策

安全な再生医療を迅速かつ円滑に

多くの製品を、より早く

新法制定前の再生医療等の手続き

国への手続きあり

臨床研究【108件】
(平成26年11月現在)

医療機関

申請

倫理審査委員会

了承

厚生労働大臣

厚生科学審議会

了承

実施

国への手続きなし

自由診療【実態不明】

医療機関

国への手続きなし

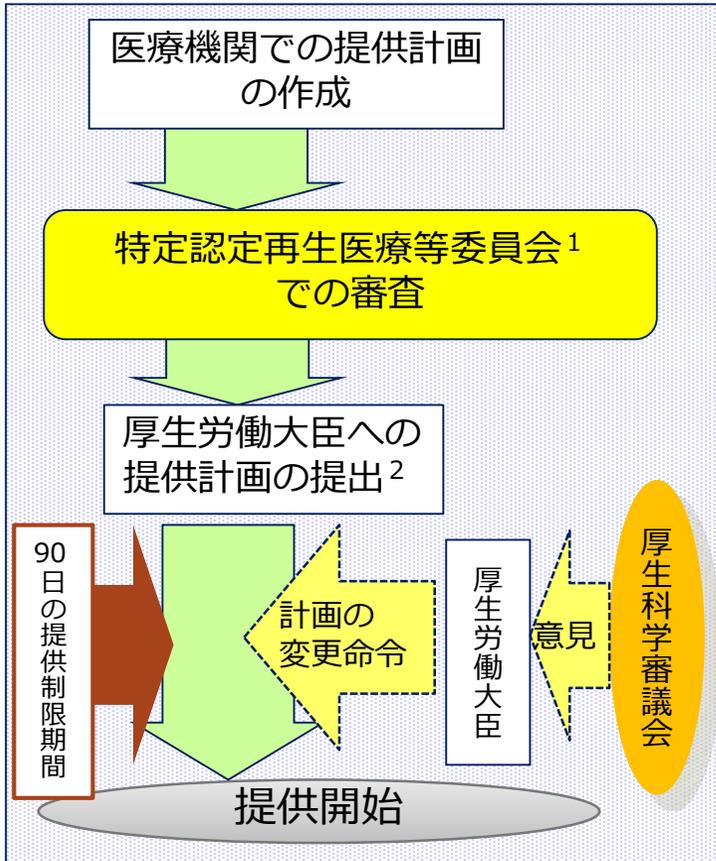
実施

リスクに応じて
手続きを定める

リスクに応じた再生医療等安全性確保法の手続き

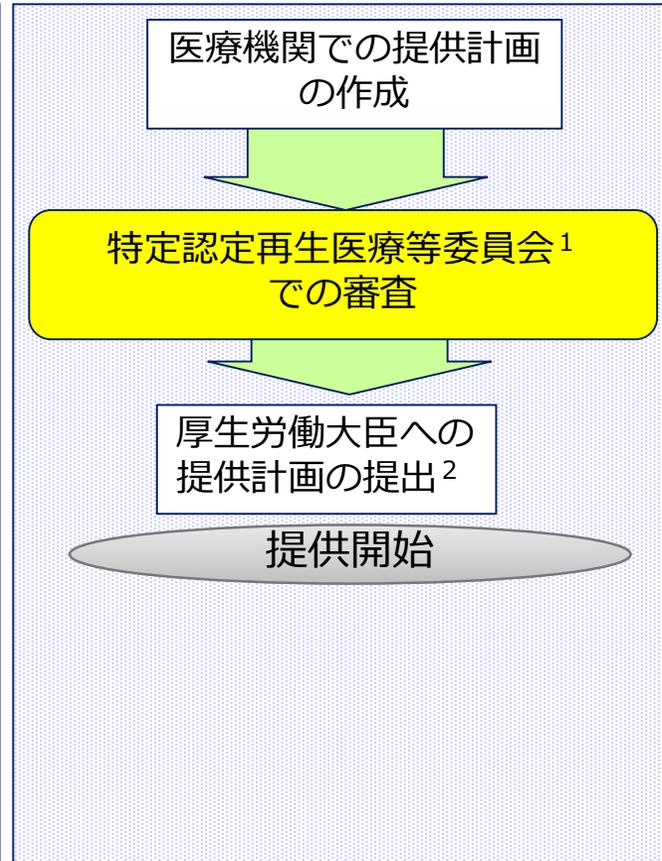
第1種再生医療等

ヒトに未実施など高リスク
(ES細胞、iPS細胞等)



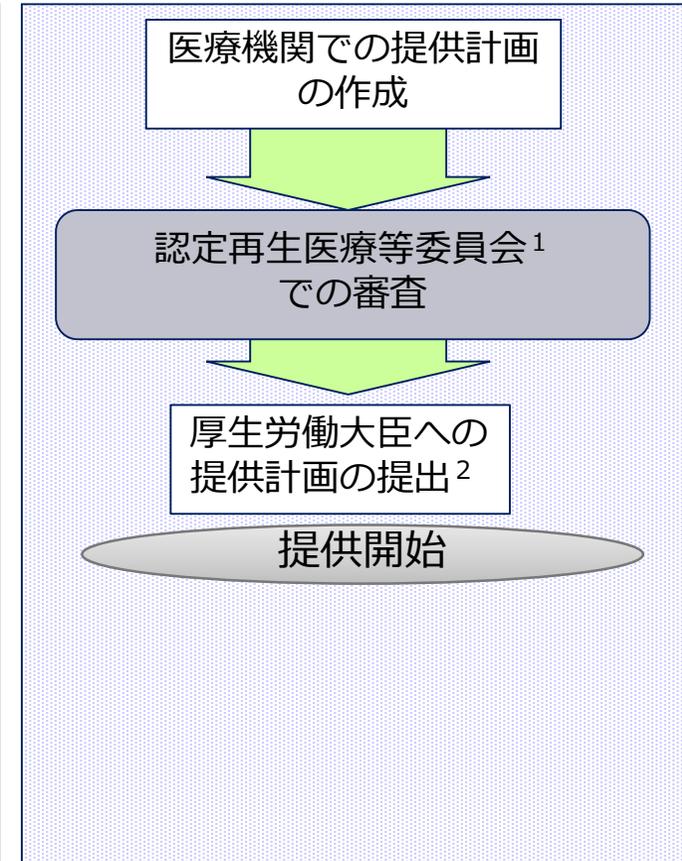
第2種再生医療等

現在実施中など中リスク
(体性幹細胞等)



第3種再生医療等

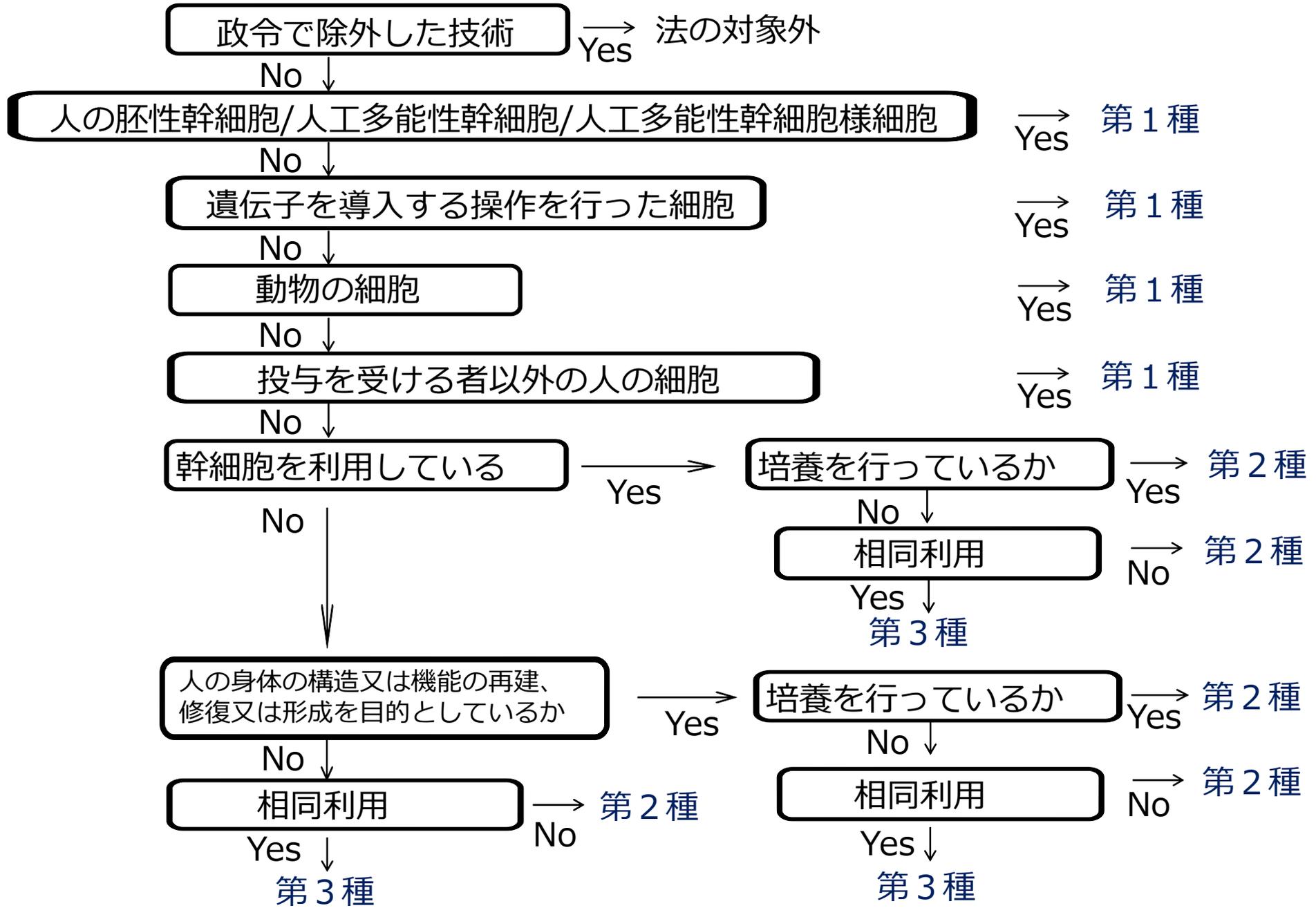
リスクの低いもの
(体細胞を加工等)



(注1) 「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。

(注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の手続を義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。

第1種・第2種・第3種再生医療等技術のリスク分類



再生医療等安全性確保法による細胞培養加工の外部委託（医薬品医療機器法と再生医療等安全性確保法）

臨床研究・自由診療

再生医療等製品

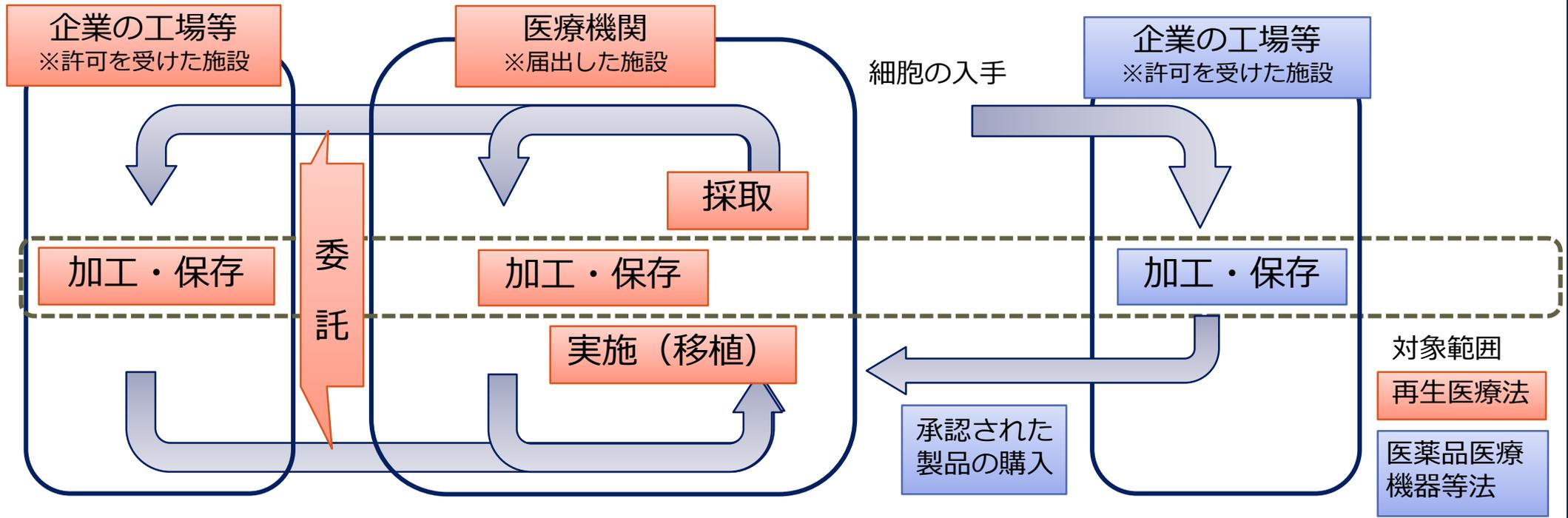
再生医療等安全性確保法

医療として提供される再生医療等について、採取等の実施手続き、再生医療等を提供する医療機関の基準、細胞を培養・加工する施設の基準等を規定し、安全性等を確保。

医薬品医療機器法

再生医療等製品の製造所の基準等を規定し、再生医療製品の有効性、安全性を確保。

※ 再生医療等安全性確保法に基づき医師の責任の下で実施される細胞の培養・加工の委託については、医薬品医療機器法等法の適用外。



疾病等の報告

再生医療等の提供によるものと疑われる疾病、障害、死亡又は感染症の発生

認定再生医療等委員会



疾病等の発生

医療機関



報告
意見

再生医療等の提供によるものと疑われる疾病、障害、死亡又は感染症の発生

報告

再生医療等の提供が
適当でない旨の意見を
述べた場合

発生した事態及び講じた
措置について通知

細胞培養加工施設



重大事態の発生

咨
詢

報告

行政指導、改善命令、
緊急命令

届出

許可の
取消し

厚生労働大臣



特定細胞加工物の製造業務の安全性の確保に重大な支障を及ぼす事態が生じた場合、必要な措置を講じ、その旨を報告

報告

必要な措置

行政指導、改善命令、緊急命令、許可の取消し等

定期報告

細胞培養加工施設



医療機関



認定再生医療等委員会



報告 ※

法第20条

- ・再生医療等を受けた者の数
- ・疾病等の発生状況及びその後の経過
- ・安全性及び科学的妥当性についての評価等

法第46条

- ・製造した特定細胞加工物の製造件数
- ・苦情の発生状況について
- ・製造した特定細胞加工物に係る疾病等の発生に係る情報（特定細胞加工物の提供先医療機関から情報提供のあったもの）

報告 *

法第21条

- ・再生医療等を受けた者の数
- ・疾病等の発生状況及びその後の経過
- ・安全性及び科学的妥当性についての評価
- ・再生医療等の提供の状況に対し認定再生医療等委員会が述べた意見の内容等

報告 ※

意見

意見を述べた場合は、医療機関は必要な措置をとる

定期報告は1年ごと

* 60日以内

※ 90日以内（医療機関が厚生労働大臣に報告する際には認定再生医療等委員会の意見を添えて）



厚生労働大臣

概要を公表

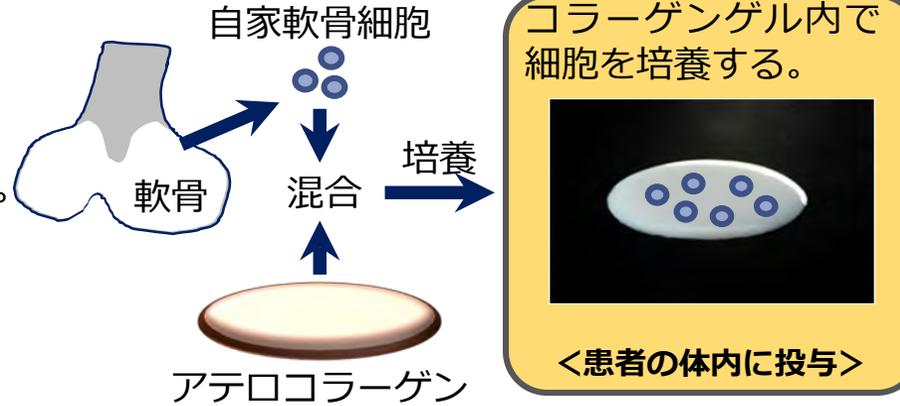


医薬品医療機器法

再生医療等製品の例

【細胞を使って身体の構造等の再建等を行う例：軟骨再生製品】

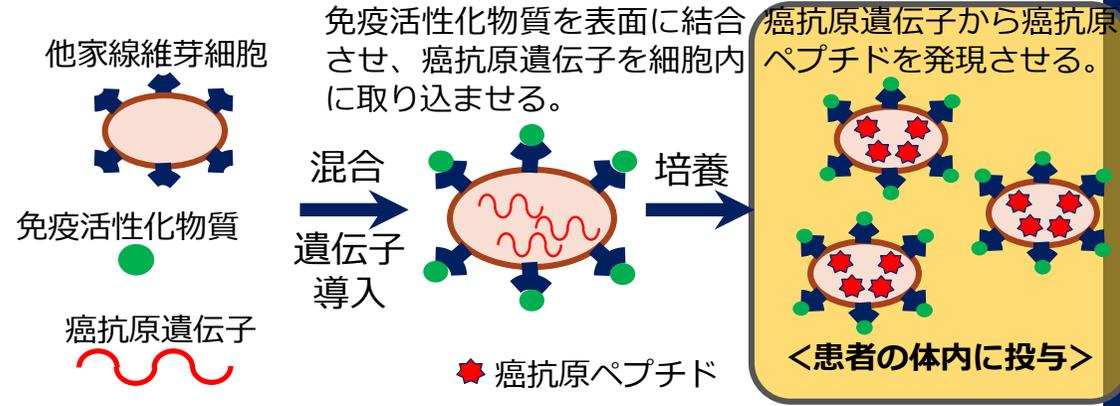
自家軟骨細胞を生体外のコラーゲンゲル中にて、培養した物。外傷等により欠損した軟骨部位に移植し、軟骨細胞-コラーゲンゲル等からなる軟骨様組織により、軟骨機能の修復が期待される。



【細胞を使って疾病の治療を行う例：癌免疫製品】

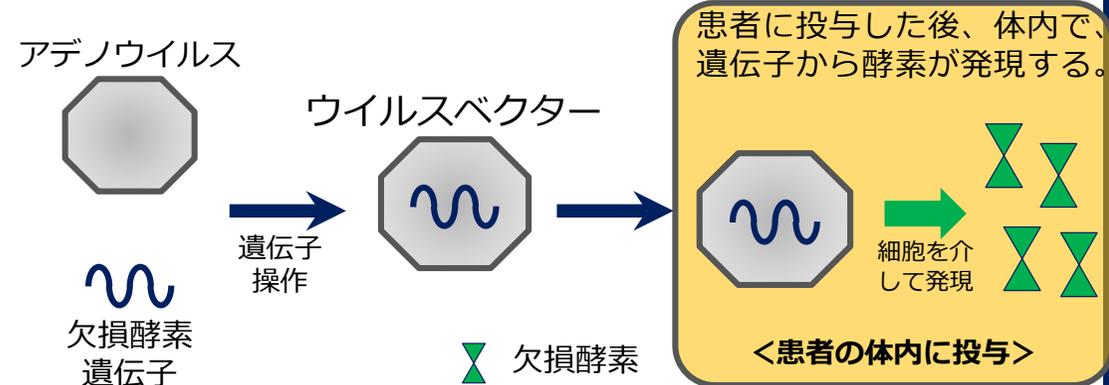
免疫細胞を活性化する物質及び癌抗原ペプチドを含む細胞により、癌免疫機能を増強させることで、癌治療効果が期待される。

※この製品では遺伝子導入も行っている。



【遺伝子治療の例：遺伝性疾患治療製品】

ウイルスに先天的に欠損した遺伝子（例えば、アデノシンデアミナーゼ遺伝子など）を保持させ、患者に投与した後に、導入遺伝子が発現することで、遺伝性疾患の治療効果が期待される。



各国における再生医療製品の上市製品数及び治験中の製品数 (2012年12月時点)

- 日本は諸外国と比べて、**治験中又は臨床研究の件数は遜色なく、また、表皮・軟骨以外にも心筋などの発展性のある新たな技術を日本は有している。**日本が開発をリードできるよう、各種の再生医療技術が迅速に実用化される環境の整備を図ることが喫緊の課題。
- このため、①**再生医療製品の特性を踏まえた条件・期限付きの早期承認制度を導入すること等を内容とする「医薬品医療機器法」と、②再生医療のリスクに応じて適切に安全性確保を図るとともに、細胞培養加工について、医療機関から外部への委託を可能とする「再生医療等安全性確保法」**が平成25年11月に成立・公布され、平成26年11月に施行された。

欧州 (20品目) 治験中 (42品目)
Bioseed-S (自家培養表皮細胞)
Chondrotransplant (自家培養軟骨) 等

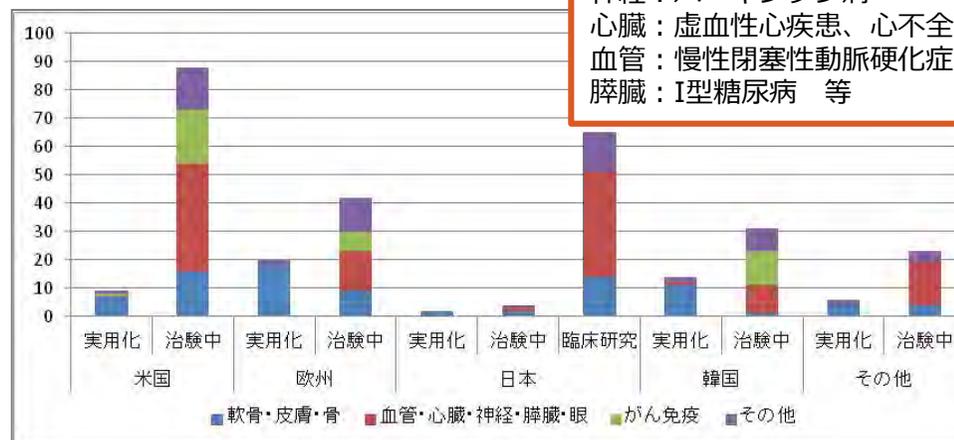
韓国 (14品目) 治験中 (31品目)
Holoderm(自家培養表皮)
Articell (自家培養軟骨)
Ossron (自家骨) 等

日本 (2品目) 治験中 (4品目)
将来的な治験候補となる臨床研究は、**65件**
JACE (自家培養表皮)、JACC (自家培養軟骨)

米国 (9品目) 治験中 (88品目)
Epicel (自家培養皮膚)
Dermagraft (同種培養真皮)
OrCel (同種人工皮膚)
Carticel (自家培養軟骨) 等

その他 (6品目) 治験中 (23品目)
Chondrotransplant (自家培養軟骨) 等

再生医療製品の各国の開発状況 (2012年12月時点)



【適応される疾患例】
神経：パーキンソン病
心臓：虚血性心疾患、心不全
血管：慢性閉塞性動脈硬化症
膵臓：I型糖尿病 等

出展：(株) シード・プランニングによる調査 (一部改変)

再生医療製品の上市状況、開発動向の集計の考え方

- ①本集計は、上市/治験の実施国でカウント。
- ②上市製品とは、各国/地域の薬事承認を通過し製造販売承認を得た、細胞加工を伴う医薬品・医療機器を示す。細胞加工を伴わない同種/異種移植片や、細胞バンク (臍帯血・造血幹細胞等) は含まない。また、以下については上市製品としてカウントする。

- ・米国におけるHumanitarian Device Exemption (HDE) programによる承認製品。
- ・欧州における、中央審査方式以前に各国にて承認された製品。

日本では、再生医療製品および治験・臨床研究の数の調査対象に、がん免疫に関するものは含まれていない。

日本国内で、新たに承認申請された再生医療等製品

同種間葉系幹細胞

2014年9月26日付 JCRファーマ株式会社 プレスリリース（抜粋）
日本初の細胞性医薬品（開発番号：JR-031）製造販売承認申請のお知らせ

当社は、**ヒト間葉系幹細胞（MSC）を利用した細胞性医薬品**（開発番号：JR-031）について、本日、「**急性移植片対宿主病（急性GVHD）**」を効能、効果として、厚生労働省に製造販売承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

JR-031は、健康なドナーから採取した骨髓液から間葉系幹細胞を分離し、拡大培養して製造する細胞性医薬品であり、静脈内から細胞が投与され、その細胞自体が有する性質を利用して患者様を治療するという画期的な製品となります。また、免疫原性が弱いため、通常の医薬品と同様に、不特定多数の患者様に投与できるという利点があります。

自己骨格筋芽細胞シート

2014年10月31日付 テルモ株式会社 プレスリリース（抜粋）
日本発、世界初の心筋再生医療の実用化へ向けて 骨格筋芽細胞シートの製造販売承認を申請

テルモ株式会社（本社：東京都渋谷区 社長：新宅祐太郎）は、**虚血性心疾患による重症心不全**を対象とした**骨格筋芽細胞シート**について、昨日、厚生労働省へ再生医療等製品として、製造販売承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

本申請が承認されますと、世界初の心筋再生医療製品となり、心不全治療における新たな選択肢として期待されます。

患者さんの大腿部より筋肉組織を採取し、組織内に含まれる骨格筋芽細胞を体外で培養してシート状にします。それを傷んだ心筋の表面に貼ることで、重症心不全の病態改善が期待できます。この細胞は患者さん自身から採取するため、拒絶反応がないことが特徴として挙げられます。

再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築①

改正の背景

- iPS細胞等による再生医療は、革新的な医療として実用化に向けた国民の期待が高い。一方で、安全面などの課題が存在。
- このため、再生医療等製品については、安全性を確保しつつ、迅速な実用化が図られるよう、その特性を踏まえた制度等を設けることが必要。

※ 再生医療等製品の主な特性

人の細胞等を用いることから個人差などを反映し、品質が不均一となること

再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築②

改正の内容①

【医薬品・医療機器と別個の定義付け】

(1) 医薬品や医療機器とは別に「再生医療等製品」を新たに定義し、再生医療等製品の「章」を設ける。

<再生医療等製品の範囲>

- ① 人の細胞に培養等の加工を施したものであって、
 - イ 身体の構造・機能の再建・修復・形成や、
 - ロ 疾病の治療・予防を目的として使用するもの、又は
- ② 遺伝子治療を目的として、人の細胞に導入して使用するもの

※ これらはいずれも人の細胞等を用いることから、品質が不均一であり、有効性の予測が困難な場合があるという特性を有している。具体的には、政令で範囲を定める予定。

再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築③

改正の内容②

【条件及び期限付承認制度の導入】

(2) 均質でない再生医療等製品については、有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別に早期に承認できる仕組みを導入する。

その場合、承認後に有効性・安全性を改めて検証する。

※ 条件及び期限については、販売先を専門的な医師や設備を有する医療機関等に限定する条件や、原則として7年を超えない範囲内の期限を想定。

また、承認を受けた者は、期限内に使用成績に関する資料等を添付して、再度承認申請を行うことが必要。

薬事法等の一部を改正する法律の概要

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度（条件・期限付承認）

【従来の承認までの道筋】

＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

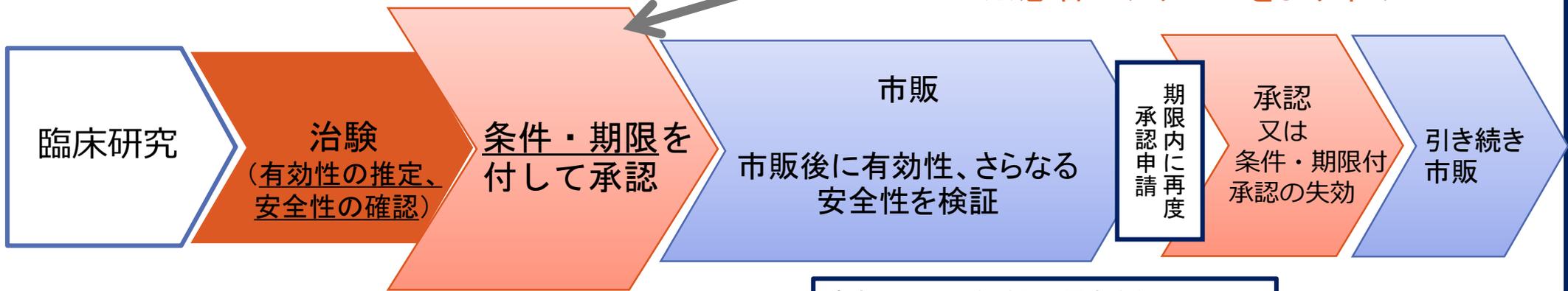
人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。



承認
又は
条件・期限付承認の失効

【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】

※患者のアクセスをより早く！



患者にリスクを説明し同意を得、市販後の安全対策を講じる。

- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

臨床研究をめぐる動き

臨床研究・治験活性化5か年計画2012

平成24年 3月30日 文部科学省・厚生労働省

平成24年10月15日 アクションプラン策定

臨床研究・治験活性化5か年計画2012の目標

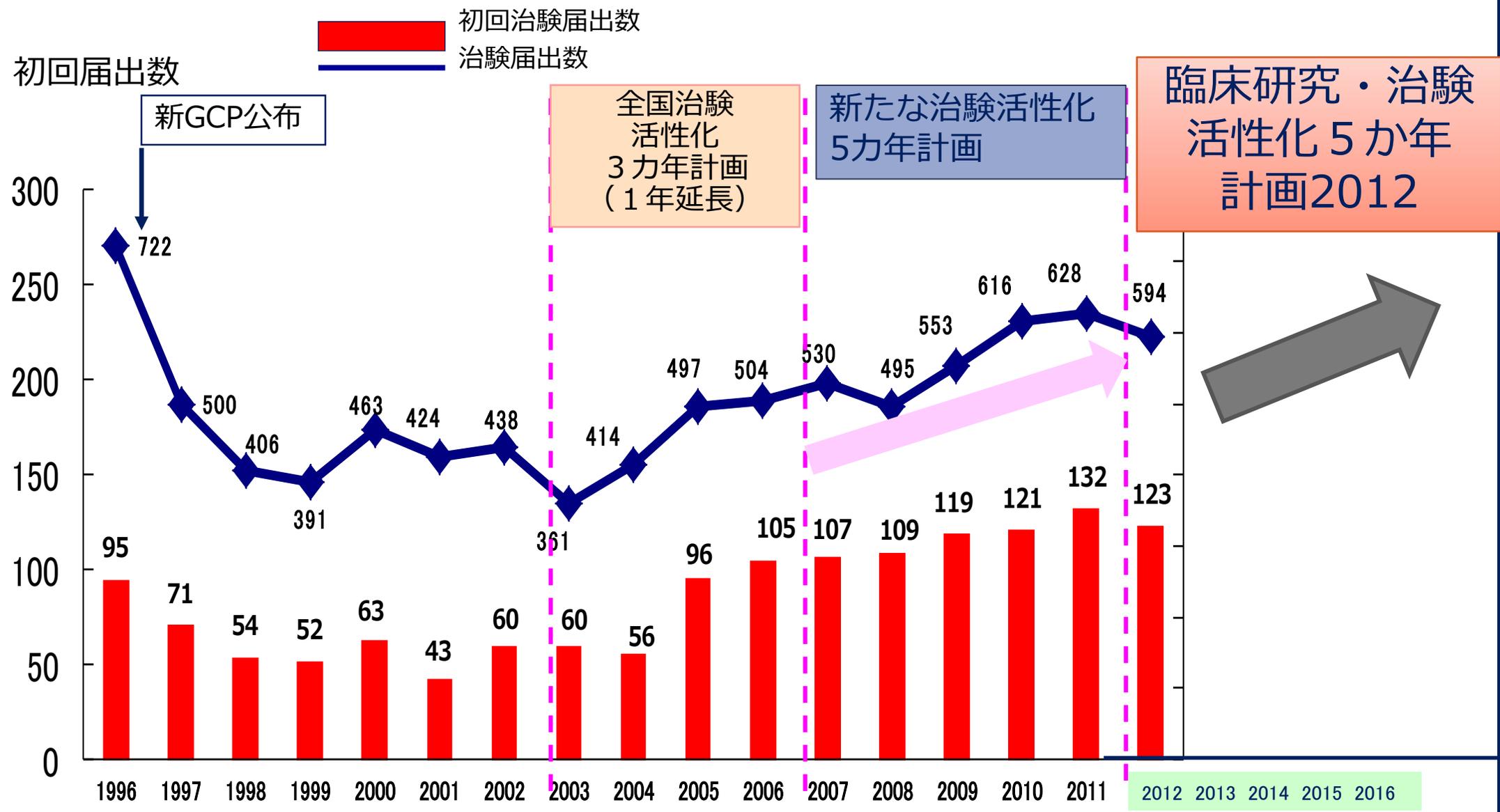
1. 日本の国民に医療上必要な医薬品、医療機器を迅速に届ける
2. 日本発のシーズによるイノベーションの進展、実用化につなげる
3. 市販後医薬品等の組み合わせにより、最適な治療法等を見出すためのエビデンスの構築を進める



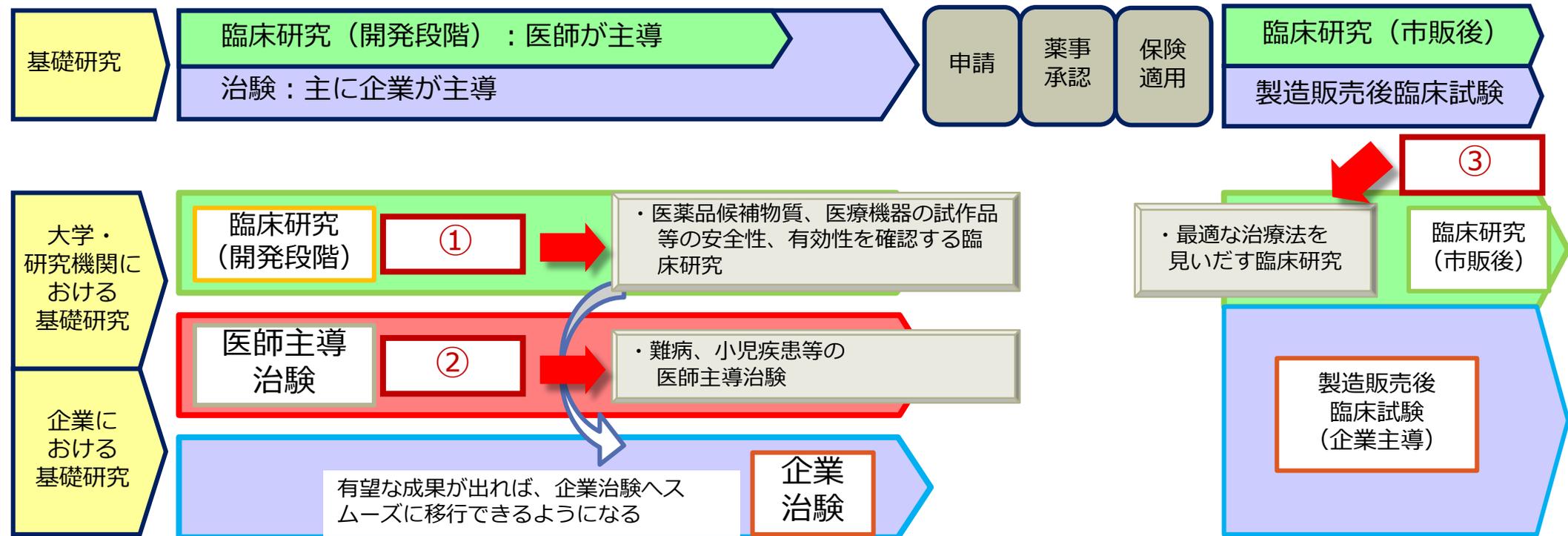
日本の医療水準の向上

日本発のイノベーションを世界に発信

これまでの治験活性化計画と治験届出数の推移（医薬品）



日本における臨床研究の課題



課題

- ① 基礎研究で得られた医薬品候補物質、医療機器等について臨床研究を行い、安全性、有効性を確認する段階
臨床研究の質が薬事承認申請データとして利用可能な水準を満たしていない。
- ② 患者数の少ない難病・小児等の領域で、医師主導治験によりエビデンスを創出する段階
難病など、医薬品等の開発には医師主導治験が必要とされる領域で、医師主導治験が実施できていない。
- ③ 市販後に、既存薬の組合せ等により最適な治療法を見いだす臨床研究を実施する段階
臨床研究支援体制が不十分で市販されている医薬品・医療機器の効果を最適化する臨床研究が実施できていない。

臨床研究・治験の現状・課題

- 日本は基礎研究のレベルは高いが、**応用研究、臨床研究などの基盤が脆弱**で、基礎研究の成果が**医薬品の実用化に結びついていない**。
- 難病など患者数が少なく企業が開発し難い病気の治験を実施できていない。
- 新しい医薬品・医療機器などの**質の高い臨床研究を国内で実施できる施設が少ない**。
- 病院の規模が小さく、大規模な臨床研究・治験を実施しづらい。

【論文数の国際比較】

| 基礎研究 | | 海外の一流誌 3誌の合計(※1) |
|------|----------|---------------------|
| 1 | 米 | 2,011 |
| 2 | 独 | 386 |
| 3 | 英 | 284 |
| 4 | 日 | 266 |

| 臨床研究 | | 海外の一流誌 3誌の合計(※2) |
|------|----------|---------------------|
| 1 | 米 | 2,105 |
| 2 | 英 | 685 |
| 3 | カナダ | 435 |
| 16 | 中国 | 97 |
| 25 | 日 | 55 |

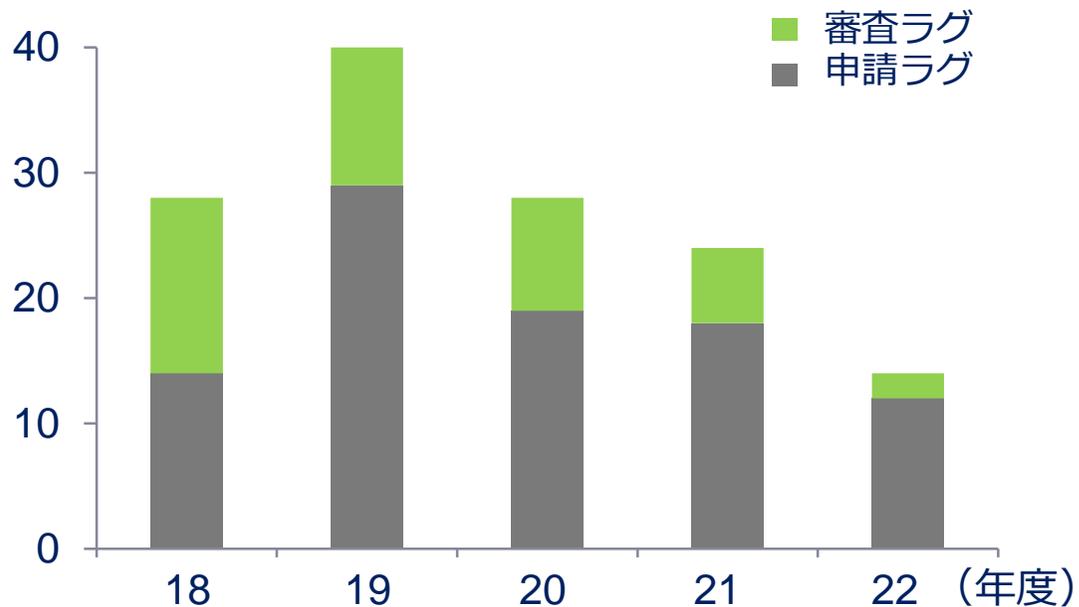
※1 Nature Medicine (米)、Cell (米)、Journal of Experimental Medicine (米)

※2 New England Journal of Medicine (米)、Lancet (英)、JAMA (米)

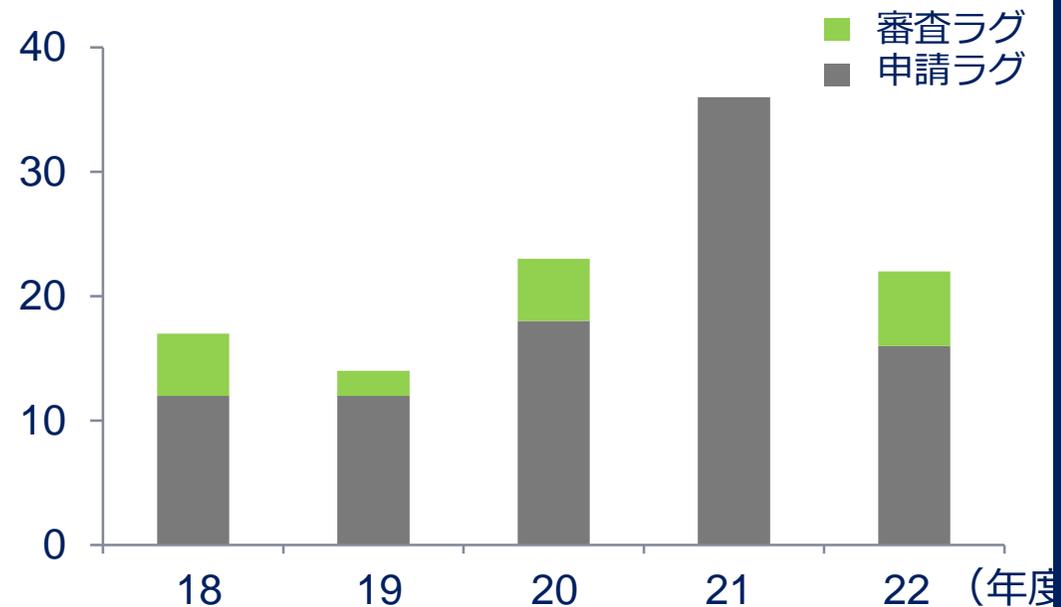
依然としてドラッグ・ラグ、デバイス・ラグがある。



<ドラッグ・ラグ>



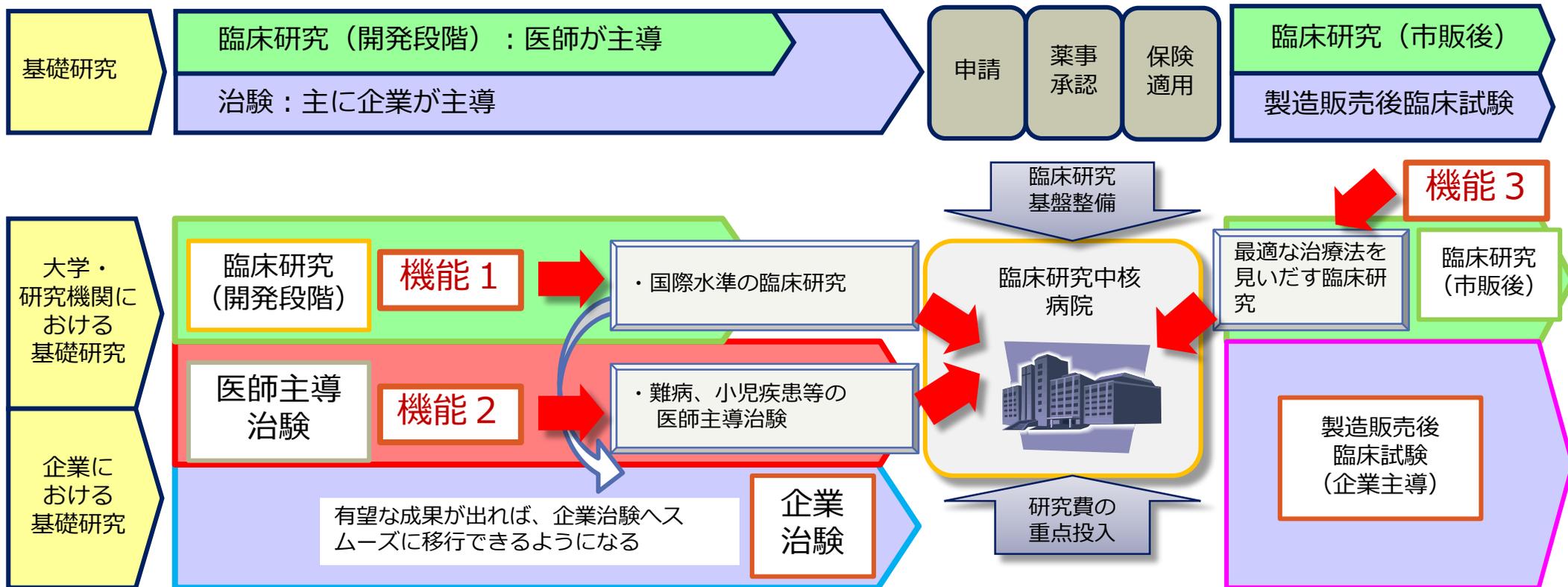
<デバイス・ラグ>



国際水準で臨床研究を実施する「臨床研究中核病院」を整備する必要性

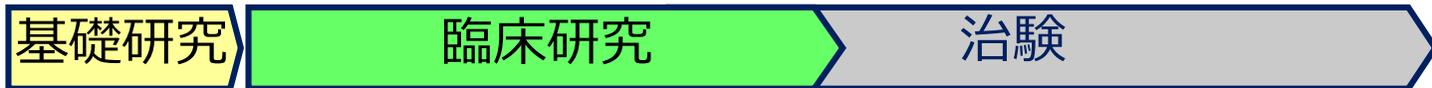
日本における臨床研究の課題を解決するため、重点疾患領域において、以下の機能を有する「臨床研究中核病院」の整備を進めるべきではないか。

- 機能 1** 大学等発の医薬品候補物質等を用いた**国際水準（ICH-GCP準拠）の臨床研究**を実施できる。
- 機能 2** 患者数の少ない難病・小児等の**医師主導治験**を実施できる。
- 機能 3** 市販後に既存薬の組合せ等により**最適な治療法を見いだす臨床研究**を実施できる



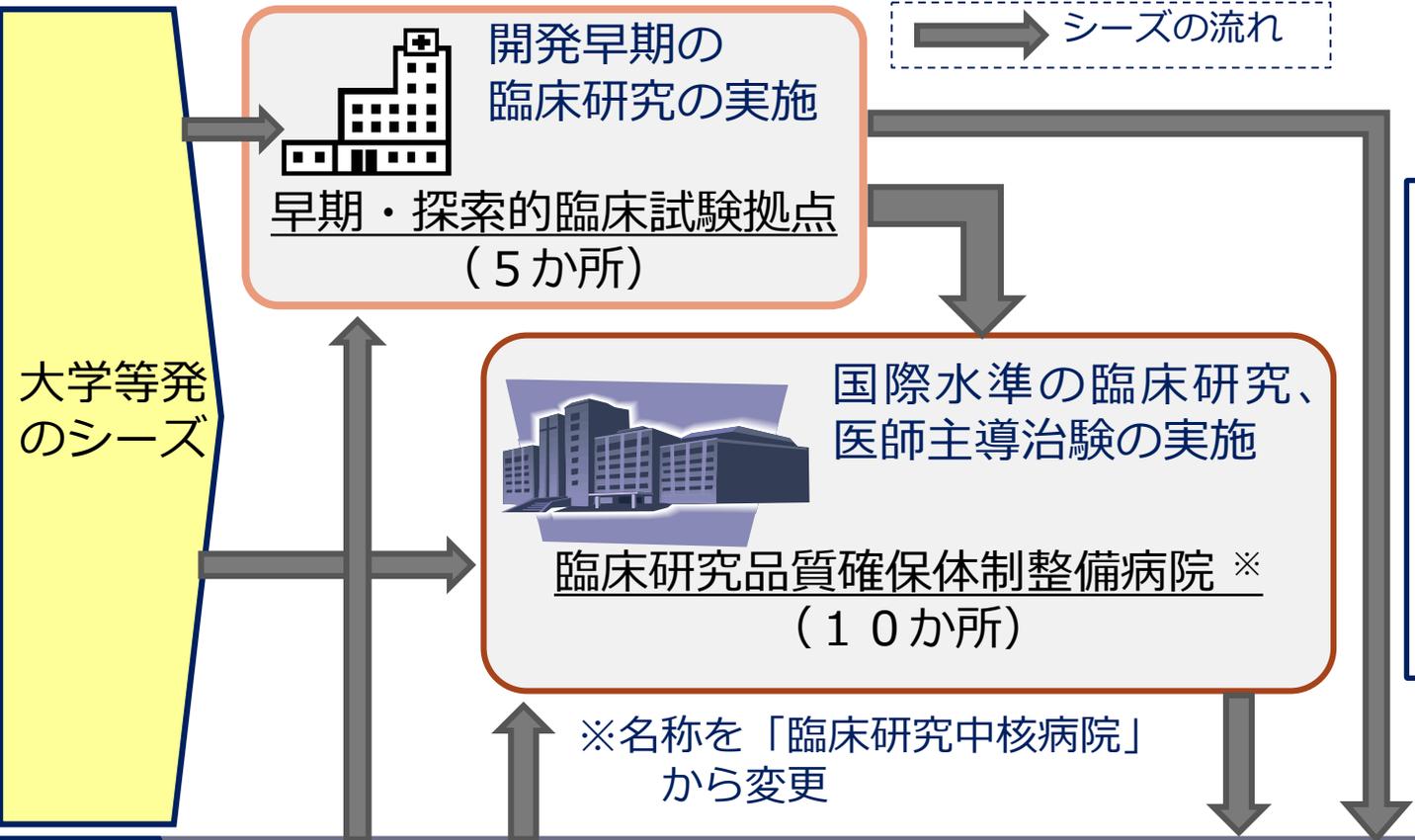
臨床研究中核病院

予算事業による臨床研究・治験の環境整備 (平成23年度～)



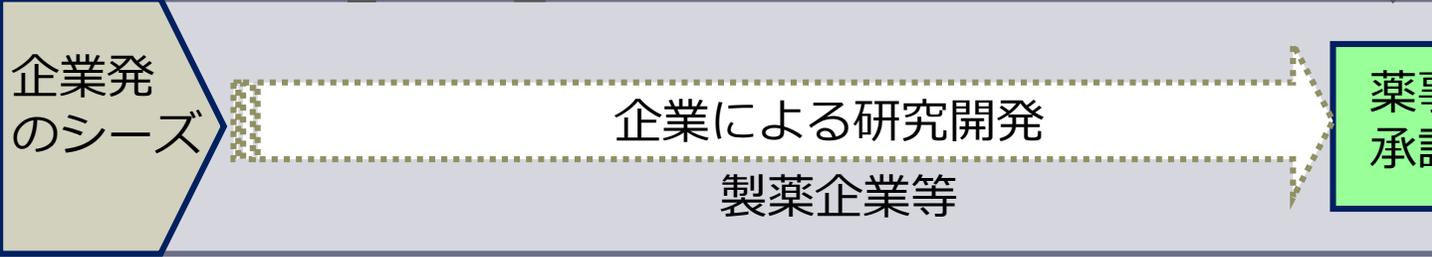
| | |
|--------------|--------|
| 早期・探索的臨床試験拠点 | |
| 整備費：26年度予算 | 10.2億円 |
| 25年度補正予算 | 3.7億円 |
| 科研費：26年度予算 | 6.3億円 |

| | |
|----------------|--------|
| 臨床研究品質確保体制整備病院 | |
| 整備費：26年度予算 | 25.2億円 |
| 25年度補正予算 | 10.4億円 |
| 科研費：26年度予算 | 8.0億円 |



大学や企業等のシーズを用いた質の高い臨床研究や医師主導治験を実施し、我が国における革新的な医薬品・医療機器等の実用化を加速するため、必要な専門的人材や設備などの環境を予算事業により整備

※名称を「臨床研究中核病院」から変更



革新的医薬品・医療機器等の実用化

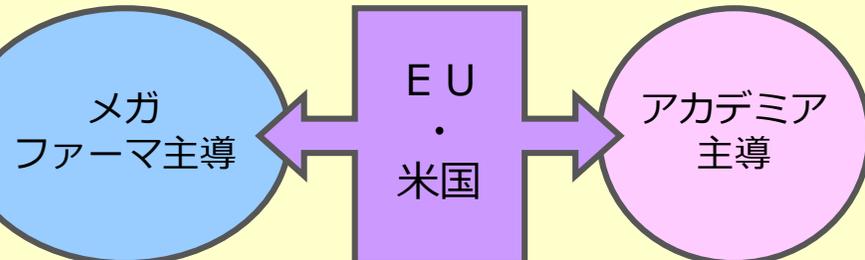
日本主導型グローバル臨床研究拠点 (平成24年度～)

26年度予算 3億円

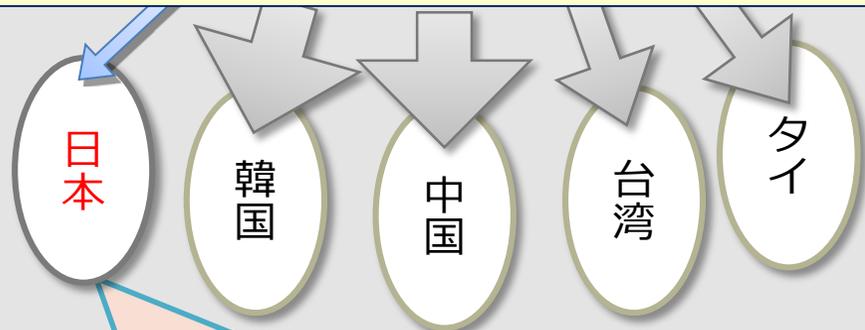
現在のグローバル臨床研究

→ 欧米のニーズに応じた疾患が中心

グローバル臨床試験のプロトコール



欧米が企画・立案した研究の受託

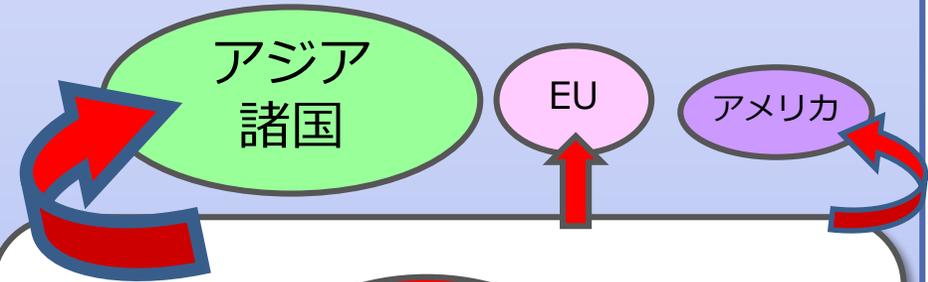


グローバル臨床研究を実施しているが、他国 (EU・アメリカ) 主導の研究の窓口的な役割が中心

欧米のニーズに応じた疾患から、日本・アジア特有の疾患※へ

今後のグローバル臨床研究

→ 日本・アジアに特有な疾患のエビデンス確立へ



グローバル臨床研究における
日本のリーダーシップ
～ メンバーからリーダーへ ～

【日本主導型グローバル臨床研究体制の整備】

国内外の研究機関との
連絡・調整

戦略的
プロトコールの
企画と立案の支援

予算事業による臨床研究拠点

早期・探索的臨床試験拠点（5か所）

* ヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床研究を世界に先駆けて行う拠点

- 国立がん研究センター
- 大阪大学医学部附属病院
- 国立循環器病研究センター

- 東京大学医学部附属病院
- 慶應義塾大学病院

（平成23年7月採択）

臨床研究品質確保体制整備病院（10か所）

* 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拠点

- 北海道大学病院 （平成24年度選定施設）
- 千葉大学医学部附属病院
- 名古屋大学医学部附属病院
- 京都大学医学部附属病院
- 九州大学病院

（平成24年5月採択）

- 東北大学病院 （平成25年度選定施設）
- 群馬大学医学部附属病院
- 国立成育医療研究センター
- 国立病院機構 名古屋医療センター
- 岡山大学病院

（平成25年4月採択）

日本主導型グローバル臨床研究拠点（2か所）

* 日本主導の国際共同臨床研究を実施するために必要な支援を行う拠点

- 先端医療振興財団

- 北里大学病院 （平成24年6月採択）

医療法に基づく臨床研究中核病院

日本発の革新的医薬品・医療機器等の開発を推進するため、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院を「臨床研究中核病院」として医療法上に位置づけ（平成27年4月施行）

医療法に基づく臨床研究中核病院になることで期待されること

- ①臨床研究・治験に参加したい被験者が集まり、症例が集積される
- ②臨床研究・治験を実施するための優れた研究者等の人材が集まってくる
- ③他の施設からの相談や研究の依頼が集まってくる



医療法に基づく臨床研究中核病院の承認要件に関する検討会

目的

臨床研究中核病院として厚生労働大臣の承認を受けるための具体的な基準等の検討を目的とし、医政局長の私的諮問機関として、本検討会を開催。

(※) 「地域における医療及び介護の総合的な確保を推進するための関係法律の整備等に関する法律」(平成26年法律第86号)において、日本発の革新的医薬品・医療機器の開発等に必要となる質の高い臨床研究を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的な役割を担う医療機関として、臨床研究中核病院が法律上位置づけられた。

主な検討事項

医療法に基づく臨床研究中核病院の承認要件について、下記の視点から検討する。

- 特定臨床研究(厚生労働省令で定める基準に従って行う臨床研究をいう。以下同じ。)に関する計画を立案し、実施する能力を有すること
- 他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を行う場合にあっては、特定臨床研究の実施の主導的な役割を果たす能力を有すること
- 他の病院又は診療所に対し、特定臨床研究の実施に関する相談に応じ、必要な情報の提供、助言その他の援助を行う能力を有すること
- 特定臨床研究に関する研修を行う能力を有すること 他

開催実績・スケジュール

第1回(平成26年9月12日)

- ・ 法制化の経緯について
- ・ 今後の検討の進め方について

第2回～第4回(平成26年10月～11月開催)

- ・ 承認要件に関する検討
- ・ 取りまとめに向けた議論

⇒本検討会の取りまとめを受け、パブリックコメント等の所要の手続きを経て、平成27年4月に臨床研究中核病院の承認要件に関する省令を施行予定。

委員

| | | |
|--------------|--------------|--|
| あおたに 青谷 | えりこ 恵利子 | 学校法人北里研究所 北里大学臨床研究機構 臨床試験コーディネーティング部 部長 |
| いずみ 和泉 | けいしろう 啓司郎 | (独) 国立国際医療センター病院 薬剤部長 |
| おおつ 大津 | あつし 敦 | (独) 国立がん研究センター 早期・探索臨床研究センター長 |
| くすおか 楠岡 | ひでお 英雄 | (独) 国立病院機構大阪医療センター 院長 |
| こんどう 近藤 | たつや 達也 | (独) 医薬品医療機器総合機構 理事長 |
| しもせがわ 下瀬川 | とおる 徹 | 東北大学病院 病院長 |
| なかがわ 中川 | としお 俊男 | 公益社団法人日本医師会 副会長 |
| なかにし 中西 | よういち 洋一 | 九州大学病院 ARO次世代医療センター長 |
| はしもと 橋本 | ひろあき 宗明 | 日経ドラッグインフォメーション 編集長 |
| はない 花井 | じゅうご 十伍 | 全国薬害被害者団体連絡協議会 代表世話人 大阪HIV薬害訴訟原告団代表 |

(敬称略)

○：座長

臨床研究中核病院の承認要件について

医療法第四条の三に規定されている臨床研究中核病院の承認要件について、「能力」、「施設」、「人員」の観点から検討。

| 能力要件 (四条の三第一項第一号～第四号,第十号) | | | 施設要件 (四条の三第一項第五号、 六号、八号、九号) | 人員要件 (四条の三第一項第七号) |
|--|--|--|--|---|
| 実施体制 | 実績 (別紙参照) | (参考) 法律上の規定 | | |
| <ul style="list-style-type: none"> ○不適正事案の防止等のための管理体制の整備 <ul style="list-style-type: none"> ・病院管理者の権限及び責任を明記した規程等の整備 ・病院管理者を補佐するための会議体の設置 ・取組状況を監査する委員会の設置 * 上記の他、申請時に過去の不適正事案の調査、再発防止策の策定等の義務づけ。 ○以下の体制について担当部門・責任者の設置、手順書の整備等を規定 <ul style="list-style-type: none"> ・臨床研究支援体制 ・データ管理体制 ・安全管理体制 ・倫理審査体制 ・利益相反管理体制 ・知的財産管理・技術移転体制 ・国民への普及・啓発及び研究対象者への相談体制 | <ul style="list-style-type: none"> ○自ら行う特定臨床研究の実施件数 ○論文数 | I 特定臨床研究に関する計画を立案し実施する能力 | <ul style="list-style-type: none"> ○診療科 ・10以上 ○病床数 ・400以上 ○技術能力について外部評価を受けた臨床検査室 <p>※特定機能病院の要件を参考に設定。</p> | <ul style="list-style-type: none"> ○臨床研究支援・管理部門に所属する人員数 <ul style="list-style-type: none"> ・医師・歯科医師 5人 ・薬剤師 10人 ・看護師 15人 ・臨床研究コーディネーター 12人 ・データマネージャー 3人 ・生物統計家 2人 ・薬事承認審査機関経験者 1人 <p>※平成23年度に選定された5拠点の整備状況を参考に設定。</p> |
| | ○主導する多施設共同の特定臨床研究の実施件数 | II 他の医療機関と共同して特定臨床研究を行う場合に主導的な役割を果たす能力 | | |
| | ○他の医療機関が行う特定臨床研究に対する支援件数 | III 他の医療機関が行う特定臨床研究の援助を行う能力 | | |
| | ○特定臨床研究を行う者等への研修会の開催件数 | IV 特定臨床研究に関する研修を行う能力 | | |

特定臨床研究の実績要件について

1. 特定臨床研究を実施する能力（Ⅰ、Ⅱ）に関する基準値

- 特定臨床研究の実施件数は、基本的に医師主導治験について、①自ら実施した件数、②多施設共同研究を主導した新規件数について設定。併せて関連する論文数も設定。
- 基準値は「健康・医療戦略」の達成目標との整合を図りつつ、平成23年度に選定された5拠点の実績を参考に設定。

※ただし、特定疾病領域（医療上の必要性が高いものの企業による開発が進まない、難病・希少疾病、小児疾患、新興・再興感染症）を中心に行う病院については、要件を緩和。

| 特定臨床研究の新規実施件数(過去3年間) | | 特定臨床研究に関する論文数 (過去3年間) |
|---|---------------------------------------|--------------------------|
| ①自ら実施した件数 (括弧内は特定疾病領域の場合) | ②多施設共同研究を主導した件数 (括弧内は特定疾病領域の場合) | (括弧内は特定疾病領域の場合) |
| 医師主導治験が4件(2件) 又は 臨床研究*が80件(40件) (ただし医師主導治験を1件以上実施) | 医師主導治験が2件(1件) 又は 臨床研究*が30件(15件) | 45件 (22件) |
| *医薬品・医療機器等を用い、介入・侵襲を伴うものに限る。 | *医薬品・医療機器等を用い、介入・侵襲を伴うものに限る。 | |

2. 特定臨床研究を援助する能力（Ⅲ）・研修を行う能力（Ⅳ）に関する基準値

- 基準値は平成23年度に選定された5拠点の実績を参考に設定。

- ・ 他の医療機関が行う特定臨床研究に対する援助の件数 15件(過去1年間)
- ・ 特定臨床研究を実施する者を対象とする研修会の開催件数 6件(過去1年間)
- ・ 特定臨床研究を支援する者を対象とする研修会の開催件数 6件(過去1年間) 等

臨床研究に関する倫理指針

臨床研究と治験の枠組み（イメージ）



学術目的

医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施されるヒトを対象とする研究

○介入研究 ○観察研究 に分類される。

臨床研究に関する倫理指針等を遵守

被験者保護を重視する観点から研究者等が遵守すべき事項を規定。データの信頼性保証に関する規定がGCPほど厳格ではない。

薬機法の承認取得目的

医薬品・医療機器の開発のために薬機法の承認申請の際に提出すべき資料の収集を目的として実施される試験のうちヒトを対象とする研究

薬機法、GCP省令を遵守

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あり。

臨床研究に関する様々な指針

医薬品・医療機器の承認申請を
目的としているか?

No

Yes

治験以外の臨床研究

治験※

右記指針及び他
法令の適用範囲
でない
臨床研究

疫学研究

遺伝子解析
研究

遺伝子
治療研究
(*in vivo*)

遺伝子
治療研究
(*ex vivo*)

再生医療等
研究

※
医師が実施する
ことも可能

人を対象とする医学系研究に関する倫理指針
(統合指針)

ヒトゲノム・
遺伝子解析
研究に
関する
倫理指針

遺伝子治療
臨床研究に
関する指針

再生医療等
安全性確保法

薬機法

医薬品GCP
医療機器GCP

告示

法令

「疫学研究に関する倫理指針」及び 「臨床研究に関する倫理指針」の統合

疫学研究に関する倫理指針
(以下「疫学指針」)

平成14年施行(平成19年全部改正)
(文部科学省・厚生労働省告示)

臨床研究に関する倫理指針
(以下「臨床指針」)

平成15年施行(平成20年全部改正)
(厚生労働省告示)

人を対象とする
医学系研究に関する
倫理指針
(以下「統合指針」)

平成25年2月～
「疫学研究に関する倫理指針及び臨床研究
に関する倫理指針の見直しに係る合同委員
会」(文部科学省・厚生労働省合同委員
会)において検討
平成27年4月 施行

指針統合の背景

どちらの指針を適用するか分かりにくいという現場の声



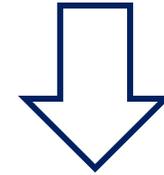
臨床指針の改正報告において
両指針統合の検討要請
(平成20年7月)



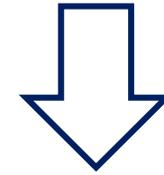
厚生科学審議会科学技術部会において
両指針合同見直しの要請 (平成24年
10月)



疫学指針及び臨床指針の見直しに係る合同委員会 (平成25年2月～)



「臨床研究・治験活性化5カ年計画
2012」で両指針関係性見直しの要請
(平成24年3月)



高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会報告書 (平成26年4月) により、臨床研究不正への対応を求められる。

教育・研修

| | 疫学指針 | 臨床指針 | 統合指針（案） |
|-----------------|-----------------------------|--------------------|------------------------------|
| 研究者等 | 記載なし | 研究に先立ち 教育・研修を受講 | 研究に先立ち、継続して 教育・研修を受講 |
| 研究機関の長 | 【指導者の責務】 学生等に対し指導・ 監督 | 教育・研修を受講の 確保 | ・教育・研修の受講確保 ・自らも教育・研修を受講 |
| 倫理審査委員会 委員等 | 記載なし | 記載なし | 審査等業務に先立ち、適宜継 続して教育・研修を受講 |
| 倫理審査委員会 の設置者 | 記載なし | 教育・研修の受講確 保に努める | 教育・研修の受講確保 |

倫理審査委員会の要件

| | 疫学指針 | 臨床指針 | 統合指針(案) |
|----------|--|--|--|
| 設置要件 | 研究機関内 | <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究機関の長 一般社団法人又は一般財団法人 医療関係者により構成された学術団体 等 | <ul style="list-style-type: none"> 事務を的確に行う能力 継続的な運営能力 中立的かつ公正な運営能力 |
| 委員構成 | <ul style="list-style-type: none"> 自然科学の有識者 人文・社会科学の有識者 一般の立場を代表する者 外部委員 男女両性 | <ul style="list-style-type: none"> 自然科学の有識者 人文・社会科学の有識者 一般の立場を代表する者 外部委員 男女両性 | <ul style="list-style-type: none"> ①自然科学の有識者 ②人文・社会科学の有識者 ③一般の立場を代表する者 ④外部委員 ⑤男女両性 ⑥5名以上 ※①～③は重複不可 ※必要に応じて追加 |
| 審議又は採決要件 | 記載なし | 人文・社会科学の有識者又は一般の立場を代表する有識者が1名以上出席 | <ul style="list-style-type: none"> 構成①～⑥と同様とする 原則全会一致 |

倫理審査委員会の審査

| | 疫学指針 | 臨床指針 | 統合指針（案） |
|------|---|------|--|
| 迅速審査 | <ul style="list-style-type: none">研究計画の軽微な変更共同研究であって、主たる研究機関で倫理審査委員会の承認を受けているもの研究対象者に対して最小限の危険を超える危険を含まない研究計画 | | <ul style="list-style-type: none">共同研究であって全体の審査を既に受けているもの研究計画書の軽微な変更侵襲及び介入を伴わない研究軽微な侵襲を伴う研究であって、介入を行わないもの |
| 付議不要 | <ul style="list-style-type: none">以下の要件を全て満たす<ul style="list-style-type: none">ア 個人情報を取り扱わないイ 人体採取試料を用いないウ 観察研究であり人体への負荷又は介入を伴わないエ 専ら集計、単純な統計処理等データの集積又は統計処理のみの受託 | | <付議不要を削除> |

研究の信頼性の確保（1）

○利益相反の管理

| | |
|-------|---|
| 研究者等 | ●自らの利益相反について適切に対応。研究計画書に記載された利益相反の状況を、インフォームド・コンセントにおいて研究対象者等に説明。 |
| 研究責任者 | ●商業活動に関連し得る研究を実施する場合には、当該研究に係る利益相反に関する状況を把握し、 研究計画書に記載 |

○モニタリング及び監査

【対象とする研究】 侵襲（軽微な侵襲を除く。）を伴う研究であって介入を伴うもの

| | |
|--------|--|
| 研究責任者 | ●研究計画書に定めるところにより、 モニタリング及び監査を実施 |
| 研究機関の長 | ●研究に関する情報等の閲覧その他 モニタリング及び監査の実施に協力 |

※ 監査は必要に応じて実施。

研究の信頼性の確保（2）

○研究に係る試料及び情報等の保管

| | |
|--------|--|
| 研究者等 | ● 研究に用いられる情報等を正確に作成 |
| 研究責任者 | ● 研究計画書 に研究に関する試料・情報等の保管方法について記載 ● 試料・情報等の保管状況について、 研究機関の長 へ報告 |
| 研究機関の長 | ● 試料・情報等の 保管に関する手順書 を作成の上、 必要な体制を整備し 、適切に管理 ● 研究に係る情報等を 可能な限り長期間保存 するよう努め、侵襲（軽微な侵襲を除く。）を伴う研究であって介入を伴うものについては、以下の図のとおり保管 ● 試料・情報等を廃棄する際は、匿名化 |



臨床研究の法制化

臨床研究に係る制度の在り方に関する検討会

目的

我が国の臨床研究の信頼を早急に回復するため、法制度を含めた臨床研究に係る制度の在り方についての検討を目的とし、医政局長の私的諮問機関として、本検討会を開催。

(※) ノバルティスファーマ株式会社が販売する降圧剤バルサルタンに係る臨床研究事案に関し、再発防止策等の検討を行っている「高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会」の報告書において、国は、平成26年秋を目途に、臨床研究の信頼回復のための法制度に係る検討を進めるべき、とされている

主な検討事項

臨床研究に係る次の事項について、臨床研究の信頼回復のための具体的方策及び法制度の必要性について検討・提言する。

- ① 臨床研究の質の確保
- ② 被験者の保護
- ③ 製薬企業等の資金提供・労務提供にあたっての透明性の確保及び臨床研究の実施機関における利益相反管理 他

開催実績

- 第1回 (平成26年4月17日)
【議題】臨床研究を取り巻く状況と対応について/今後の検討の進め方について
- 第2回 (平成26年5月16日)
【議題】臨床研究に係る取り組みと現状について/有識者等からのヒアリング (日本製薬工業協会・日本学術会議等)
- 第3回 (平成26年6月25日)
【議題】有識者等からのヒアリング (日本医学会等) /論点整理に向けた議論
- 第4回 (平成26年7月23日)
【議題】有識者等からのヒアリング(東北大学病院・医機連)/論点整理に向けた議論
- 第5回 (平成26年8月27日)
【議題】有識者からのヒアリング(海外制度の研究者)/論点整理に向けた議論
- 第6回 (平成26年10月1日)
【議題】有識者等からのヒアリング (日本製薬工業協会) /論点整理に向けた議論
- 第7回 (平成26年10月22日)
【議題】医療用医薬品の広告の在り方の見直しに関する検討状況について/臨床研究に係る制度の見直しの方向性について
- 第8回 (平成26年11月6日) / 第9回 (平成26年11月26日)
【議題】臨床研究に係る制度の在り方についての議論

委員

- えんどう ひさお 遠藤 久夫 学習院大学経済学部 教授
- きりの たかあき 桐野 高明 独立行政法人国立病院機構 理事長
- くすおか ひでお 楠岡 英雄 独立行政法人国立病院機構大阪医療センター 院長
- こだま やすし 児玉 安司 新星総合法律事務所 弁護士・医師
- こんどう たつや 近藤 達也 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 理事長
- だいもん たかし 大門 貴志 兵庫医科大学医学部 准教授
- むとう かおり 武藤 香織 東京大学医科学研究所 教授
- むとう ていいちろう 武藤 徹一郎 公益財団法人がん研究会
メディカルディレクター・名誉院長
- もちつき まさたか 望月 正隆 東京理科大学薬学部 教授
- やまぐち いくこ 山口 育子 NPO法人 ささえあい医療人権センター
COML理事長
- やまもと りゅうじ 山本 隆司 東京大学法学政治学研究科 教授 (敬称略)

○：座長

報告書取りまとめ

○ 平成26年12月11日 報告書公表

日本と欧米の法的規制の現状（規制の対象範囲）

- 治験については各国とも法的規制があるが、臨床研究については規制の対象範囲が異なる。
- 日本では、臨床研究については法的規制が存在しない。

| | | | 日本※1 | 米国※2 | 欧州※3 |
|------|-------------|-----|------|------|------|
| 治験 | 医薬品 | | ○ | ○ | ○ |
| | 機器 | | ○ | ○ | ○ |
| 臨床研究 | 未承認 適応外 | 医薬品 | × | ○ | ○ |
| | | 機器 | × | ○ | ○ |
| | 承認あり 適応内 | 医薬品 | × | × | ○ |
| | | 機器 | × | × | ○ |
| | 手術・手技 | | × | × | × |

※1 日本は、臨床研究については倫理指針で対応。

※2 米国は、公的研究費の対象となる研究については別途法規制が存在する。広告に用いられるものも対象としている。

※3 欧州は、機器を用いた臨床研究については、医薬品よりも規制事項が少ない等の差がある。

日本と欧米の法的規制の現状（規制内容）

○ 各国の規制の内容についてはおおむね共通している。

| 対象範囲 | | 日本 | | 米国 | | 欧州 | | |
|------|-------------|---------------|------|----|--------|----|------|--|
| | | 治験 | 臨床研究 | 治験 | 臨床研究※1 | 治験 | 臨床研究 | |
| 規制内容 | 倫理審査委員会の審査 | ○ | × | ○ | | ○ | | |
| | 当局への届出 | ○ | × | ○ | | ○ | | |
| | 研究の実施基準 | モニタリング | ○ | × | ○ | | ○※2 | |
| | | 記録の保存 | ○ | × | ○ | | ○ | |
| | | インフォームド・コンセント | ○ | × | ○ | | ○ | |
| | | 個人情報の保護 | ○ | × | ○ | | ○ | |
| | 副作用等の報告 | ○ | × | ○ | | ○ | | |
| | 製薬企業等の透明性確保 | × | × | ○ | | × | ※3 | |

※1 公的研究費の対象となる研究については別途法的規制が存在する。

※2 医療機器は対象外。

※3 フランス等、一部の国には法的規制が存在する。

日本と欧米の法的規制の現状（資金提供の公開）

○ 製薬企業から医療機関等への資金提供の公開のルールについて、米国は法的規制、日本とEUは業界による自主規制となっている。

| | 日本 | 米国 | 欧州 |
|------|---|---|--|
| 法規制 | × (業界による自主規制で対応) | ○ ^{※1} | × ^{※2} (業界による自主規制で対応) |
| 規定 | 企業活動と医療機関の 関係の透明性ガイドライン | 米国医療保険改革法 (サンシャイン・アクト) | 製薬企業から医療関係者、 医療関係団体への対価の移動の 情報開示に関するEFPIAコード |
| 開示内容 | 研究費開発費等 学術研究助成費 現行執筆料等 情報提供関連費 その他(接遇等費用) | 10ドル以上のほぼすべての 対価の移動を公開 (医師名や対価額など、 すべて個別に公開) | 研究開発費 寄附 個人に対する謝礼 (物品提供は禁止) |

※1 米国での開示対象を行う主体は、公的保険でカバーされている医薬品等を製造する製造業者とされている。
 ※2 フランス等、一部の国には法的規制が存在する。

検討会報告書のポイント（1）

1. 法規制の必要性等

- 医薬品・医療機器等開発の国際化を踏まえると、5年後・10年後を見越した制度の検討が必要。
- 不適正事案が判明した場合の調査、再発防止策の策定等の迅速な対応に現状の制度では限界があり、信頼回復のためには倫理指針の遵守だけでは十分とはいえない。
- 他方、過度な規制導入は研究の萎縮をもたらすなどの影響を懸念。自由な研究環境を確保しつつ法規制による研究の萎縮防止のためには、法規制と研究者等の自助努力・法規制以外の対応方策とのバランスが重要。
- これらのことから、我が国においても欧米の規制を参考に一定の範囲の臨床研究に法規制が必要。その際、運用面において研究者に過度な負担を課すことがないよう配慮が必要。

2. 法規制の範囲

- 被験者に対するリスク及び研究結果が医療現場に与える影響等の社会的リスクの双方を勘案した範囲が妥当。
- 対象範囲としては、未承認又は適応外の医薬品・医療機器等を用いた臨床研究、医薬品・医療機器等の広告に用いる予定の臨床研究を対象とすることが求められる。

検討会報告書のポイント (2)

3. 具体的な規制や対策の内容について

(1) 倫理審査委員会

倫理審査委員会が具備すべき委員構成等の要件を設定し、質を確保。

(2) 臨床研究に関する情報の公開等

情報公開は透明性確保、不適正事案への対応等に有効。一方で、知的財産権保護への配慮が必要。

(3) 臨床研究の実施基準

モニタリングの実施、記録の保存等について、**ICH-GCP等を踏まえた基準の策定・遵守が必要**。

(4) 有害事象発生時の対応

予期しない重篤な有害事象の**倫理審査委員会への報告**。保健衛生上の必要性に応じて行政当局が把握。

(5) 行政当局による監視指導及び研究者等へのペナルティー

罰則は、**改善命令に応じないなどの悪質な場合に限定**。

(6) 製薬企業等の透明性確保

業界の取組について、より一層の努力を求め、**製薬企業等の取組状況も踏まえ、法的規制も視野に対応を検討**。

4. その他

○生物統計等の専門家養成、医学生に対する早期の倫理教育等の**臨床研究に係る人材育成が必要**。

○製薬企業や業界団体における広告審査の枠組みづくり、行政機関による監視・指導体制の強化を行うことによって、**医療用医薬品の広告の適正化を図るべき**。

研究開発関連予算

1. 「日本再興戦略」改訂2014 (平成26年6月閣議決定・抜粋)

国民の「健康寿命」の延伸

(医療分野の研究開発の司令塔を創設)

- 医療分野の研究開発の司令塔として健康・医療戦略推進本部及び(独)日本医療研究開発機構を創設する法案成立。
- 医薬品や医療機器などの医療分野の研究開発を各省連携により推進していく体制の構築。

2. 「健康・医療戦略」 (平成26年7月閣議決定・抜粋)

国が行う医療分野の研究開発の環境の整備

- 臨床研究及び治験実施環境の抜本的向上
 - ・ 革新的医療技術創出拠点 (橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院、日本主導型グローバル臨床研究拠点) の総合活用、A R O機能の構築による臨床研究、治験の推進。
 - ・ 国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施できる仕組みの構築。

健康・医療関連2法の成立（平成26年5月23日）

健康・医療戦略推進法

- 「健康・医療戦略」と「医療分野研究開発推進計画」の作成及び実施の推進
- 「医療分野の研究開発関連予算等の資源配分方針」と「日本医療研究開発機構の業務運営の基本方針」の作成

独立行政法人日本医療研究開発機構法

- 予算を集約化し、各府省で行っていた医療分野の研究開発業務を機構が一体的に実行
- 機構は平成27年4月1日に発足

健康・医療戦略（平成26年7月22日に閣議決定）

- 世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあっては、健康長寿社会の形成に向け、**世界最先端の医療技術・サービスの実現による、健康寿命の延伸**が重要な課題。

医療分野の 研究開発



新産業の創出

医療の国際展開

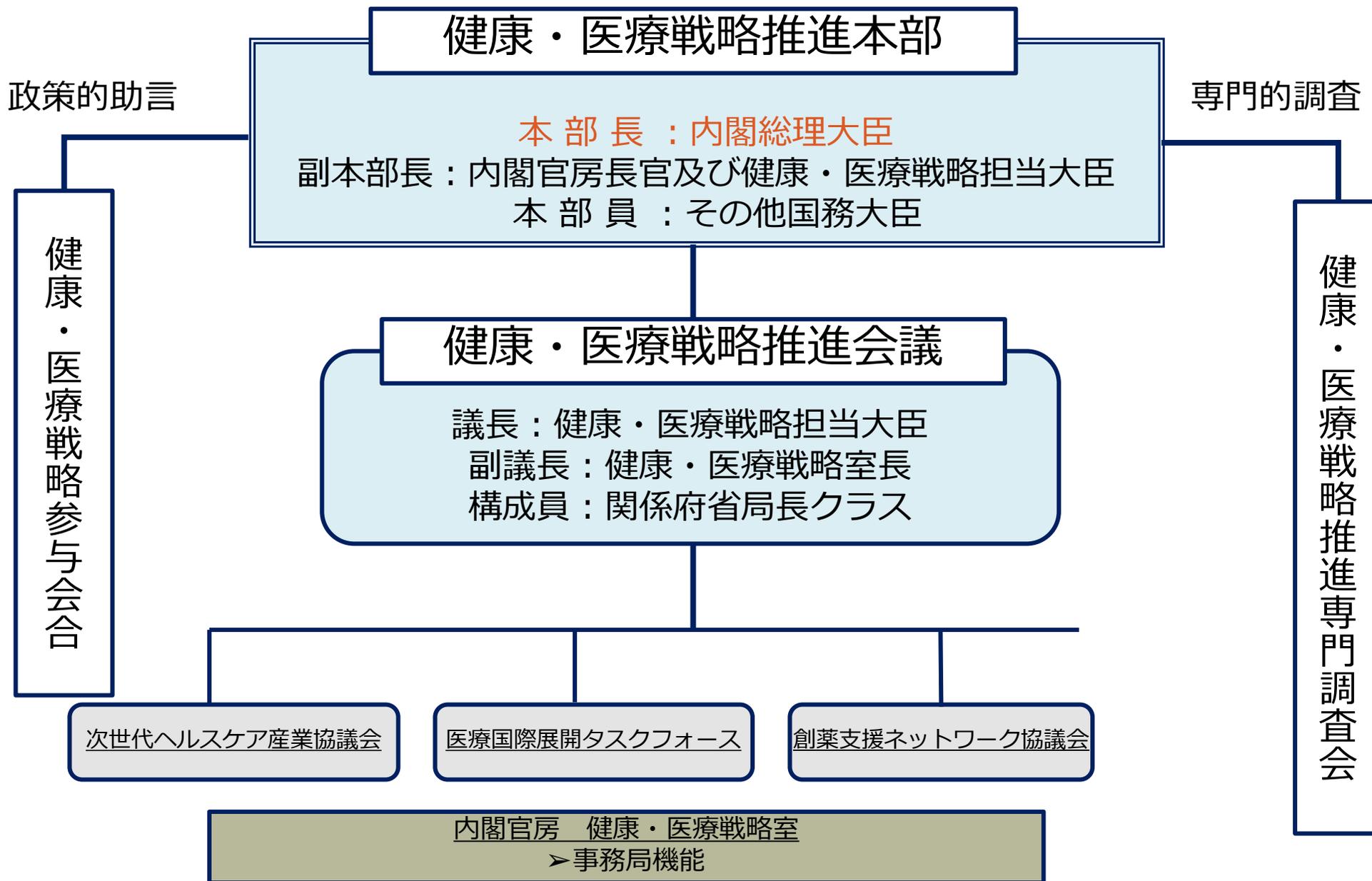
医療のICT化

（再生医療関係抜粋）

2020年までに、

- ・ iPS細胞技術を活用して作製した**新規治療薬の臨床応用**
- ・ 再生医療等製品の**薬事承認数の増加**
- ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件
- ・ 再生医療関係の**周辺機器・装置の実用化**
- ・ iPS細胞技術を応用した**医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言**

健康・医療戦略の推進体制



新たな医療分野の研究開発体制の全体像

健康・医療戦略推進本部

- 医療分野研究開発推進計画を策定
- 医療分野の研究開発の司令塔として総合的な予算要求配分調整を実施
- 調整費の使途を戦略的・重点的な予算配分を行う観点から決定

総合的な予算要求配分調整

医療分野研究開発推進計画等を踏まえて課題を採択

研究者・研究機関に配分される研究費及び当該研究に係るファンディング機能を日本医療研究開発機構に集約し、管理
※ 研究開発の基盤整備に係る予算についても新独法へ集約

◎ 研究者の発意によるボトムアップの基礎研究
科学研究費助成事業 (※)
約650億円(平成25年度)

※ 科学研究費助成事業全体の配分額は約2,100億円

発掘したシーズをシームレスに移行

◎ 国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究
・ 日本医療研究開発機構に約1,200億円を集約化。
この他、調整費(500億円)のうち175億円を活用
・ PD、POによるマネジメント
約1400億円(平成26年度)

研究開発に係る基盤整備

臨床研究
中核病院等

研究を臨床につなげるため、国際水準の質の高い臨床研究・治験の確実な実施

個別の研究費のファンディング



※ 大学、研究所等及び研究者

◎ インハウス研究
国の研究機関
約750億円(平成26年度)

各研究機関への財源措置



※ 国立高度専門医療研究センター(NC)、理化学研究所、産業技術総合研究所、国立感染症研究所等

医療分野研究開発推進計画を踏まえた研究の実施

平成27年度 医療分野の研究開発関連予算のポイント

- 健康・医療戦略推進本部の下で各省が連携し、医療分野の研究開発を政府一体で推進。
健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画の実現を図る。

| | 27年度 | 26年度 | 対前年度 | |
|-------------------------|--------------------------|--------------------------|-------|-------|
| | | | 増▲減額 | 増▲減率 |
| AMED対象経費 | 1,248億円 (文598、厚474、経177) | 1,125億円 (文570、厚476、経169) | 33億円 | 2.7% |
| 【下段：調整費】 | 175億円 | 175億円 | — | — |
| インハウス研究 機関経費 | 723億円 (文211、厚429、経84) | 740億円 (文200、厚455、経85) | ▲16億円 | ▲2.2% |

主な取組

1. 医薬品・医療機器開発への取組

- ①オールジャパンでの医薬品創出 298億円
- ②オールジャパンでの医療機器開発 180億円 (一部再掲)

2. 臨床研究・治験への取組

- 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 133億円

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

- ①再生医療の実現化ハイウェイ構想 148億円
- ②疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト 93億円

4. 疾病領域ごとの取組

- ①ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 193億円 (一部再掲)
- ②脳とこころの健康大国実現プロジェクト 74億円
- ③新興・再興感染症制御プロジェクト 63億円
- ④難病克服プロジェクト 97億円 (一部再掲)

※予算編成過程において、要求・要望内容が変更される可能性があること等に留意

厚生労働科学研究費補助金（再生医療実用化研究事業）

平成27年度概算要求 2,982,142千円（平成26年度 2,982,142千円）

- 再生医療の実用化に向け、ヒト幹細胞の保存方法などの確立、ヒト幹細胞の腫瘍化リスクなどに対する安全性の確保、再生医療及び関連事業の基準設定のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法の探索のための研究を支援。特に臨床研究の早い段階から出口を見据えて企業の協力を得ながらプロトコルを組む研究を支援。
- iPS細胞を利用した創薬等のための研究を支援。

1) 再生医療の実用化に向けた研究の支援

ア. 安全性の確保のための研究

安全性を確保するため、実用化の課題となっている分野（がん化等）に対する研究を支援。



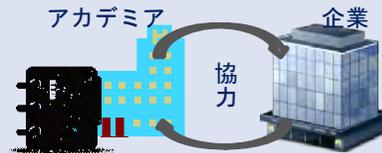
イ. 治療方法の探索のための研究

iPS細胞やヒト幹細胞等を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



ウ. 産学連携のための研究

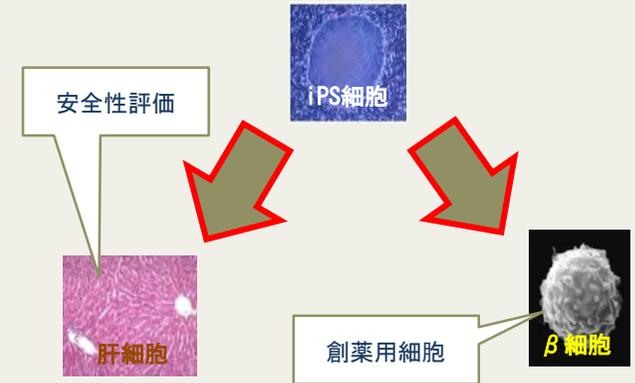
アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくために、アカデミアと企業との共同研究に対して支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

キ. iPS細胞を利用した創薬のための研究

ヒトiPS細胞から種々のヒト細胞に分化・誘導を行い、病因分析、創薬等に用いる細胞の開発のための研究を支援。



基盤的支援

エ. ヒト幹細胞の保管（アーカイブ）のための研究

移植に用いたヒト幹細胞を長期間保管し、移植から時間が経過した後に、移植に用いたヒト幹細胞を溯って調べることを可能にするための研究を支援。



オ. ヒト幹細胞を用いた再生医療の臨床実用化のための基盤構築に関する研究

ヒト幹細胞の臨床応用のために標準的な方法、基準値などを確立するための研究を支援。



カ. 再生医療及び関連事業の基準設定のための研究

治療に用いる細胞の品質等の基準をいち早く定め、再生医療の実用化を促進するための研究を支援。



先進医療制度

保険外併用療養費について

保険診療との併用が認められている療養

- 評価療養・・・保険導入のための評価を行うもの
- 選定療養・・・保険導入を前提としないもの

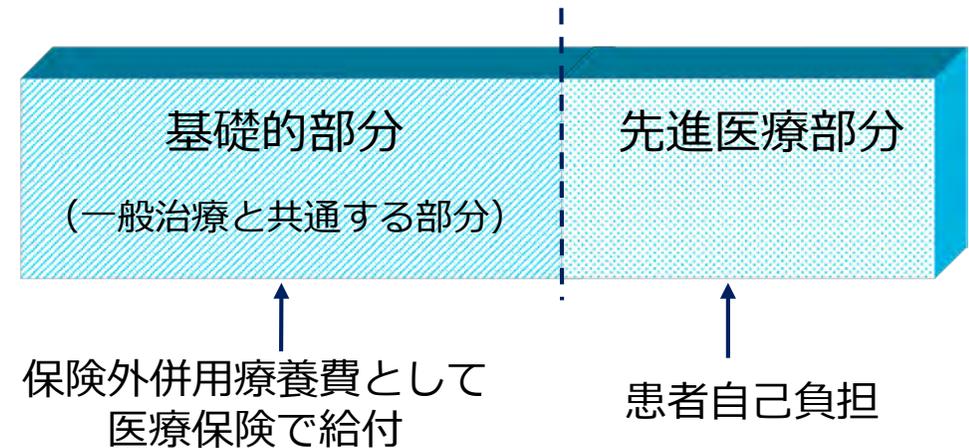
○評価療養（7種類）

- ・ **先進医療**
- ・ 医薬品の治験に係る診療
- ・ 医療機器の治験に係る診療
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医薬品の使用
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医療機器の使用
- ・ 適応外の医薬品の使用（公知申請されたもの）
- ・ 適応外の医療機器の使用（公知申請されたもの）

○選定療養（10種類）

- ・ 特別の療養環境（差額ベッド）
- ・ 歯科の金合金等
- ・ 金属床総義歯
- ・ 予約診療
- ・ 時間外診療
- ・ 大病院の初診
- ・ 小児う触の指導管理
- ・ 大病院の再診
- ・ 180日以上入院
- ・ 制限回数を超える医療行為

保険外併用療養費の仕組み [先進医療の場合]



※ 保険外併用療養費においては、患者から料金徴収する際の要件（料金の掲示等）を明確に定めている。

先進医療の概要

先進医療（告示 厚生労働大臣の定める評価療養及び選定療養）

- 先進医療ごとに別に厚生労働大臣が定める施設基準に適合する病院又は診療所において行われるものに限定

先進医療 A

- 以下の医療技術を取り扱う
 - 1 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術（先進医療 B に掲げるものを除く。）
 - 2 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの
 - （1）未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術
 - （2）未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術
- 先進医療ごとに設定された施設基準に該当する保険医療機関の届出により施行可能

先進医療 B

- 以下の医療技術を取り扱う
 - 3 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術（先進医療 A に掲げるものを除く。）
 - 4 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。
- 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、先進医療技術審査部会にて医療機関が設定した試験計画（予定の試験期間及び症例数、モニタリング体制及び実施方法等）を評価
- 適切に実施できる体制を整えているものとして保険医療機関が厚生労働大臣に個別に認められることにより施行可能

経緯

昭和59年～

高度先進医療

○高度先進的な医療技術を保険と併用可能とすることにより、多様な医療技術をいち早く国民が享受できることを可能に。

平成17年7月～

先進医療

- 手続きの簡素化
- 薬事法の未承認・適応外は対象外

平成16年12月
いわゆる「混合診療」問題に係る基本的合意

101技術

特定承認保険医療機関の廃止

平成20年3月末までに以下の①～③のいずれかを実施することにより継続可とされた。

- ①薬事法上の承認申請
- ②その承認に向けての治験
- ③一定の基準を満たす「臨床的な使用確認試験」

健康保険法等の一部改正に伴う
特定療養費制度の再編成
(「評価療養」と「選定療養」の導入)

平成18年
10月統合

時限的先進医療

「臨床的な使用確認試験」の検討開始

規制改革会議

平成19年12月
「第二次答申」

薬事法上未承認・適応外の医薬品及び医療機器を**含まない**技術

薬事法上未承認・適応外の医薬品及び医療機器を**含む**技術

平成20年4月～

先進医療 (第2項先進医療) 先進医療専門家会議〔保険局〕

高度医療 (第3項先進医療) 高度医療評価会議〔医政局〕

先進医療専門家会議等での問題提起
新成長戦略 (平成22年6月18日閣議決定)
規制・制度改革に係る対処方針 (//)

- ・薬事法上未承認・適応外の医薬品又は医療機器を**含まない**技術
- ・未承認等の体外診断薬等の使用を含む医療技術のうち、人体への影響が極めて小さいもの

- ・薬事法上未承認・適応外の医薬品又は医療機器を**含む**技術
- ・薬事法上未承認・適応外の医薬品又は医療機器を**含まない**技術のうち重点的な観察・評価を要するもの

平成24年10月～

先進医療 A 先進医療会議〔保険局〕

先進医療 B 先進医療技術審査部会〔医政局〕

先進医療 B について

- 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術（先進医療 A となるものを除く。）
- 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

先進医療 B として認められている技術は 48 技術

（平成 27 年 7 月現在）

現 状

入院料、検査等の基本診療

未承認・適応外のもの等を用いた医療

保険の利用
不可

先進医療 B として実施可能かを審査

技術要件

・有効性及び安全性を期待できる科学的根拠を有する医療技術であること(国内外の使用実績、有用性を示す文献等)

施設要件

- ・緊急時の対応が可能
- ・医薬品医療機器の入手方法、管理体制が適切
- ・「臨床研究に関する倫理指針」への対応 等

臨床研究計画

- ・評価方法
- ・生物統計学的に適切な症例数
- ・適切なモニタリング、ロードマップ 等

先進医療 B として実施

入院料、検査等の基本診療

先進医療 B

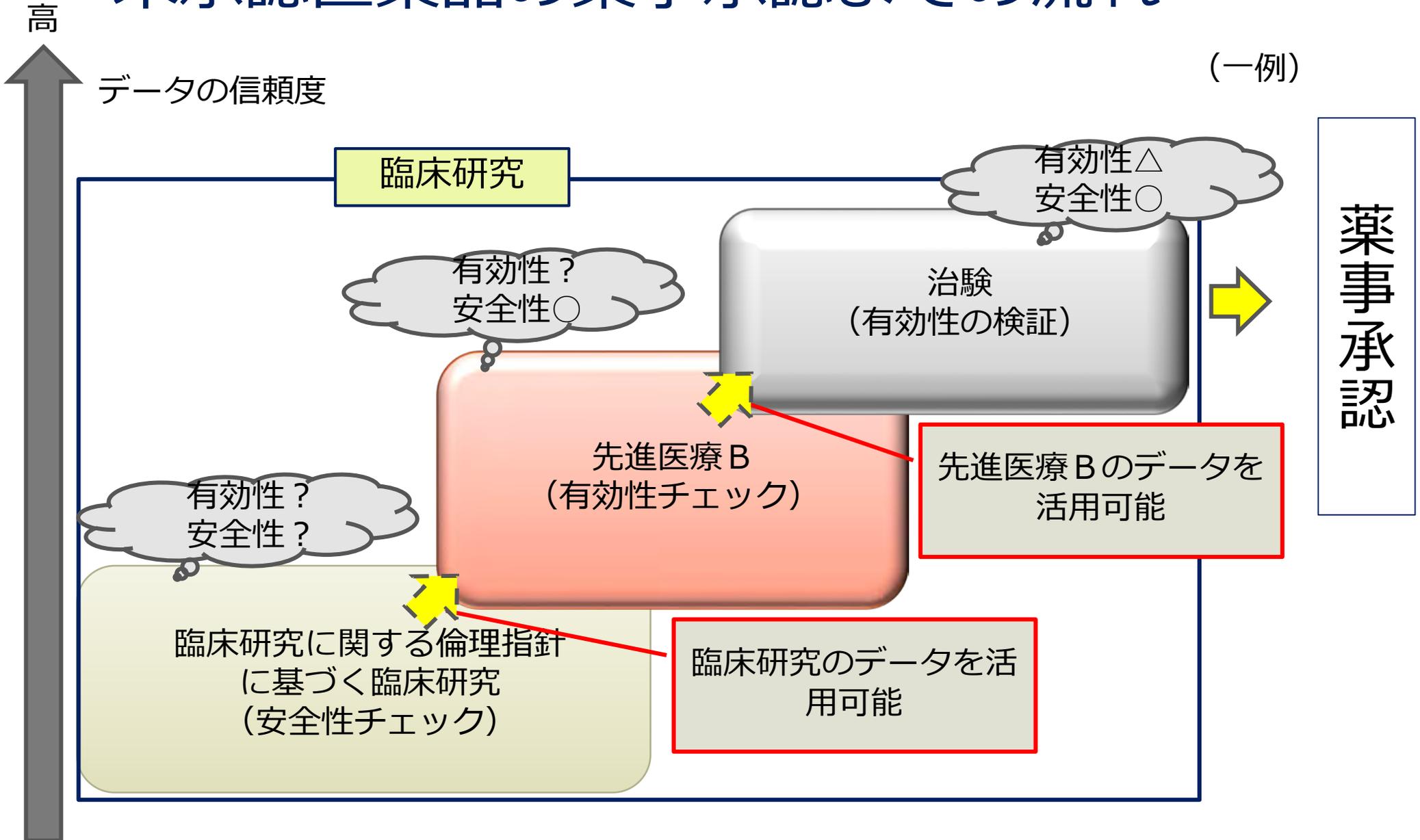
未承認・適応外のもの等を用いた医療

保険の利用
可

適切な要件の下で保険併用を可能にし科学的評価が可能なデータの収集を迅速化
→ 治験・薬事申請及び保険適用等に繋げ、有用な医療技術の普及を迅速化。

未承認医薬品の薬事承認までの流れ

(一例)



先進医療 A の実施手続き

保険医療機関（病院・診療所）

先進医療 A の実施に関する届出

厚生労働省

主に薬事法上の承認を受けた医薬品・医療機器を用いた医療技術

今後保険導入の検討を行う対象とする医療技術

先進医療会議

保険との併用の
適否の確認

技術の安全性、有効性、技術的成熟度、社会的妥当性、普及性、
効率性、将来の保険収載の必要性の評価
当該技術を届出により実施可能とする実施要件（施設基準）の設定

先進医療 A とその実施要件を大臣告示
保険医療機関より先進医療 A としての実施について地方厚生（支）局に
届出

評価療養として保険診療との併用が可能

先進医療 B の実施手続き

保険医療機関（特定機能病院等）

先進医療 B の実施に関する届出

厚生労働省

主に薬事法上未承認・適応外の医薬品・医療機器を用いた医療技術

先進医療技術審査部会

技術評価手法としての
妥当性の確認

技術の安全性、有効性、倫理性、試験計画等の評価
当該技術を実施する医療機関要件の評価

今後保険導入の検討を行う対象とする医療技術

先進医療会議

保険との併用の
適否の確認

先進医療技術審査部会での評価結果を踏まえた上で、
社会的妥当性、普及性、効率性、将来の保険収載の必要性の評価

先進医療 B を大臣告示
先進医療 B 実施医療機関より先進医療としての実施について地方厚生（支）
局に届出

評価療養として保険診療との併用が可能