

事務連絡

平成24年4月2日

関係各位

厚生労働省医薬食品局審査管理課

平成24年度革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業  
の実施について（追加書類送付）

標記については、平成24年3月29日付け事務連絡でお知らせしたところ  
ありますが、別添の通り追加書類を送付しますので、先般の事務連絡と併せて貴管内  
の関係機関へ周知いただくようお願いいたします。



# 事業実施にあたっての考え方



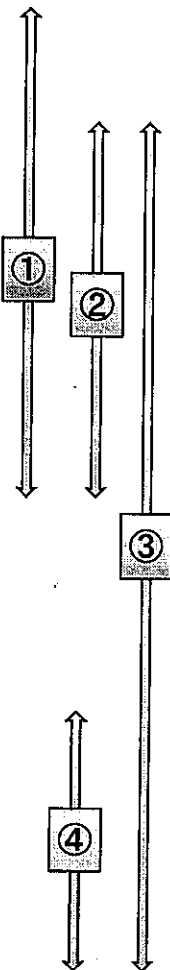
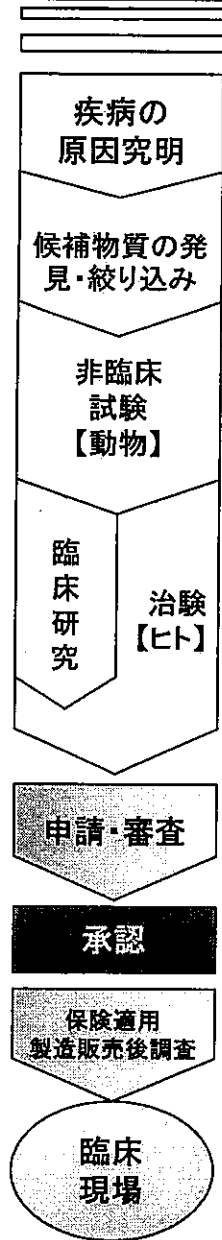
# ライフ・イノベーションの一体的な推進

平成24年度予算案：127億円

目的：日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出により、健康長寿社会を実現するとともに、国際競争力強化による経済成長に貢献する。

## 課題

## 施策の推進



- ① **創薬・治療法の開発を促進**  
国民のニーズの高い疾患に対する創薬・治療法の開発(再生医療含む。)に特化した研究費の配分が十分でなく、選択と集中が必要である。
- ② **臨床研究を促進**  
日本の豊富な基礎研究の成果から革新的な医薬品等を創出するためには、国際水準で臨床研究を行い、質の高いデータをもとに薬事承認につなげるための基盤構築が必要である。
- ③ **承認審査を促進**  
再生医療など革新的な医療技術の開発や承認審査には、有効性・安全性・品質の評価手法を予め確立しておくことが必要である。
- ④ **新技術を適正に評価**  
新たな医療技術等の保険収載に際し、さらなるイノベーションの評価や、開発のインセンティブを確保しつつ、費用対効果も勘案した評価が必要である。



- ① **個別重点分野の研究開発・実用化支援 (71億円)**
  - ・がん(小児がん、難治がん等)、B型肝炎、うつ病、難治性・希少性疾患等
  - ・再生医療(研究開発の基盤構築と免疫拒絶、がん化への対応)
  - ・iPS細胞等ヒト幹細胞を用いた創薬基盤技術の開発
  - ・個別化医療を推進するためのバイオバンクの整備等
- ② **臨床研究中核病院等の整備及び機能強化 (34億円)**
  - ・臨床研究中核病院を新たに5か所選定し、研究を支援する人材などの体制を重点的に整備する。
  - ・国立高度専門医療研究センターの体制整備を行い、臨床研究等を支援する。
- ③ **技術の進歩に対応する薬事承認審査・安全対策の向上 (21億円)**
  - ・新たな技術に対応する審査の迅速化と安全対策の充実・強化のため、開発途上の最先端の技術の安全性と有効性を評価できる人材の育成や、人材の交流による研究成果を開発側と規制側で共有する。
  - ・新技術の未知のリスクに対応する安全対策の強化と医薬品・医療機器等の生産・流通のグローバル化への対応を進める。
- ④ **費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究・調査 (0.8億円)**
  - ・諸外国で行われている評価体系で医療経済評価を試行的に実施した場合の、実行可能性等を検証する。研究報告等も踏まえ、社会的影響やガイドラインの策定等の検討・調査を行う。<sup>1</sup>



# ① 個別重点分野の研究開発・実用化支援

予算案：71億円

○国民のニーズの高い疾患等に対する医薬品・医療機器等の開発に特化した研究に集中的に配分

## 1. がん診断・治療研究の推進

【背景】 (16億円)

・世界トップレベルの基礎研究が国内での実用化に至っておらず、医薬品の逆輸入が急増している。

【取組の概要】

・難治性がん、小児がん等の希少がんを中心に、革新的診断法・治療薬の実用化のための前臨床試験や質の高い臨床試験を強力に推進。

## 2. B型肝炎の創薬実用化研究等の推進

【背景】 (28億円)

・B型肝炎はC型肝炎と比較して治療成績が低く、画期的な新規治療薬の開発が望まれている。

【取組の概要】

・B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発等を目指し、基盤技術の開発を含む創薬研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を総合的に推進。

## 3. 気分障害の診断・治療研究の推進

【背景】 (0.5億円)

・うつ病を含む気分障害患者は急増し、100万人を超えているが、客観的な診断指標が乏しく、効果的な治療法が確立されていない。

【取組の概要】

脳機能画像等を用いた客観的な診断法や病態メカニズムに応じた効果的な治療法の開発により、臨床場面での応用を目指す。



## 4. 希少疾病用医薬品・医療機器の開発支援

【背景】 (2億円)

・既存の助成額・助成内容では、希少疾病用医薬品・医療機器の十分な開発が実施されていない。

【取組の概要】

・極めて患者数が少ない希少疾病(1,000人未満)に対する助成率を引き上げるとともに、支援対象を非臨床試験に広げ、開発支援。

## 5. 再生医療、iPS細胞研究等の推進

【背景】 (12億円)

・革新的医療技術である再生医療の実用化には、安全性・品質の確保が重要な課題である。  
・再生医療の実用化に向け、研究の促進とともに、国民に正確な情報を提供する必要がある。

【取組の概要】

・iPS細胞等ヒト幹細胞を用いた再生医療技術の研究開発の基盤を構築するとともに、移植時の課題である拒絶反応及びがん化に関する研究、並びに移植後の診断検査技術の開発を推進する。  
・ヒト幹細胞データベースを構築し、ヒト幹細胞に係る情報を広く研究者等に提供することによりヒト幹細胞研究を促進するとともに、患者(国民)への情報提供を行う。  
・iPS細胞から作られた細胞を用いて医薬品の安全性等を評価するための技術の開発及びヒト幹細胞を用いた新たな創薬技術の確立を図る。

## 6. 個別化医療の推進

【背景】 (13億円)

・個人のゲノム情報に基づく副作用の少ない効率的な個別化医療の推進に当たり、そのための基盤整備等が必要。

【取組の概要】

・国立高度専門医療研究センターが連携してバイオバンクを整備し、収集した生体試料を活用した研究等を実施。



## ② 臨床研究中核病院等の整備及び機能強化

予算案：34億円

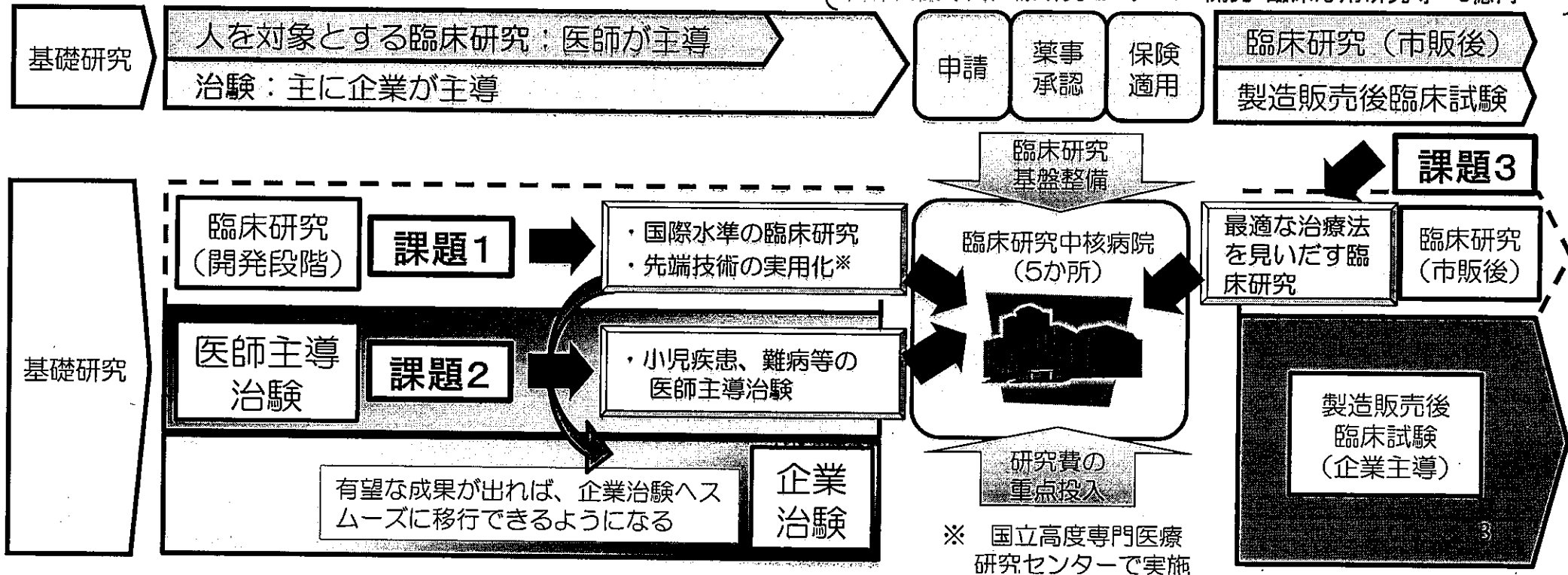
- 課題1 質の高い臨床研究を行うための十分なインフラ（臨床研究コーディネーター及びその他の必要な人材）がないため、臨床研究の質が薬事承認申請データとして利用可能な水準を満たさず、臨床研究で得られた成果を有効活用できない。
- 課題2 小児疾患や難病など、患者数が少ないために企業が開発し難い分野の治験を実施できていない。
- 課題3 既存薬の組み合わせなどにより最適な治療法を見いだす臨床研究は、薬事法に基づく適応範囲の拡大につながらず使用患者が増大しないため、企業の取り組むインセンティブが少ない。

国際水準（ICH-GCP準拠）の臨床研究中核病院を5か所整備し、研究費を重点投入するとともに、国立高度専門医療研究センターの体制整備を行い臨床研究等を支援する。

★ 社会保障・税一体改革成案において、臨床研究中核病院を平成23年度から3年間で15か所程度創設することを明記。

### <創薬の流れ>

臨床研究中核病院：（整備5.1億円＋研究1億円）×5か所＝31億円  
国立高度専門医療研究センター： 開発・臨床応用研究等＝3億円





### ③ 技術の進歩に対応する薬事承認審査・安全対策の向上

予算案：20.9億円

【背景】 社会保障・税一体改革成案で、医療イノベーション、ライフイノベーションの推進、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの早期解消などの諸改革が求められている。

また、第4期科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)においても、これらの諸改革の実現のために、レギュラトリーサイエンス\*の充実・強化による審査指針・基準の策定や人材の養成・確保等が求められている。

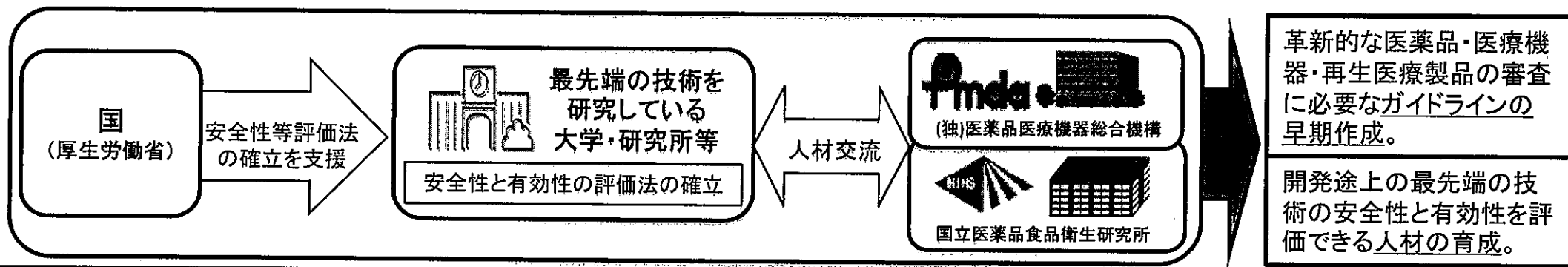
※レギュラトリーサイエンス：科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学(平成23年8月19日閣議決定「科学技術基本計画」より)

#### (1) 革新的医薬品・医療機器の安全性と有効性の評価法の確立、人材の育成【11.9億円】

- 最先端の技術を研究している大学等におけるレギュラトリーサイエンスを基盤とした安全性と有効性の評価法の確立を支援。
- 併せて、大学等、国立医薬品食品衛生研究所(NIHS)、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)等の中で人材交流を行い、人材を育成。

#### (2) 革新的医薬品・医療機器の承認審査の迅速化に必要なガイドラインの作成に向けた研究の推進等【3.7億円】

最先端の技術を研究している大学等における成果も活用し、NIHS・PMDAにおいて審査に必要なガイドライン作成の基盤となるレギュラトリーサイエンス研究を推進等。



#### (3) 新技術の未知のリスクに対応する安全対策の強化【3.5億円】

- PMDAにおいて大規模医療情報データベースを安全対策に活用するための分析手法を開発。
- 独立行政法人国立成育医療研究センターに「小児と薬情報センター」を設置し、小児への医薬品使用情報を収集。

#### (4) 医薬品・医療機器の生産・流通のグローバル化への対応【1.8億円】

- PMDAにおいて海外主要国における医薬品・医療機器の承認情報を収集・整理し、データベースを構築。
- 個人輸入される偽造医薬品等による健康被害や医薬品等の不正輸入に関する情報を収集するホットラインの設置と、消費者に偽造医薬品等に関する注意啓発を実施。



# ④費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究・調査 予算案：0.8億円

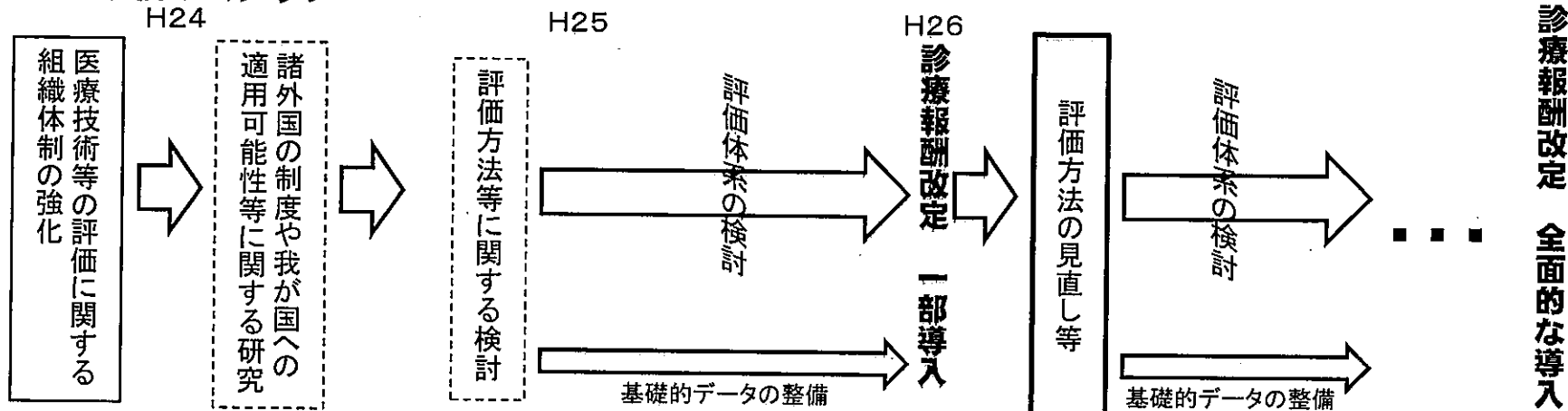
## 課題

- 革新的な医療技術、日本発の医薬品、医療機器の開発について、そのイノベーションを医療保険上適切に評価し、開発のインセンティブを確保する必要がある。
- 持続可能な医療保険制度の維持に向けて、限りある資源を効率的に配分する必要がある。



医療技術、医薬品、医療機器の保険適用の際の、保険点数、薬価、医療材料価格の設定におけるさらなるイノベーションの評価及び、費用対効果を勘案した評価の導入に向けた取組を実施

## 導入に向けた今後のステップ



参考) 社会保障・税一体改革成案 工程表

- 医療イノベーション (抜粋) 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

### 費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究

(予算案 0.3億円)

医療技術等の保険価格等における評価において、さらなるイノベーションの評価や、開発のインセンティブを確保しつつ、費用対効果も勘案した評価を行うため、実際に諸外国で行われている評価体系で医療経済評価を実施した場合における、各評価方法の実務上の利点・欠点を明らかにし、実行可能性、政策応用可能性等を検証する。

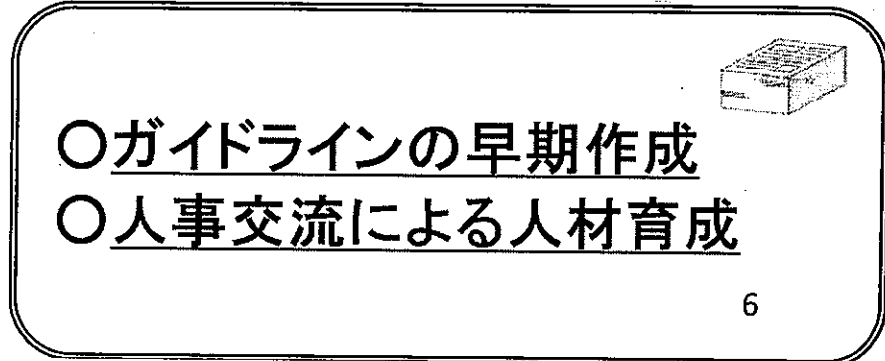
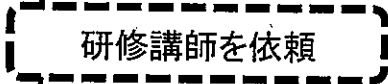
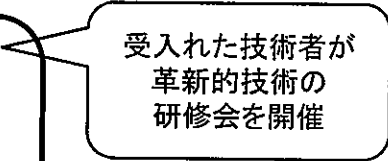
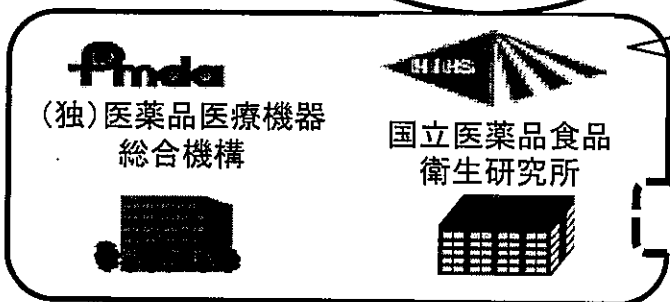
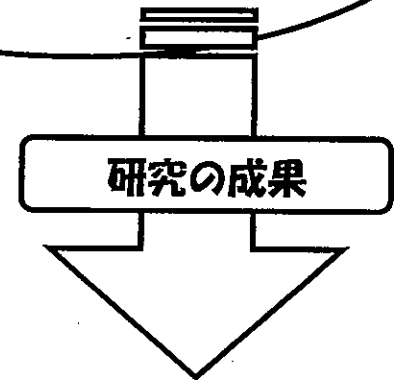
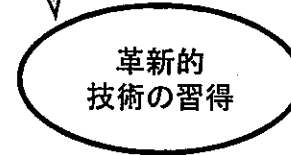
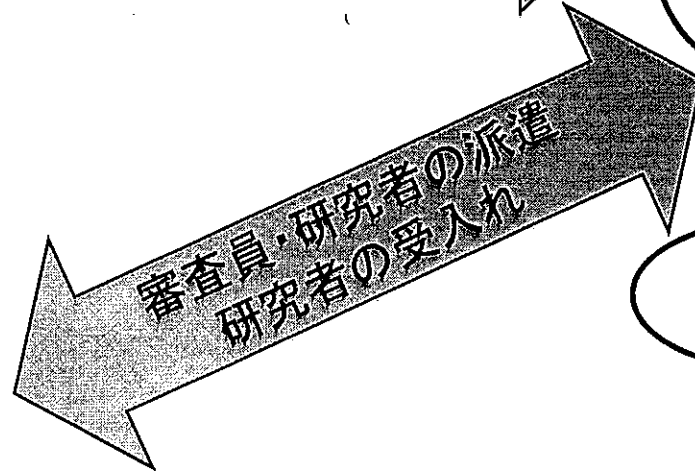
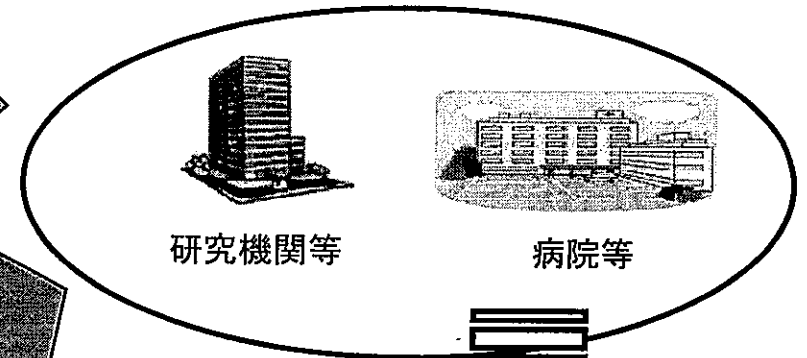
### 医療技術等の評価に関する調査・検討

(予算案 0.5億円)

医療技術等の保険価格等における評価を日本に導入するにあたり、研究報告等も踏まえつつ、日本への導入方法や国内における医療経済評価ガイドライン等に係る検討会の開催及び日本で評価する際に参考とするために海外の評価実績事例集の集積事業等を実施する。

<現状>

- 革新的医薬品・医療機器の開発・実用化(申請側)
- 革新的技術に対応できる人材が不足(申請側、審査側)
- ・承認審査(審査側)に関するガイドラインや試験方法の作成・開発は、承認申請後に着手。





# 平成24年度予算(案)における事業内容について

## ○ 事業内容

事業実施機関は、レギュラトリーサイエンスの考え方を踏まえて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）及び国立医薬品食品衛生研究所（NIHS）と連携・人材交流を行い、革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の安全性と有効性の評価方法の確立に資する研究を実施し、国が作成する新薬・新医療機器審査・安全対策のガイドラインの世界初または世界同時発信につなげる。本事業により、レギュラトリーサイエンスの推進による医療イノベーションの社会的調和を図るとともに、アカデミア、審査側双方において、革新的技術及びレギュラトリーサイエンスに精通した人材育成及びそのための体制の確立にも資するものである。

## ○ 予算額

17課題×平均7,000万円＝11.9億円

# 事業実施にあたっての考え方(1)

## 1 実施内容

### (1) 実施課題数

15～20課題程度

目安：医薬品5課題、医療機器5課題、再生医療5課題

### (2) 各課題の予算額

内容や選定課題数等に応じて4,000万円～1億円/年程度

予算の内訳：人件費、研究費（PO視察受入れ）等

### (3) 対象機関

大学、大学院、国立高度専門医療研究センター、研究体制の観点から大学に準じる研究機関（理化学研究所、産業技術総合研究所など）のいずれかから選定

- 施設の長が申請することとし、同一機関からの申請は、医薬品・医療機器・再生医療製品の各領域あたりそれぞれ一課題を上限とする。
- なお、1つの課題を複数の大学・学部が連携して実施することも可能。
- 施設の長は、自施設において、定期的に自己評価を行い、進捗を管理するとともに、後述するPD・POの視察の受け入れを行うこと。

## 事業実施にあたっての考え方(2)

### (4) 実施期間

対象となる革新的技術の実用化の目処に応じて3～5年間の計画を策定。  
各年度末に報告書の提出を受けるとともに、PD・POによる進捗状況の報告等を評価委員会で評価し、次年度の継続の可否について確認。

### (5) 対象課題の内容（詳細は資料4参照）

「革新的な技術等に基づく医薬品・医療機器・再生医療製品」、又は「これら製品の实用化に結びつく技術」のいずれかのうち、今後10年間程度の間実用化が可能なものであって、当該製品や技術に関する有効性・安全性の評価方法が国内では確立していないものを対象とする。

※ 医工連携など、学際的な連携に資する課題を優先する。

※ 個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法を確立することにとどまらず、今後の医薬品・医療機器・再生医療製品の实用化に資する包括的な評価方法の策定を目指すものも含む。

# 事業実施にあたっての考え方(3)

## 2 事業実施研究機関等の実施事項

### (1) 有効性、安全性の評価方法確立

- 対象となる革新的な技術に基づく医薬品・医療機器・再生医療製品について、当該技術に係る有効性、安全性の評価方法を確立するために必要な試験・研究を実施すること。
  - ※ 製品実用化に資する包括的な評価方法確立についても同様。
- 専門誌への投稿、学会への発表等により、当該成果を公表するとともに、ピアレビューを受けること。

### (2) 人材交流・人材育成

- 事業計画において、事業実施研究機関からPMDAやNIHSへ、職員・研修講師の派遣等、及びPMDA・NIHSに定期的に進捗状況・研究方針などについて報告し意見交換することを具体的に提示している提案を優先して選定する。
- 応募にあたっては、当該分野の評価方法の確立に資するため、NIHS又はPMDA職員の事業実施研究機関への派遣（出向、研修）や共同研究を受け入れることを条件とする。
  - ※ 人材交流・人材育成の具体的な内容については、課題選定後、研究機関とNIHS又はPMDAが協議して決定する。
- 大学等でPMDAの審査員が携わった個別具体的なシーズについては、当該審査員はPMDAにおいて直接、審査に携わらないこととする等、PMDAにおいて利益相反に関するルールを策定。

# PD・POの設置について

- PD(Program Director) は、評価委員会規定に基づき、評価委員会委員長が兼ねるものとする。
- PO(Program Officer) は、課題の内容に応じて、NIHS又はPMDAの職員もしくは外部専門家から適切な者を厚生労働省において指名する者とする。
- PDの指揮の下で、POは、
  - ① 適時、事業実施研究機関と連絡をとり、事業の進捗状況を把握するとともに、少なくとも年2回以上、直接施設を訪問し、進捗状況の確認を行う。
  - ② 各課題が着実に実施されるよう、適宜助言・指導を行う。
  - ③ PDに各課題の進捗状況等を報告するとともに、評価委員会の審議を受ける。等の業務を行う。  
なお、事業の進捗が不十分である場合、補助を打ち切ることもあり得る。

# 課題の考え方

# 対象課題の考え方

「革新的な技術等に基づく医薬品・医療機器・再生医療製品」、又は「これら製品の実用化に結びつく技術」のいずれかのうち、今後10年間程度の間の実用化が可能なものであって、当該製品や技術に関する有効性・安全性の評価方法が国内では確立していないものを対象とする。

- ※ 医工連携など、学際的な連携に資する課題を優先する。
- ※ 個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法を確立することにとどまらず、今後の医薬品・医療機器・再生医療製品の実用化に資する包括的な評価方法の策定を目指すものも含む。

## 今後、ガイドラインの策定が必要と想定される革新的技術等の例

- ・近年の科学技術の発達状況を踏まえ、今後、実用化が見込まれ、評価方法の策定が必要と予測される分野について例示
- ・選定課題については、必ずしもこの分野に限定されるものではなく、記載順序は優先順位を示すものではない。

## 医薬品分野

### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- ・ がんワクチンの臨床有効性、安全性の評価方法（ペプチドワクチンだけでなく細胞療法も含む）
- ・ 遺伝子治療薬の臨床有効性、安全性の評価方法
- ・ 核酸医薬の臨床有効性、安全性の評価方法
- ・ 腫瘍治療のための抗体薬の臨床有効性、安全性の評価方法

### 【革新技術の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- ・ 超微量タンパク質の構造解析を活用した治療薬の評価方法
- ・ 分子イメージング技術を活用した有効性・安全性に関する評価方法
- ・ モデリング・シミュレーションを活用したデータの評価方法
- ・ バイオマーカー等を活用した個別化医療技術の評価方法
- ・ ナノテクノロジー応用した革新的医薬品に関する評価方法
- ・ 薬剤疫学的手法を用いた医薬品の副作用情報の客観的・網羅的な評価方法



## 医療機器分野

### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- 次世代細径内視鏡の臨床有効性、安全性の評価方法
- 次世代型手術用ロボットの評価方法
- 次世代型補助循環システムの評価方法
- 次世代型診断機器の診断精度の評価方法
- 不随機能リハビリ装置による神経機能再生の評価方法

### 【革新技術の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- コンビネーションプロダクト、コンパニオン診断薬等を開発するための有効性及び安全性の評価方法確立のための調査研究
- 革新的医療機器に搭載されるソフトウェアの評価方法確立のための調査研究
- 革新的医療機器の有効性又は安全性評価ツール開発のための調査研究
- 革新的医療機器の有効性又は安全性の評価方法確立のための調査研究

## 再生医療分野

### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- 再生医療製品の臨床応用に向けた評価方法  
(例:角膜シート、心筋シート、培養皮膚、整形外科領域、脳卒中領域、肝硬変領域、糖尿病領域)

### 【革新技術の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- iPS細胞を加工した製品や、iPS細胞を活用した、医薬品等のスクリーニングや有効性・安全性の評価方法
- ES細胞を加工した製品や、ES細胞を活用した、医薬品等のスクリーニングや有効性・安全性の評価方法に関する評価方法