

**「創薬力の向上により
国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」
中間といまとめを経ての思い**

藤原康弘

**独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)
理事長**

ドラッグロス対策として

短期的には、

臨床試験・治験に関するリテラシー（“臨床研究の意義”への理解度）向上、
医療機関及び医療者の

国際水準の臨床試験・治験実施能力の獲得に向けて
卒前・卒後教育の抜本的変革と業績評価改革、体制整備が**必要**

長期的には、わが国の創薬を巡る基礎研究力の強化が必要

Site selection（海外EBPから試験実施施設として選ばれる）に堪える医療機関体制整備

産官学での人財の流動性の増加： 海外EBPの支援者となる国内CROにおいて、グローバルR&Dで通用する専門性の高い医師（CMO; Chief Medical Officer）が不足

CMO Summit 350° @Boston 来年は、Apr 7－8, 2025

目指すべきは、創薬シーズ数の増加ではなく、

「臨床試験・治験が開始された創薬シーズ数の増加である

創薬ベンチャーエコシステム強化事業で目指すべきこととして、

M&Aや製薬企業への導出件数の増加である

PMDAが行う直近のドラッグロス対策

ドラッグロス対策について

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

- ◆ **希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応**
⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先也可）
- ◆ **小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応**
⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認
（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ **小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付）**
⇒ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業を開始予定
（相談枠の新設（実施要綱公表済み）／相談手数料の補助）
- ◆ **先駆的医薬品指定制度：総審査期間6か月を目指す**
- ◆ **先駆け総合評価相談：申込み全件対応**
- ◆ **治験エコシステムの早期導入を推進**
⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（事業実施機関を公募中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ **海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施**
- ◆ **PMDAの米国事務所（年内設置予定）を窓口に、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施**
- ◆ **国際共同治験参加に関する治験相談における的確な助言**
⇒ 参加前に日本人第Ⅰ相試験が必要ない場合を通知で明示

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(厚生労働省・医薬局)

(2023.7.10~2024.3.21)

ドラッグロス問題の解消や、安定供給の確保、小児医薬品開発の促進等を図るため、薬事規制のあり方を検討

検討テーマ

検討状況

開発促進	希少疾病用医薬品の指定のあり方	令和5年7月10日検討会において、①いわゆる「輪切り」の要件に当たらない場合の明確化、②医療上の必要性が認められる範囲の明確化、③指定時期を非臨床段階まで早期化することなどが了承された。1月16日に改正通知を発出した。
	小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方	令和5年7月10日検討会において、成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画の策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入することなどが了承された。令和6年1月12日に関連通知を発出した。
臨床試験	我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理	令和5年8月7日・9月13日検討会において、海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験については、原則不要とすることが了承された。令和5年12月25日に通知・QAを発出した。 令和5年12月13日検討会において、希少疾患等に用いる薬剤であって、外国においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データの必要性や、迅速な承認制度のあり方について議論を行った。具体的な通知化に向けて、行政・業界間で議論継続中
	治験の更なる効率化(エコシステム)	令和6年3月21日検討会において、対応の方向性として、中央IRBの活用促進、治験費用の算定方法の合理化、治験運用の更なる合理化について議論を行った。
市販後安全対策	製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方	令和6年1月12日・3月21日検討会において、製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方や、その際のリアルワールドデータの活用のあり方について議論を行った。
	リアルワールドデータの活用のあり方	
品質	医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方	令和5年10月13日検討会において、欧米と同様に、中リスクの変更カテゴリや年次報告の仕組みを試行的に導入することなどが了承された。具体的な運用について、行政・業界間で検討を進めている。 令和5年11月15日検討会において、医薬品製造業者等による不正事案への対応として、行政による薬事監視について議論し立入調査・検査の強化の方向性について了承された。
情報発信	我が国の薬事制度に関する海外への情報発信	令和5年11月15日検討会において、我が国の薬事制度についてPMDAの米国事務所の設置などを通じて積極的・能動的に海外に情報発信していくことが重要であることなどが議論された。

參考資料

我が国の創薬力向上に向けての 課題と対策

治験実施施設に
藤原康弘

独立行政法人 **医薬品医療機器総合機構(PMDA)**
理事長

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須

- #1 長年、様々な公的研究費を投入し続けてきたシーズ開発だけでは我が国の創薬力維持・回復は不可能
- #2 世界に通用する臨床試験成績を早く取得でき、有望なシーズが国際的な目線で選別される開発環境を醸成する施策が重要 【参考資料p28～31】
- #3 そのため、国際レベルの“臨床試験”の実施を振興 【参考資料p32～48】
- #4 具体的には、以下に投資すべき 【参考資料p49～55】
 - ・病院における臨床試験実施(Phase 1 施設の場合にはトランスレーショナルリサーチ実施能力も合わせ持つことが必須)を米国水準で行える体制整備
(臨床試験センター: phase 1であれば、NIH Clinical Center がモデル)
 - ・人材育成
(医師のみならず、生物統計家、リサーチナース、CRC*、データマネージャー、モニター、監査担当者に加え、英語で契約書等をやりとり出来る事務職員などの多職種人材) * CRC: Clinical Research Coordinator、臨床研究コーディネーター
治験コーディネーターとも呼称
 - ・医薬品の製造と品質管理 【参考資料p69～74】
- #5 医療機関における各種契約・審査書類について英文を許容する

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須。 続き

#6 日本の治験のコストは本当に高いのか？

⇒私が実施した国際共同医師主導治験の経験からは、**NO** 【参考資料p56～58】

ただし、日本の医療機関のCRO*¹、SMO*²への過度の依存と、医師の臨床試験実施に関する知識や機関の自立性の乏しさは、治験のコスト増加の要因にはなっている。医療機関との契約においてFMV(fair market value)にもとづく、ベンチマーク型コスト算定(BMC)の導入は検討*³

*1 CRO: Contract Research Organization *2 SMO: Site Management Organization *3 R4年度厚生労働行政推進調査事業費補助金(厚生労働科学特別研究)「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」

#7 日本の薬事規制は欧米に比べて保守的であるがために、

日本発のイノベーションの発展が阻害されているのか？ **NO**

【原因】日本のアカデミアには、臨床試験実施経験や薬事に関する知識が不足している方がいる。それゆえに、規制を悪いと言ってしまう。

→ 医学・看護学等の卒前・卒後教育の改革が必要 【参考資料p59～64】

→ 生物統計家、データサイエンティストの教育体制の充実と飛躍的増員 【参考資料65,66】

#8 治験について、Single IRB(1か国1か所の治験審査委員会)での審査を原則にする(臨床研究法同様に)

#9 臨床研究法、薬機法及び再生医療の臨床試験まわりは統合運用