



# 医薬品開発に対する国の支援体制

厚生労働省 医政局 研究開発振興課  
高江 慎一

# 医療関連分野における これまでの厚生労働省の取組

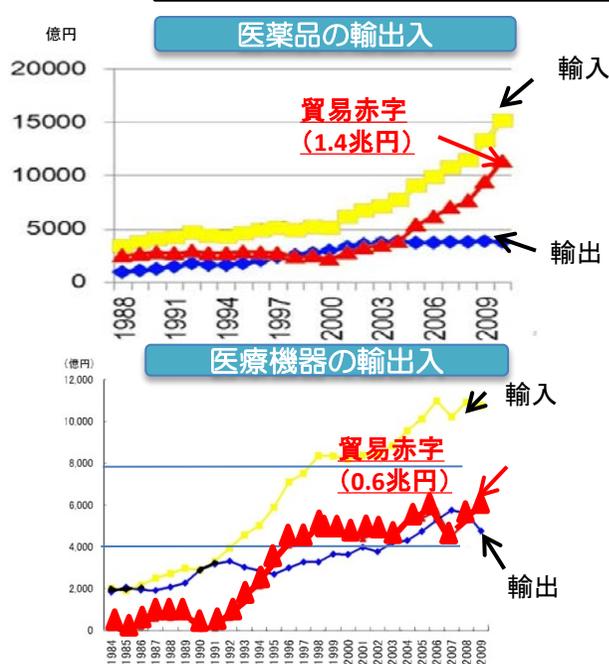
# 医療関連分野におけるイノベーション促進に関する現状と課題

## 【現状】

- 医療産業は急成長。技術の進展により、世界的な競争も激化
- しかし我が国は、医薬品・医療機器ともに貿易赤字が拡大
  - ・医薬品⇒高齢化社会の疾病(がん等)に対応した創薬力の低下
  - ・医療機器⇒日本の強みである「ものづくり力」が生かせていない
- 基礎研究に強いが、臨床研究に弱い日本
- 再生医療、個別化医療など世界的に研究が進む分野でも実用化で後れ

## 【課題】

- 世界最高水準の医療を国民に提供できない
- 医療関連分野の成長力が低い



基礎研究論文数

発表国	Nature Medicine, Cell, J Exp Med 3誌合計
1 米国	2,011
2 ドイツ	386
3 英国	284
<b>4 日本</b>	<b>266</b>
5 フランス	230
6 カナダ	170
7 スイス	150

臨床研究論文数

発表国	NEJM, Lancet, JAMA 3誌合計
1 米国	2,105
2 英国	685
3 カナダ	435
4 ドイツ	335
5 フランス	313
...	
16 中国	97
...	
<b>25 日本</b>	<b>55</b>

日本の基礎研究による発見  
なのに、薬剤開発は全て海外

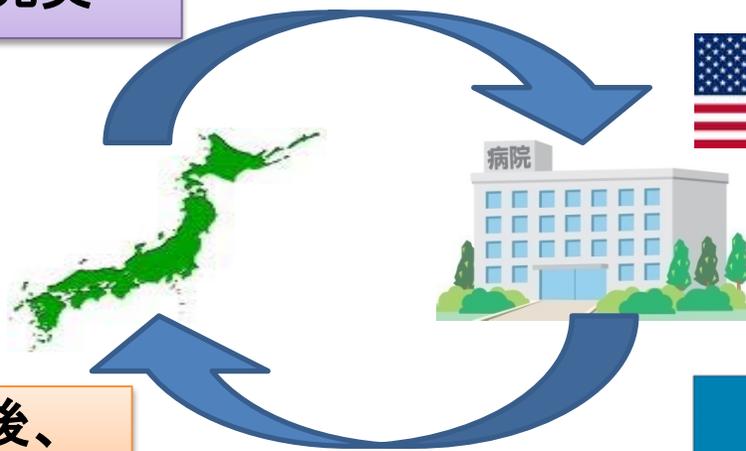
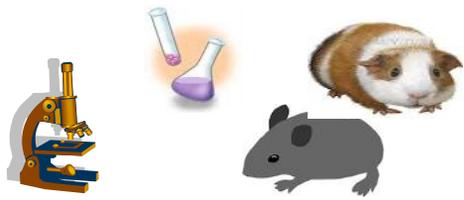
治療標的	薬剤	企業	売上高百万ドル (2011年)
HER-2	トラスツズマブ	ロシュ	5,589
C-Kit (GIST)	イマチニブ	ノバルティス	4,659
PARP	オラパリブ (開発中)	アストラゼネカ	開発中
ALK	クリゾチニブ	ファイザー	米:2011年8月承認 日:2012年3月承認
PD-1	抗PD-1抗体 (開発中)	BMS (メダレックス)/小野薬品	開発中

※ 政策研ニュース No.35 p49 2012より

# 日本での基礎研究の成果であるにもかかわらず、 欧米での臨床研究・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



① 日本の大学・研究所では、基礎研究が充実



② 臨床研究は欧米で

**米国 CTSA**  
(Clinical and Translational Science Awards)  
**60機関を選定し、** 選択集中的に臨床研究の支援組織の整備を進めている。



**フランス CIC**  
(Centre d'Investigation Clinique)  
**24機関を選定し、** 選択集中的に臨床研究の支援組織の整備を進めている。

③ 欧米で開発後、日本で治験に着手

例) アリセプト(アルツハイマー病治療薬)  
・日本で基礎研究→アメリカで先行して治験を実施し、FDAが承認→その後日本で治験→FDA承認から3年遅れで、日本で承認。  
・アルツハイマー病患者の治療機会の喪失

# 我が国が抱える医薬品等研究開発の課題



1. 大学や国立がん研究センター等の基礎研究の優れた成果の円滑かつ迅速な実用化
2. 研究者及び知的財産の海外流出の防止
3. 研究者と製薬企業との連携促進
4. 国際基準 (ICH-GCP) に準拠した質の高い治験 (臨床研究) の推進
5. 薬事審査や承認の迅速化
6. 開発に必要な公的科学研究費の十分な提供 (補助)
7. 医薬品分野の海外進出

緊急経済対策 (平成25年1月11日)

- ① 復興・防災対策
- ② 成長による富の創出  
(民間投資の喚起、中小企業・小規模事業者対策等)
- ③ 暮らしの安心・地域活性

平成25年度より

医療関連分野における  
イノベーションの一体的推進

# 医療関連分野におけるイノベーションの一体的推進

## I 医薬品・医療機器開発等に関する基盤整備と研究の推進

国民が安心して利用できる最新の医療環境を整備するとともに、日本のものづくり力をいかし、日本発の革新的医薬品・医療機器や再生医療製品などを世界に先駆けて開発し、「成長による富の創出」をめざし、医療関連市場の活性化と我が国の経済成長を実現し、積極的に海外市場へ展開することを目指す。

【基礎研究】  
優れた成果

【応用研究】

【非臨床試験】

【治験】

審査  
薬事承認

死の谷

支援

整備

迅速化

### 1-① 創薬支援機能の強化

- ・ 関係府省や独法研究機関等が連携したオールジャパンでの創薬支援体制の構築
- ・ 本部機能を担う「創薬支援戦略室」の創設
- ・ バイオ医薬関連支援設備の強化 等

### 1-② 臨床研究・治験環境の整備

- 臨床研究中核病院等の整備
- ・ 質の高い臨床研究や難病小児領域等の治験の実施
- ・ 高度かつ先進的な医療の中心
- ・ 複数病院からなる大規模ネットワークの中核として機能 等

### 1-③ 審査・安全対策の充実・強化

- ・ PMDAにおける薬事戦略相談の拡充
- ・ 安全対策の強化と技術開発へのフィードバック 等

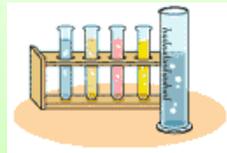
基盤整備

### 2 重点領域における創薬研究開発等の強化

- ・ がん、難病・希少疾病等の8つの重点領域を中心に、日本発の革新的医薬品医療機器等の実用化研究の強化
- ・ 再生医療分野における実用化に向けた研究開発の推進 等

### 3 発展途上国向け医薬品開発の促進

- ・ 官民協働の資金拠出による国内製薬産業の海外進出・研究開発の支援



研究強化

# 医療関連分野におけるイノベーションの一体的推進

## II 世界最先端の医療の実用化の推進

### 4 再生医療の推進

- ・ 基礎から臨床まで一貫した支援を行うため 幹細胞等データベースの整備、臨床中核病院等の 臨床研究・治験実施体制の拡充
- ・ 臨床研究の実施における安全性・品質等についての ガイドラインの策定の推進
- ・ 再生医療の臨床応用に向けた 人材育成 等

### 5 個別化(オーダーメイド)医療の推進

- ・ 個別化(オーダーメイド)医療の推進のための バイオバンク等研究基盤の整備と研究開発の推進

国立高度専門医療研究センター(ナショナルセンター)のもつ高度専門的な知見とネットワークを活用した血液・細胞等の 生体試料と臨床情報によるバイオバンクの整備と企業等と共同での研究開発の推進

## イノベーションの一体的推進

関係府省の緊密な連携のもと

- 1 新しい医薬品や医療機器を国民に迅速に提供出来る
- 2 有効な治療法がなかった病気を治療出来る
- 3 患者個別の体質や病態にあった有効で副作用の少ない治療を提供出来る

医療の実現を目指す。

# 薬事法改正法案及び 再生医療等安全性確保法案 の概要について

# 薬事法改正法案及び再生医療等安全性確保法案の概要について

- 現在、国民が受ける医療の質の向上を図るため、革新的な医薬品・医療機器の創出や再生医療の研究開発及び実用化を促進していくことが喫緊の課題となっている。  
併せて、医薬品等による健康被害の再発防止のため、安全対策の強化が求められている。
- このような取組を推進するため、今般、議員立法として、「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」が4月26日に成立し(5月10日公布)、また「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する法律案」が5月23日に国会に提出されたところである。
- また、安倍内閣総理大臣より、4月2日の第6回日本経済再生本部において、薬事法改正法案及び再生医療等安全性確保法案を今国会に提出すべく、作業を進めるよう指示があった。  
  
【総理指示(平成25年4月2日 第6回 日本経済再生本部)】  
(健康長寿社会の実現)
  - ・ 厚生労働大臣は、再生医療の迅速な実現を図るとともに、医療機器の開発スピードを引き上げるため、薬事法改正法案、再生医療安全性確保法案を今国会に提出すべく、作業を進めること。
- このような状況を踏まえ、政府において薬事法改正法案及び再生医療等安全性確保法案の立案作業を進め、5月24日に国会に提出したところ。

# 医薬品、医療機器、再生医療等の開発促進及び実用化に向けた取組み等

## 基本的な枠組み

二つの議員立法を踏まえ、具体的な施策を検討

## 具体的な施策

### 議員立法

#### 医療機器法案

※平成25年5月23日衆議院提出

医療機器の研究開発及び普及の促進に関する施策を総合的かつ計画的に推進

- 基本計画の策定
- 基本的施策（規制の見直し等）
- 法制上・財政上・税制上の措置等
- 関係者の連携協力に関する措置 等

#### 再生医療推進法

※平成25年5月10日公布

再生医療の研究開発から実用化までの施策を総合的に推進

- 基本方針の策定
- 基本的施策（法制上の措置、環境の整備等）
- 安全面及び倫理面の配慮 等

○産業競争力会議、健康医療戦略等のとりまとめに向けた議論などを踏まえて検討。

- I 医薬品・医療機器等の研究開発・治験環境の整備
- II 再生医療の研究開発の推進と実用化に向けた取組
- III 審査・安全対策の充実・強化
- IV 医薬品・医療機器等の戦略的な国際展開の推進
- V 制度改正（薬事法改正、再生医療等安全性確保法案）等

予算、  
税制等  
により  
措置

#### 薬事法改正案

- 医薬品、医療機器等に係る安全対策の強化
- 医療機器の特性を踏まえた規制の構築
- 再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築

#### 再生医療等安全性確保法案

医療として提供される再生医療について、採取等の手続き、医療機関の基準、細胞を培養・加工する施設の基準等を策定

# 薬事法等の一部を改正する法律案の概要

医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供の確保を図るため、添付文書の届出義務の創設、医療機器の登録認証機関による認証範囲の拡大、再生医療等製品の条件及び期限付承認制度の創設等の所要の措置を講ずる。

## I 法律案の概要

### 1 医薬品、医療機器等に係る安全対策の強化

- (1) 薬事法の目的に、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のため必要な規制を行うことを明示する。
- (2) 医薬品等の品質、有効性及び安全性の確保等に係る責務を関係者に課す。
- (3) 医薬品等の製造販売業者は、最新の知見に基づき添付文書を作成し、厚生労働大臣に届け出るものとする。

### 2 医療機器の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 医療機器の製造販売業・製造業について、医薬品等と章を区分して規定する。
- (2) 医療機器の民間の第三者機関による認証制度を、基準を定めて高度管理医療機器にも拡大する。
- (3) 診断等に用いる単体プログラムについて、医療機器として製造販売の承認・認証等の対象とする。
- (4) 医療機器の製造業について、許可制から登録制に簡素化する。
- (5) 医療機器の製造・品質管理方法の基準適合性調査について、合理化を図る。

### 3 再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 「再生医療等製品」を新たに定義するとともに、その特性を踏まえた安全対策等の規制を設ける。
- (2) 均質でない再生医療等製品について、有効性が推定され、安全性が認められれば、特別に早期に、条件及び期限を付して製造販売承認を与えることを可能とする。

### 4 その他

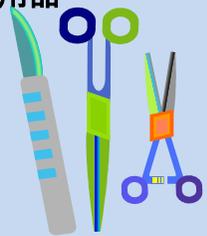
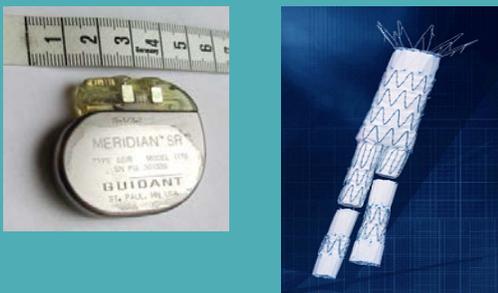
薬事法の題名を「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」に改めるほか、所要の改正を行う。

## II 施行期日

公布の日から1年を超えない範囲内において政令で定める日

# 医療機器の分類と規制

小 ← リスク → 大

国際分類 (注1)	クラス I	クラス II	クラス III	クラス IV
具 体 例	<p>不具合が生じた場合でも、<u>人体へのリスクが極めて低い</u>と考えられるもの</p> <p>(例)体外診断用機器、鋼製小物(メス・ピンセット等) X線フィルム、歯科技工用品</p> 	<p>不具合が生じた場合でも、<u>人体へのリスクが比較的低い</u>と考えられるもの</p> <p>(例)MRI装置、電子内視鏡、消化器用カテーテル、超音波診断装置、歯科用合金</p> 	<p>不具合が生じた場合、<u>人体へのリスクが比較的高い</u>と考えられるもの</p> <p>(例)透析器、人工骨、人工呼吸器</p> 	<p>患者への侵襲性が高く、<u>不具合が生じた場合、生命の危険に直結する恐れ</u>があるもの</p> <p>(例)ペースメーカ、人工心臓弁、ステントグラフト</p> 
薬事法の分類	一般医療機器	管理医療機器	高度管理医療機器	
規制	届出	第三者認証(注2)	大臣承認(PMDAで審査)	

(注1) 日米欧豪加の5地域が参加する「医療機器規制国際整合化会合(GHTF)」において平成15年12月に合意された医療機器のリスクに応じた4つのクラス分類の考え方を薬事法に取り入れている。

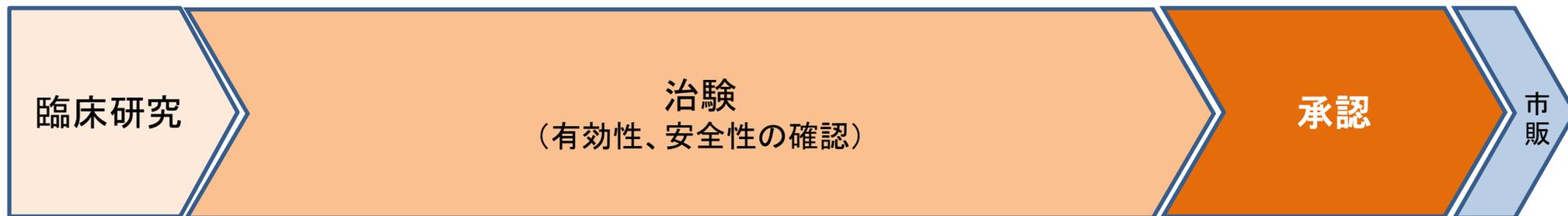
(注2) 厚生労働大臣が基準を定めたものについて大臣の承認を不要とし、あらかじめ厚生労働大臣の登録を受けた民間の第三者認証機関(現在13機関)が基準への適合性を認証する制度。

# 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)

＜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。

## 【従来の承認までの道筋】



## 【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・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。

# 再生医療等の安全性の確保等に関する法律案の概要

## 趣 旨

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定める。

## 法案の内容

### 1. 再生医療等の分類

再生医療等について、人の生命及び健康に与える影響の程度に応じ、「第1種再生医療等」「第2種再生医療等」「第3種再生医療等」に3分類して、それぞれ必要な手続を定める。

※ 分類は、細胞や投与方法等を総合的に勘案し、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働省令で定めるが、以下の例を想定。第1種:iPS細胞等、第2種:体性幹細胞等、第3種:体細胞等。

### 2. 再生医療等の提供に係る手続

- 第1種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。一定期間の実施制限期間を設け、その期間内に、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて安全性等について確認。安全性等の基準に適合していないときは、計画の変更を命令。
  - 第2種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
  - 第3種再生医療等 提供計画について、認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
- ※ 特定認定再生医療等委員会は、特に高度な審査能力と第三者性を有するもの。  
※ 第1種再生医療等、第2種再生医療等を提供する医療機関については、一定の施設・人員要件を課す。

### 3. 適正な提供のための措置等

- インフォームド・コンセント、個人情報保護のための措置等について定める。
- 疾病等の発生は、厚生労働大臣へ報告。厚生労働大臣は、厚生科学審議会の意見を聴いて、必要な措置をとる。
- 安全性確保等のため必要なときは、改善命令を実施。改善命令違反の場合は再生医療等の提供を制限。保健衛生上の危害の発生拡大防止のため必要なときは、再生医療等の提供の一時停止など応急措置を命令。
- 厚生労働大臣は、定期的に再生医療等の実施状況について把握し、その概要について公表する。

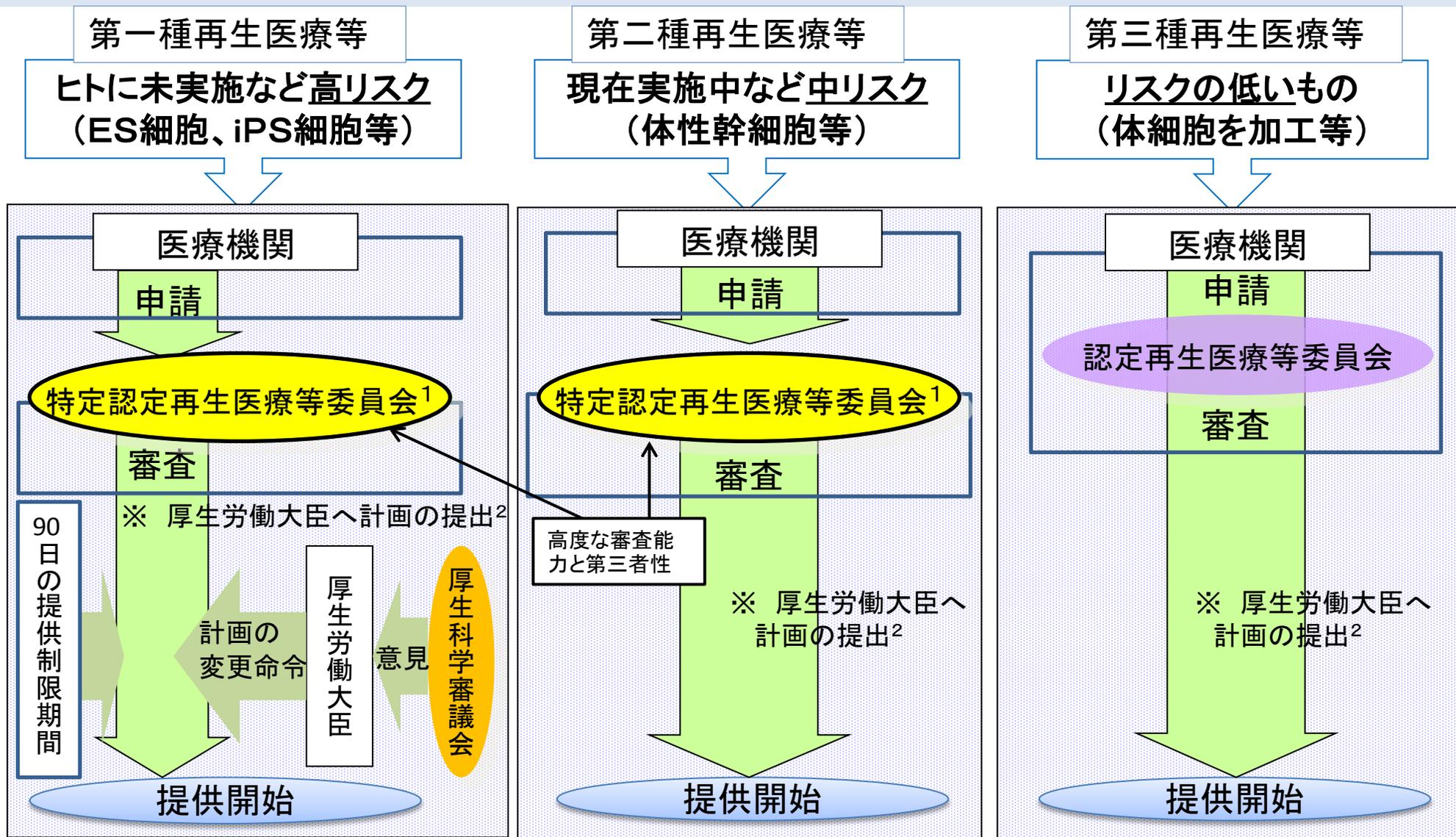
### 4. 特定細胞加工物の製造の許可等

- 特定細胞加工物の製造を許可制(医療機関等の場合には届出)とし、医療機関が特定細胞加工物の製造を委託する場合には、許可等を受けた者又は届出をした者に委託しなければならないこととする。

## 施行期日

薬事法等の一部を改正する法律の施行の日(公布の日から1年を超えない範囲内において政令で定める日)<sup>4</sup>

# リスクに応じた再生医療等提供の手続き



(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續を義務付ける。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。

# 再生医療等安全性確保法案による細胞培養加工の 外部委託(薬事法と再生医療等安全性確保法案)イメージ図

## 臨床研究・自由診療

### 再生医療等安全性確保法

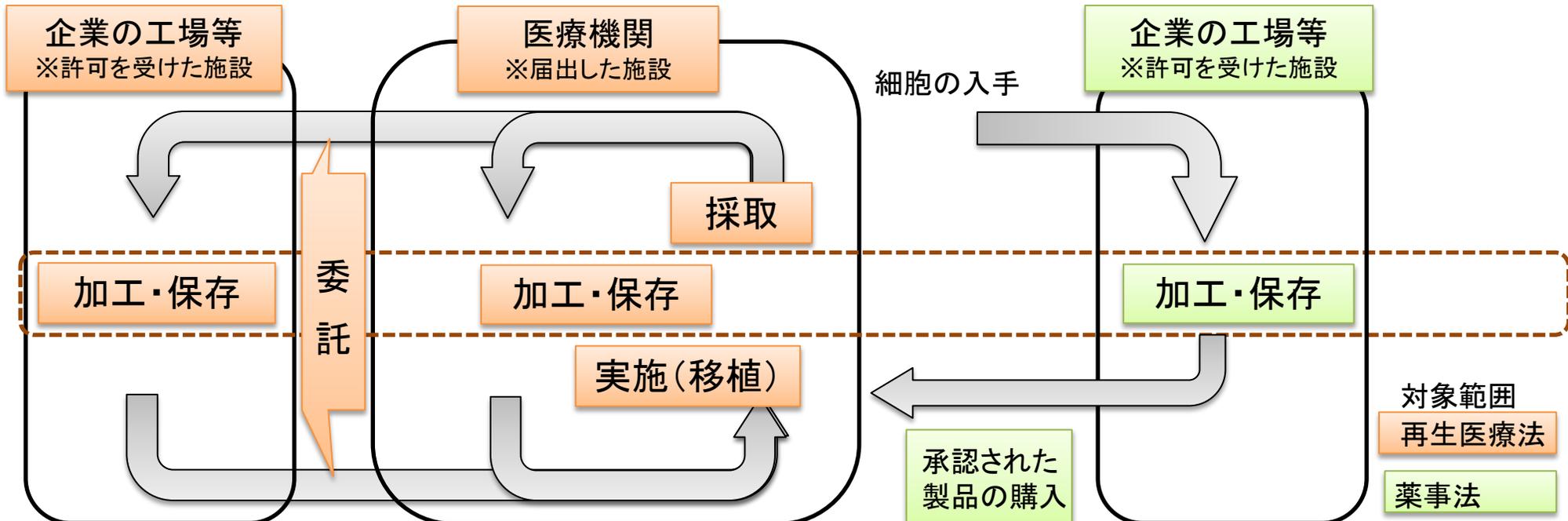
医療として提供される再生医療等について、採取等の実施手続き、再生医療等を提供する医療機関の基準、細胞を培養・加工する施設の基準等を規定し、安全性等を確保。

## 再生医療等製品

### 薬事法

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。

※ 本法律案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、薬事法の適用外。



# 政府としての今後の方向性

# 日本経済再生に向けた緊急経済対策(平成25年1月11日閣議決定)抜粋

## 第3章 具体的施策

### Ⅱ. 成長による富の創出

#### 1. 民間投資の喚起による成長力強化

##### (2) 研究開発、イノベーション推進

##### ② 医療関連イノベーションの促進

- ・ 医薬品・医療機器・再生医療製品等に係る規制改革：医療機器の審査の迅速化・合理化を図るため、医療機器の特性を踏まえた制度改革を行い、医療機器について医薬品から別章立てすること、医療機器の承認に代わる民間の第三者認証制度の対象を拡大すること、再生医療製品の特性を踏まえた特別な早期承認制度の導入を行うこと等の見直しを実施。また、再生医療の安全性等を確保しつつ、細胞培養加工の医療機関外委託も可能となるような枠組みを整備。（厚生労働省）

## 「成長戦略の実現」



- 世界最先端の医療技術・サービスを実現
- 健康寿命世界一を達成



日本経済再生の柱として、医療、医薬品、医療機器  
を戦略産業として育成



「健康・医療戦略室」を内閣官房に設置

※厚生労働省にも、「健康・医療戦略厚生労働省推進本部」を設置



# 今後の健康・医療関連分野における「成長戦略」推進体制

- 安倍政権の成長戦略の重要な柱の1つである健康・医療関連分野の取組を強力に推進するため、内閣官房に「健康・医療戦略室」が設置されることに併せて、厚生労働省に大臣を本部長とする「**健康・医療戦略厚生労働省推進本部**」を平成25年2月22日に設置した。
- 医薬品、医療機器等、再生医療、国際展開の4つのタスクフォースを設置し、国民の健康寿命の延伸、世界最先端の医療の実現、医薬品・医療機器等の開発の促進と関連産業の発展などに総合的に取り組む。

## 健康・医療戦略厚生労働省推進本部

本部長	厚生労働大臣
本部長代理	厚生労働副大臣、厚生労働大臣政務官
副本部長	厚生労働事務次官、厚生労働審議官
構成員	医政局長、健康局長、医薬食品局長、老健局長、保険局長、政策統括官（社会保障担当） 大臣官房技術総括審議官、大臣官房審議官（がん対策、国際保健担当）

## 推進チーム

主査	大臣官房技術総括審議官
副主査	大臣官房審議官（医薬担当）、大臣官房審議官（医療保険、医政、医療・介護連携担当）
構成員	関係部局の課長、参事官

医薬品TF

医療機器等TF

再生医療TF

国際展開TF

\* タスクフォース（TF）は、今後必要に応じ、新たに追加で設置することがある。

# 健康・医療分野の主な検討課題

- ①再生医療の推進
- ②医療機器にかかる規制改革の推進
- ③医療・介護のICT化の推進
- ④健康予防のインセンティブ付与
- ⑤健康寿命伸長産業
- ⑥医薬品ネット販売
- ⑦日本版NIH
- ⑧保険外併用療養費  
など

# 政府としての方向性

- 科学技術イノベーション総合戦略（総合科学技術会議）
- 骨太の方針（経済財政諮問会議）
- 規制改革に関する答申（規制改革会議）
- 日本再興戦略（産業競争力会議）
- 健康・医療戦略（健康・医療戦略会議）
- 「世界最先端IT国家創造」宣言（IT総合戦略本部）

等

# ご清聴ありがとうございました

**関係者すべての努力下**  
**・臨床試験・治験の活性化**  
**・シース実用化の促進**

厚生労働省 医政局  
研究開発振興課

