

図表 2 6 iPS 細胞利用技術について

## 世界に先駆けた、日本人によるiPS細胞作製成功

●2007年、京都大学の山中教授らが世界に先駆けて成人の皮膚細胞よりヒトiPS細胞を作成することに成功しました。同時期には米国の研究グループもヒトiPS細胞作成に成功し、iPS細胞研究の国際競争は激化しています。

●幹細胞とは体の様々な組織に分化出来る細胞です。今までは、幹細胞の一種であるES細胞の研究が盛んでしたが、受精卵から作成されるために倫理的問題がありました。それに対してiPS細胞は皮膚などの受精卵以外の体細胞から作成されるため、ES細胞よりも倫理的問題が少ないと考えられ、医療への応用が期待されています。



### iPS細胞

皮膚細胞など、分化した体細胞により作られる幹細胞

- 2006年 京都大学 山中教授らがマウスiPS細胞の作成に成功
- 2007年11月 京都大学 山中教授らが成人の細胞よりヒトiPS細胞の作製に成功
- 2007年11月 ウィスコンシン大 トムソン教授らが胎児・新生児の細胞よりヒトiPS細胞の作製に成功



### ES細胞

受精卵より作られる幹細胞  
受精卵を扱うため、倫理的な問題が課題

- 1981年 マウスのES細胞の作成に成功(英国)
- 1996年 クローン羊ドリーの誕生(英国)
- 1998年 ヒトES細胞の作成に成功(米国)
- 2003年 京都大学 中辻教授らが国内初 ヒトES細胞の作成に成功

### 国民の幸せへの貢献

iPS細胞を以下のように応用するために、研究が進められています。

#### 【再生医療への応用】

◆本人の細胞から作ったiPS細胞を利用して作成された拒絶反応のない組織の移植、献血に頼らない輸血の実現が期待されています。

#### 【創薬への応用】

- ◆新しく開発した治療薬を評価する際にヒトiPS細胞を使用すると、マウス細胞等での実験より正確に薬の効果を評価出来ます。
- ◆遺伝的難病患者のiPS細胞を利用して研究することで、難病の研究が進みます。

## オールジャパン体制でiPS細胞研究を支援

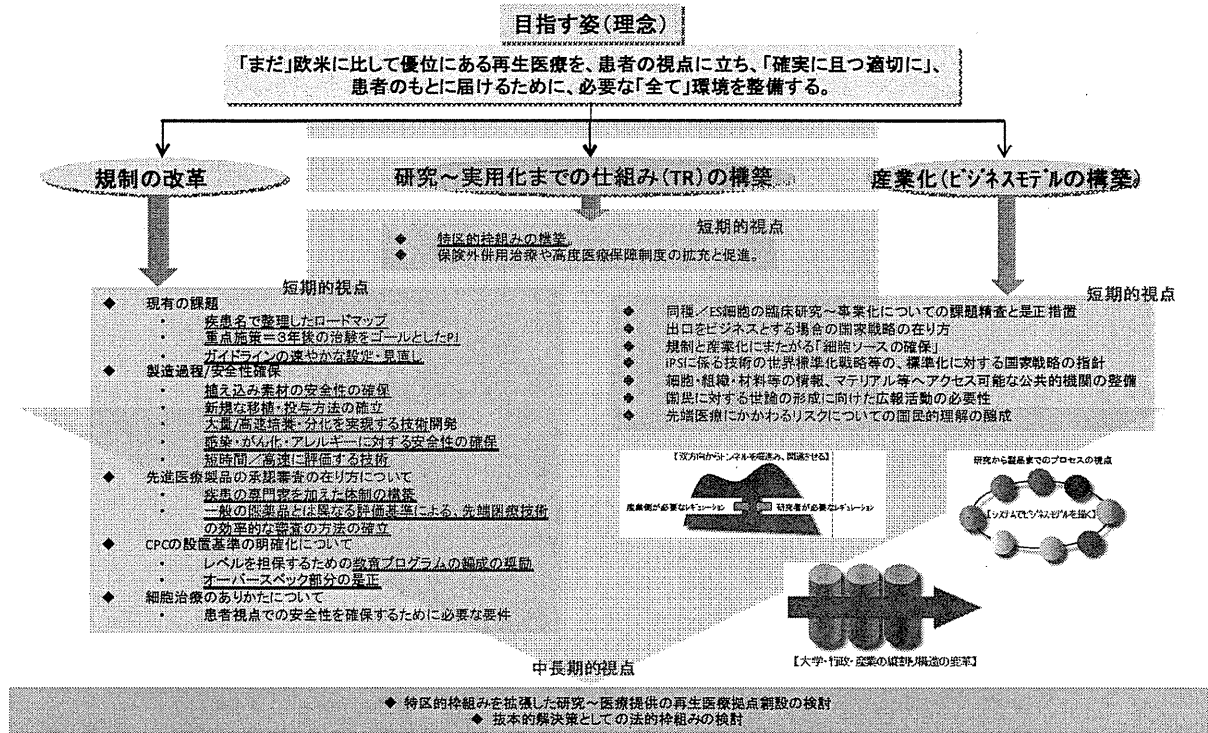
- ◆世界的にiPS細胞の研究が加速する中、幹細胞の操作技術・肝細胞による治療技術の開発を行う研究拠点を整備しています。
- ◆研究用の幹細胞バンクを整備・iPS細胞研究に関する知的財産の管理・運営体制の構築など、研究のバックアップ体制も整えています。
- ◆文部科学省「再生医療の実現化プロジェクト」の主な研究内容
  - ・ヒトiPS細胞の機能解明
  - ・ヒトiPS細胞の複製・培養・移植技術の開発
  - ・iPS細胞から組織を作製する技術の開発
  - ・iPS細胞等を保存するバンクを設置・運営
  - ・iPS細胞研究に関する知的財産の管理・運営体制の構築

出所) JST 資料 (三菱総合研究所作成)

(2) 目指すべき方向性

目指すべき方向性、市場予測等について、図表27～30に示す。

図表27 目指すべき方向性



出所) 医療イノベーション推進室 作成資料

図表28 再生医療事業化のための課題と対応の方向性 (仮説)

項目	課題の内容	考えられる方向性(仮説)	
①利用者	全般的な理解	・ 心筋、臓器への利用等は潜在ニーズ高いが、一方でリスクの面が懸念される可能性	・ 受容性の現状調査と向上方策検討(初期段階に実施すれば行政への働きかけの意味あり)
	費用負担	・ 保険適用される場合の妥当な負担額 ・ 保険適用されない場合の自己負担可能性	・ 自己負担の可能性調査、民間保険活用等公的保険以外での事業化検討
②医療機関	治験実施	・ 希少疾患、多数症例が必要な場合の多くの医療機関への参加働きかけ、(医師・医療機関主導の治験)	・ 関連学会、キーパーソン(医師)への初期段階からの働きかけ ・ 利用者自己負担や先進医療(混合診療)実施での可能性検討
	マーケティング、販売	・ 製品販売時に医療機関、医師が実際に利用するかどうか(保険点数)	
③行政、制度	開発支援	・ 文科省、厚労省、経済産業省のプログラム等活用(その後の承認、保険適用促進の意味あり)	・ 医療特区、TRプログラム等のさらなる活用
	治験実施、その前の承認申請	・ 薬事法やガイドラインでのルールが不明確、基準変更等の可能性で時間がかかる可能性	・ 海外や国内先進事例のベンチマーク規制主体への働きかけ
	製造販売承認	・ 同上	
	保険適用	・ 公的保険適用がされるか、対象疾患や利用上限の設定、診療報酬・薬価が十分つか	・ ロビー活動、キーパーソン(医師)への働きかけ、医療機関・医師のインセンティブ確保方策検討
④開発、事業化	特許	・ 知財取得、海外を含む医療特許への対応、ライセンス等の条件	・ 特許状況に係る分析、それに基づくアライアンスや技術導入・導出等の検討
	開発、事業化の主体	・ リスクを取りにくい大企業との共同研究や技術移転 ・ ベンチャーでの事業化困難性(経営者、資金調達等)	・ 技術移転、事業化主体の探索、アライアンス
	資金調達	・ 特に費用のかかる治験、製造での資金調達	・ ベンチャーキャピタル、民間ファンド、産業界新機構等への働きかけ
	ビジネスモデル	・ 公的保険が適用されるかどうか ・ 薬事法下でないビジネスモデルの可能性	・ 市場性、事業性の検討 ・ 利用者自己負担型の医療、民間保険の活用等の可能性

出所) 三菱総合研究所作成

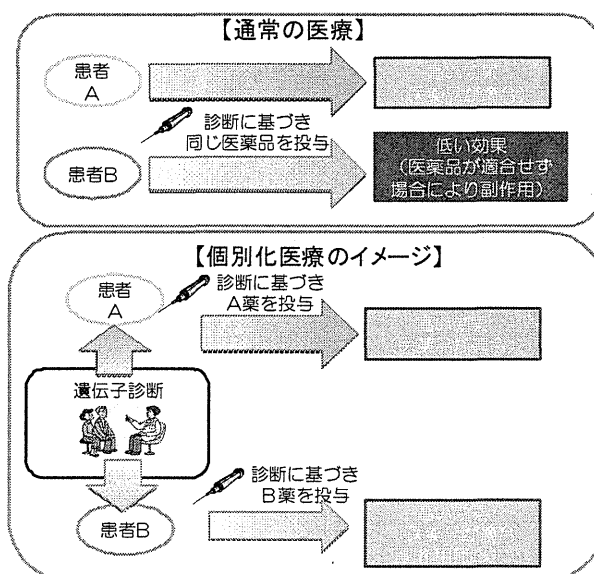


#### 4. 個別化医療（ゲノム医療）の推進

##### (1) 現状と課題

遺伝子多型解析技術、診断に利用するバイオチップ技術等の活用により、患者のタイプに応じて投薬を行う個別化医療が実現しつつある。個別化医療は、患者における医薬品の有効性と安全性を最適化するのみでなく、無駄な投薬を無くすという意味もある。

図表 3 1 通常の医療と個別化医療



出所) 川上浩司 京都大学教授講演資料「再生医療と規制の国際動向」(2007年2月)より作成

個別化医療は、癌を中心として既に多くの医薬品で診断薬とのセットで実用化している。しかし、日本の課題として以下の点があげられる。

- ・ SNP、遺伝子多型解析等の技術開発では国際競争力を有していたが、バイオ系の治療薬、チップを含めた体外診断薬等において、実用化が遅れた。
- ・ 欧米企業に対して日本企業の取り組みは遅れており、また治療薬メーカーと診断薬メーカーの連携も欧米ほど盛んではない。
- ・ 将来の個別化医療を促進するための、次世代DNAシーケンサーの導入、開発において、欧米のみでなく中国や韓国にも遅れる傾向がみられる。

図表 3 2 代表的な個別化医療事例

番号	製品名	対象疾患	有効性/安全性バイオマーカー
1	ハーブチン/タイケルブ	乳がん	HER2
2	グリベック/タシグナ/スプリセル	慢性骨髄性白血病	フィラデルフィア染色体 bcr-abl融合遺伝子
3	グリベック/スーテント	消化管間質腫瘍	c-kit
4	イレッサ/タルセバ	肺がん	EGFR 変異
5	アービタックス/ベクチビックス	結腸・直腸がん	EGFR KRAS 野生型 BRAF 野生型
6	レプリミド	骨髄異形成症候群	染色体5q欠失
7	ベサノイド/トリセノックス/ アムノレイク	急性前骨髄球性白血病	染色体異常[t(15:17)転座 PML/RAR $\alpha$ 融合遺伝子
8	シーエルセントリ(抗HIV薬)	HIV-1感染症	CCR5
9	カンプト、トポテシン(イリノテカン)	結腸・直腸がん、肺がん、卵巣がん他	UGT1A*6 UGT1A*28
10	ワーファリン	血栓塞栓症	VKORC1 CYP2C9*2 CYP2C9*3 Protein C不足
11	イムラン(アザチオプリン)	移植時拒絶反応	TPMT低活性
12	ストラテラ(抗ADHD薬)	注意欠陥/多動性障害	CYP2D6低活性

出所) ファーマ・マーケティング・コンサルタント 井上良一氏作成資料

図表 3 3 個別化医療への参入企業

## 個別化医療への参入企業

### 1. 個別化医療に向けた動きをしている主な企業

Roche(スイス)、Pfizer(米国)、Abbott(米国)、Eli-Lilly(米国)、Novartis(スイス)、Genzyme(米国)、AstraZeneca(英国)、J&J(米国)、BayerSchering(ドイツ)  
Astellas(日本)、KyowaHakko Kirin(日本)

### 2. 個別化医療に向けた診断薬を研究開発している主な企業(シードプランニング調査より、一部改変)

Roche Diagnostics\*(スイス)、Abbott Molecular(米国)、Dako(デンマーク)、DxS(英国、Qiagenが買収)、Agendia(オランダ)、Genomic Health(米国)、InterGenetics(米国)、Biodesix(米国)、BioMosaics(米国)、Source MDx(米国)、Pathwork Diagnostics(米国)、Gen-Probe(米国)、AutoGenomics(米国)、Celera(米国) Third Wave Technologies(米国)、Monogram Biosciences(米国)、Beckman Coulter Genomics(ドイツ)、Nanosphere(米国)、Osmetech Molecular Diagnostics(英国)、Curidium(英国)、Sekisui Medical(日本)、GE Global Research(米国)  
Ventana Medical Systems\*(米国):Rocheが買収。

### 3. 最近の提携事例

Pfizer/Abbott:肺がん薬PF-02341066用診断キットの開発、  
Pfizer/Qiagen:脳腫瘍ワクチンPF04948568用診断キットの開発  
Genentech/Dako:Herceptin胃がん用診断キットの開発  
GSK/Abbott:がんワクチンでMACE-A3抗原診断キットの開発、皮膚がんの分子診断法で提携  
AstraZeneca/Dako:抗がん剤用診断キットについて包括的提携  
Eli Lilly/GE Global Research:がん領域での包括的提携(09/11ニュース)  
Prometheus/BayerSchering:抗がん剤用診断キット開発での包括的提携

出所) ファーマ・マーケティング・コンサルタント 井上良一氏作成資料

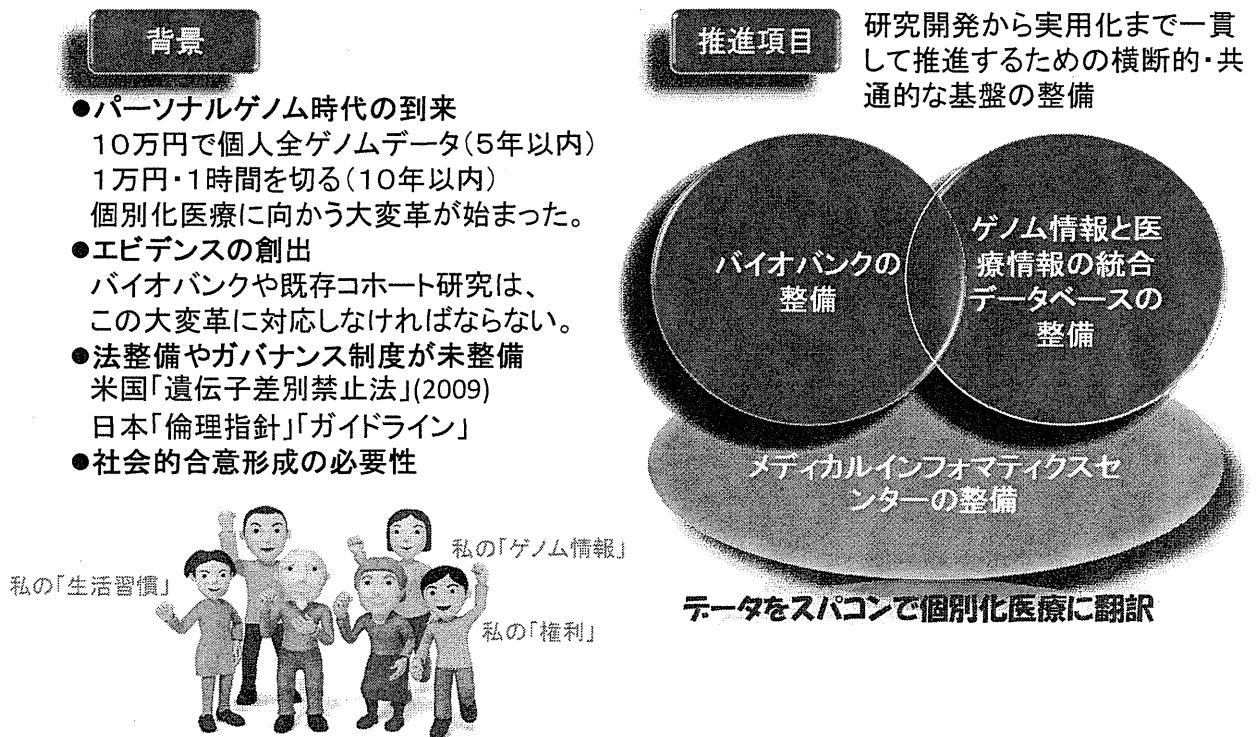
## (2) 目指すべき方向性

5年以内にパーソナルゲノム時代が到来することを想定し、それに対応したバイオバンクやコホートの整備、法律やガバナンス整備、社会的合意形成が必要とされる。

具体的には、以下の項目の推進が必要である。(図表34、35参照)

- ① バイオバンクの整備
- ② ゲノム情報と医療情報の統合データベースの整備
- ③ メディカルインフォマティクスセンターの整備

図表34 個別化医療推進のための取り組みについて



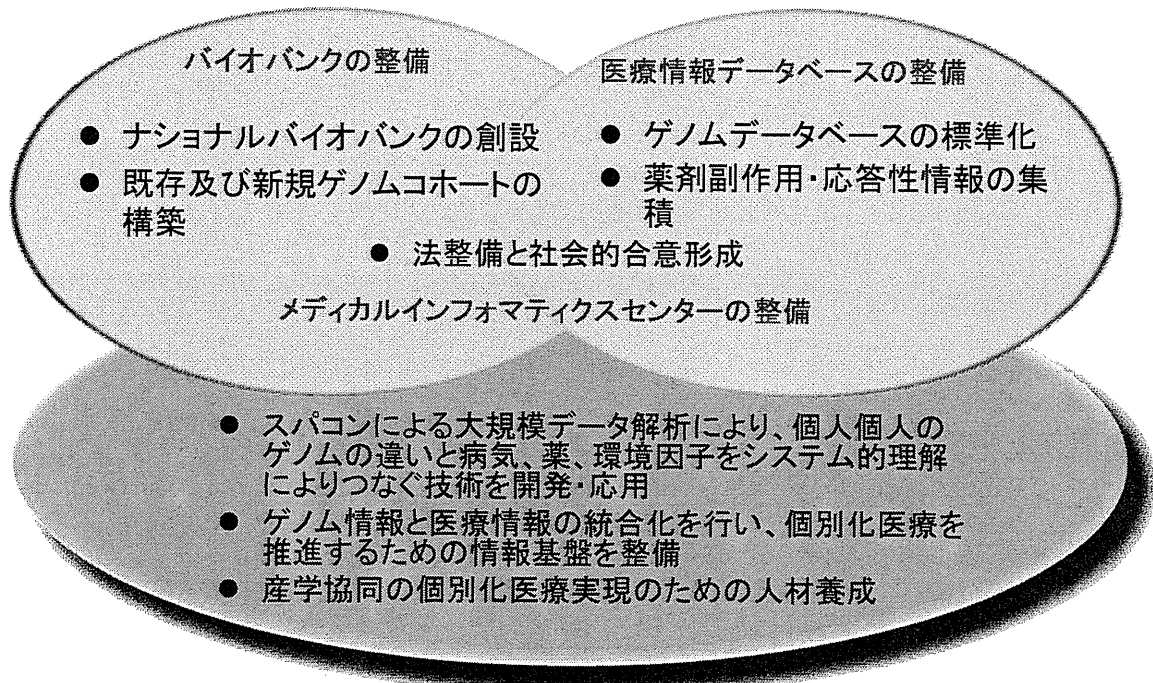
出所) 医療イノベーション推進室 作成資料

産業面でも2015年には、医療用医薬品市場の12~13%を占めるようになるとの見方がある。

個別化医療産業促進のためには、医薬品開発時からのバイオマーカー検討、治療薬とセットで利用される診断薬開発が必要になる。



図表 3 5 個別化医療推進力



1

出所) 医療イノベーション推進室 作成資料

図表 3 6 個別化医療 3 年、5 年、10 年

- 超高速シーケンサー技術の登場(6カ月で倍の性能。ムーアの法則以上)  
1万円・1時間でパーソナルゲノム
- スパコンと大規模ストレージが不可欠のインフラ  
シーケンスが1時間でできても、その情報解析に1月かかっている意味がない
- 3年 個別化医療への準備  
数千人規模のヒトゲノム情報の整備と解析
- 5年 エビデンスの創出  
数十万人規模のヒトゲノム情報に対応
- 10年 国民への還元  
国民ひとりひとりのためのゲノム情報利用

“個人のゲノム情報と医療情報が使える「スマートフォン」が登場”  
⇒ 予防医療、新たな医療サービス市場

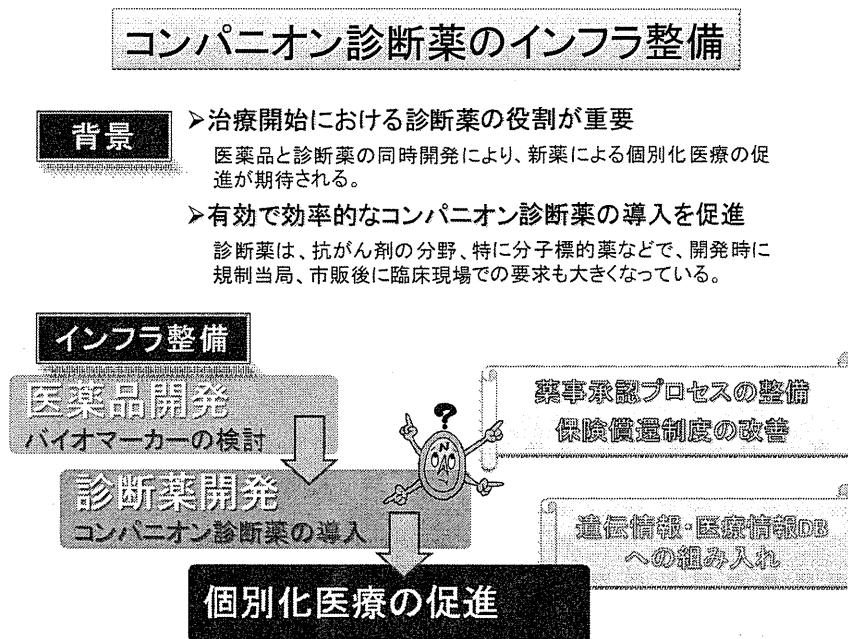
出所) 医療イノベーション推進室 作成資料

図表 3 7 個別化医療の今後についての見方

1. 個別化医療の市場は今後先進国市場での最急成長市場であり、2015年には医療用医薬品市場に対して約12~13%を占めるようになる。
2. 個別化医療に参入する企業は成長し、そうでない企業は別の成長セグメント(ワクチンなど)を見出し、そこで成長しない限り、その成長は限定されたものになる。
3. 個別化医療とジェネリック事業の中間地帯にいる企業群は市場での足場が無くなり淘汰される。  
(中間地帯:肥満症、高血圧症、高脂血症、糖尿病、消化器潰瘍、アレルギー性鼻炎、喘息、COPD、排尿障害、過活動膀胱、過敏性腸症候群、表在性真菌症、骨粗しょう症など治療満足度の高いマス市場での改良品)
4. コンパニオン診断薬の価値は上昇し、その評価技術の進歩を含めて、再評価される。対応して政府の同薬価方針も改定される。
5. 診断薬、特に分子診断薬の市場規模は拡大し、高成長を示す。
6. 医薬メーカーによる診断薬メーカーの買収、または両者間の個別提携が進行して行く。
7. ゲノム科学の進歩により、標的分子、つまりバイオマーカーはつきることなく発見され、対応して抗体医薬、分子標的薬、コンパニオン診断薬は創出される。
8. 医薬メーカーはバイオマーカーによって選択された小数例でPOC試験で新薬としてのメドが立つ。開発のスピードは上がり、費用も節約できる。
9. 個別化医療推進MRチームが組織される。
10. 医療そのものは明確な診断・治療アルゴリズムを伴う標準化治療となる。(ベストのエビデンスにもとづく治療) 診断における病理医の役割は増大する。
11. 患者のQALYはさらに大きく増大し、天寿がん状態に達する。がんは慢性疾患となる。
12. 関連医学会と関連患者団体が協力し合い、医療の進歩を促す。新医療技術情報は直接関連学会から関連患者団体に流れる仕組みができる。
13. 英国NICEのように創薬をはじめ医療上の各種イノベーションを評価する仕組みが確立してくる。
14. この結果個別化医療の対象とするがん、自己免疫疾患、遺伝性難病などはアンメット・メディカル・ニーズの高さから医療保険上からは最重要視されるし、イノベーションに見合った高薬価が保障される。
15. しかし、効かない例は支払い者が支払わず、メーカー負担となり得る。副作用例では損害賠償が精求されるようになる。
16. 新興国の富裕層は個別化医療の対象市場である。

出所) ファーマ・マーケティング・コンサルタント 井上良一氏作成資料

図表 3 8 個別化医療に必要なコンパニオン診断薬のインフラ整備



出所) 個別化医療 WT 第2回検討資料 内藤 真策、劉 世玉 (製薬協) 作成資料



## 5. 知財戦略

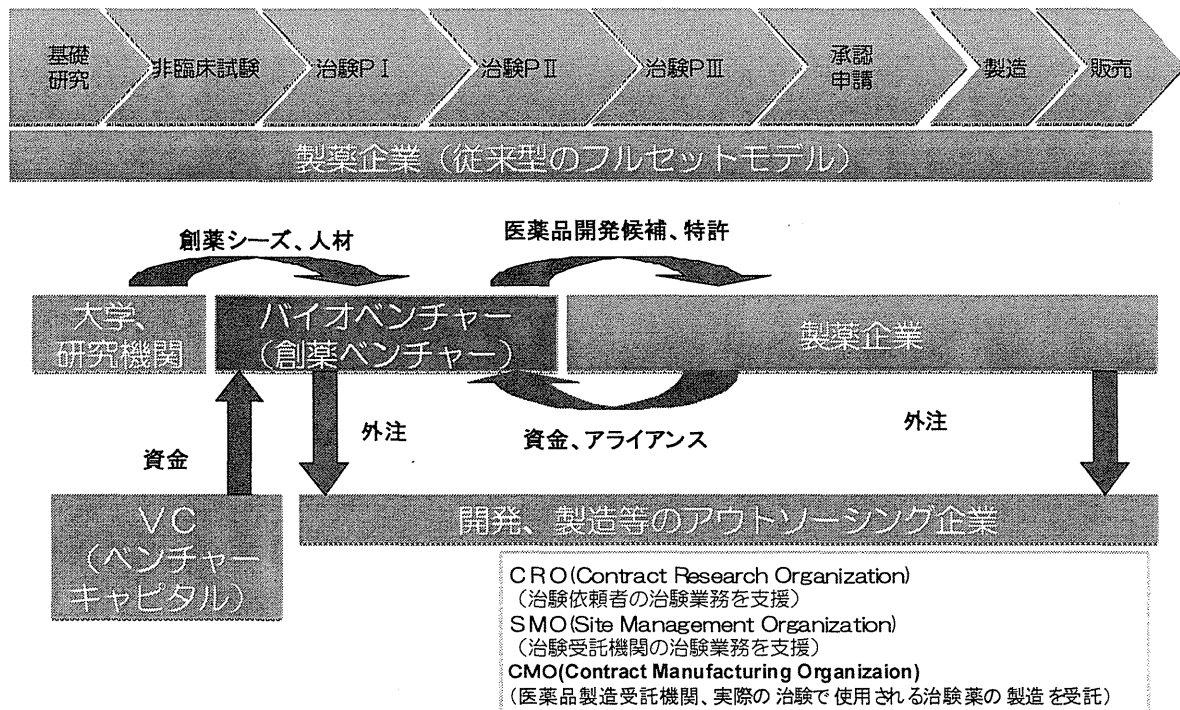
### (1) 現状と課題

#### ①産学連携と大学発特許の重要性の高まり

医薬品を中心としたライフサイエンス分野では、以下のような理由から大学発の特許、それを活用したシーズの重要性が高まっている。

- ・ 製薬企業等の内部のみでの開発の限界（費用、期間、成功確率、人材）
- ・ 大学発のシーズ、特許を製薬企業等につなげるバイオベンチャーの増加
- ・ 産学連携に係る制度、組織の進展（TLO、知的財産本部）

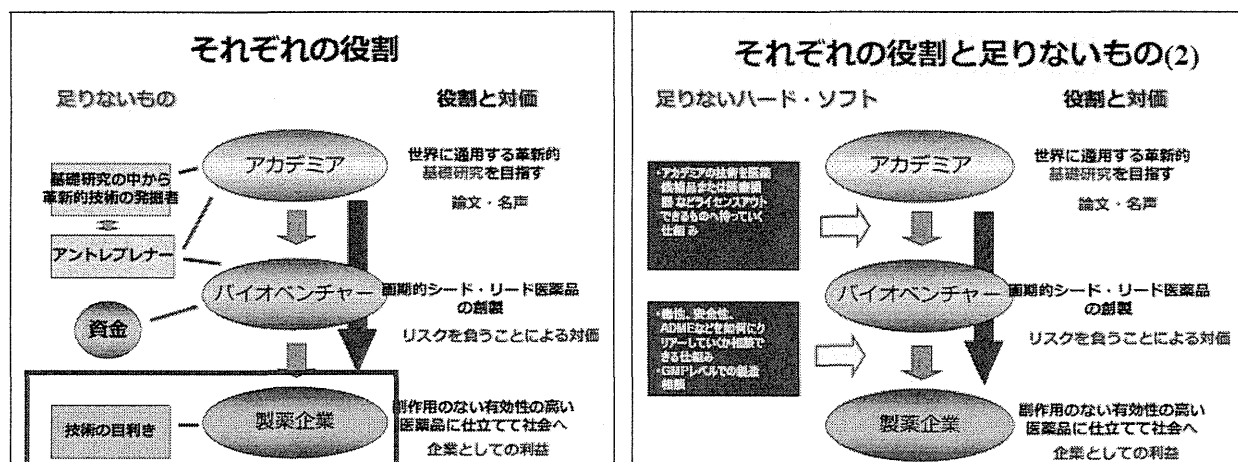
図表 3 9 医薬品開発における大学、バイオベンチャー等の位置づけ



出所) バイオイノベーション研究会資料を利用して三菱総合研究所作成

大学、バイオベンチャー、製薬企業（ライフサイエンス企業）は、各々の役割を果たすことにより、医薬品等の製品を開発・上市するに至るオープン・イノベーションモデルが、米国等で成功を収め、日本でも同様のモデルが築かれつつある。

図表 4 0 大学、バイオベンチャー、製薬企業の果たす役割



出所) 塩野義製薬(株) 医薬開発本部 戦略企画部門 坂田恒昭氏作成資料

## ②大学等の特許収支と日米の相違

日本の大学における特許出願経費は約 25 億円(医療、ライフサイエンス以外を含む)であるが、収入は約 10 億円(ライセンス約 6.9 億円、譲渡約 3.0 億円)にすぎず、収支は大幅な赤字になっている。

米国と比較した場合、米国の大学の特許収入は 2,000 億円以上であり、日本の 100 倍以上あることになる。

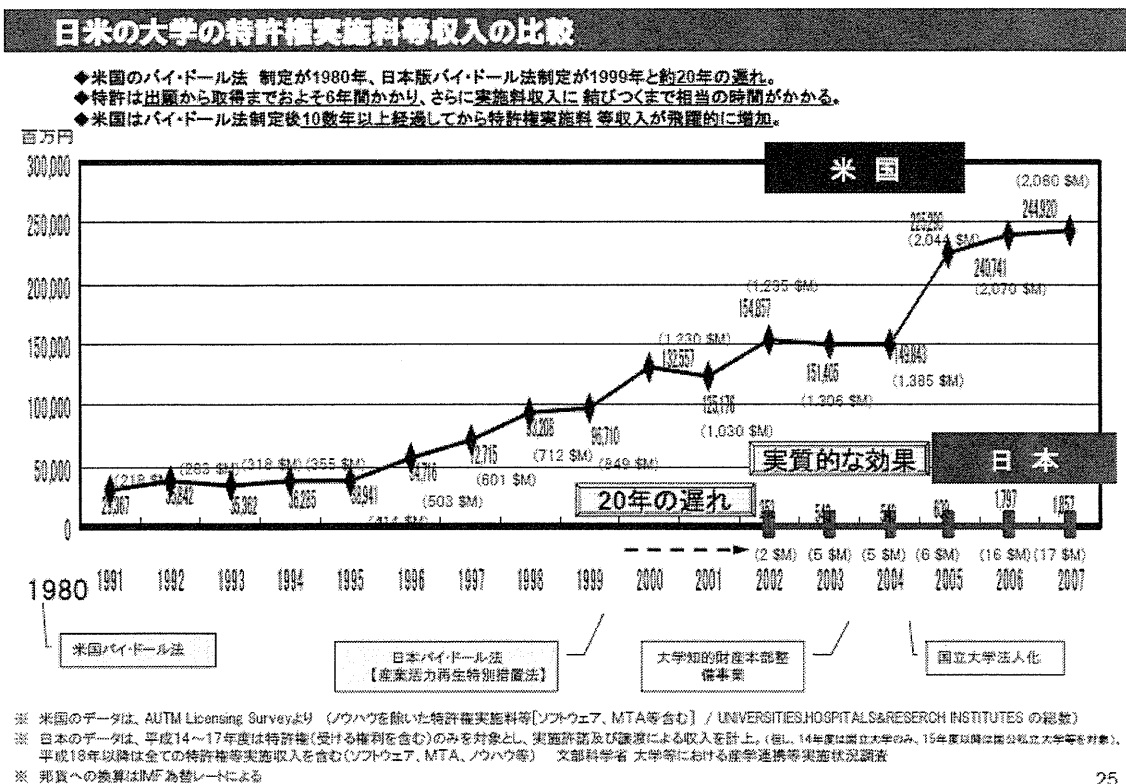
この要因としては、以下の点を挙げる事ができる。

- ・ バイドール法等の法律や産学連携制度の整備の遅れ(20年程度)
- ・ 遺伝子組換え特許のように、広範に利用され多額の収入を得る基本特許が日本では少ないこと(特許1件あたりの大学における収入の少なさ)
- ・ 大学等の特許に対して、ベンチャー企業等は対価を支払うことが困難
- ・ 大学等の特許を評価し、流通させる企業や組織、そのための人材、資金の不足
- ・ 大学が出願する特許が、企業の事業化に適する形で取得されていないこと

海外特に米国では、これらの点について考慮された仕組みや組織、それを担う人材や資金があるが、日本ではそれが不足しているという現実がある。

米国の技術移転・特許流通市場は 2002 年で 470 億ドル(5.2 兆円)あるのに対し、日本は民間仲介業者の取り扱いが 19 億円、自治体や国の 133 億円を含めても 152 億円で、米国とは大きな相違がある。

図表 4 1 日米の大学の特許権実施料等収入の比較



25

出所) 大学等の特許の 戦略的活用に関する 参考資料 科学技術・学術審議会技術・研究基盤部  
 会 産学官連携推進委員会産学官連携基本戦略小委員会 (第4回) H22.6.10

図表 4 2 技術移転、特許関連の日米の状況 (上: 米国、下: 日本)

**技術移転・特許流通市場の規模**

民間仲介業者の扱った取引額は470億ドル<sup>※1</sup> (2002年度推計値)  
 (ライセンス取引業者の収入(165億ドル<sup>※2</sup>)及び取引額の成功報酬(35%<sup>※3</sup>)から推計)

**仲介業者の例<sup>※1</sup>**

事業者名	サービス内容
IP Capital Group	IBMをはじめ幅広い業種の企業と460件以上もの知的財産契約を締結し仲介手数料を得ている。
Ocean Tomo LLC	知財評価及び流通オークションのサービスを提供。2007年4月に開催された公開ライブオークションでは総落札額1100万ドル(約12億円)。
Intellectual Ventures	外部からの調達も含め、顧客企業の事業の防衛のための特許群の形成(特許ポートフォリオ形成)や活用等を実施。

※1 (資料) 株式会社ニッポンテクニカルサービス「米国の技術移転市場に関する調査研究報告書」平成19年6月  
 ※2 (資料) 米国商務省国勢調査局「経済統計」2002年  
 ※3 Patent Solutions社のインタビュー結果を参考としている。

出所) オープン・イノベーションと知的財産を巡る現状等について 2008年2月5日  
 知的財産戦略本部 知的財産による競争力強化専門調査会

③大学発の特許をベンチャー等に技術移転する仕組み検討の必要性

大学、独立行政法人の研究開発成果を事業化する方法は、特許権等をライセンスし、対価を現金で受け取る手法が一般的であるが、事業化前の企業にとって、現金で対価を支払うことが困難であるという問題があり、他の事業化モデルの検討も必要である。

現状では国立大学はライセンス対価として現金に代えて株式・新株予約権の受入が可能だが、新株予約権の行使が出来ない。独立行政法人は受入も明示的には可能とされていない。

大学発特許の譲渡・ライセンス手法についても、検討の余地がある。

米国スタンフォード大学はライセンス対価として株式を取得し、巨額の収入を得た。これらの収入は用途を大学が決めることができるため、自由な研究活動を支える重要な役割を果たしている。

図表 4 3 大学発特許の譲渡・ライセンス手法の比較

	通常実施権	独占的通常実施権	専用実施権	譲渡
独占性	なし	あり	あり	あり
侵害防止	ライセンサー企業は差し止め請求ができない。 ライセンサーである独法・大学が行う必要がある。	ライセンサー企業が差し止め請求を行うことができる。	ライセンサー企業が差し止め請求を行うことができる。	譲渡先企業が差し止め請求を行うことが可能。
知財の維持管理費用	ライセンサーである独法・大学が負担。(運営費交付金による負担もポリシーにより可能)			譲渡先企業が負担 資産として 8 年で償却する必要
利益還元			将来の売上に対する料率設定などが可能	適切な譲渡価格の設定が困難
企業の利便性	クロスライセンス、M&A、事業譲渡の際にライセンサーである独法・大学の了解が必要。権利の安定性や事業展開の自由度が低く、融資・出資も受けにくい。	クロスライセンス、M&A、事業譲渡の際にライセンサーである独法・大学の了解が必要。権利の安定性や事業展開の自由度が低い。通常実施権よりは融資・出資は受けやすい。	クロスライセンス、M&A、事業譲渡の際にライセンサーである独法・大学の了解が必要。権利の安定性や事業展開の自由度が低い。通常実施権よりは融資・出資は受けやすい。	自由に取扱うことができる。
独法・大学側の意図反映				譲渡後は意図が及ばない。そのため、実施されない場合、放棄される場合、希望しない相手へ譲渡される場合が生じうる。
研究の制約となる可能性	なし。特許権者である独法・大学自身も実施権を持つため、問題が生じ得ない。		大学・独法は実施権がなくなるため、試験または研究を例外とする特許権行使の解釈によっては、独法・大学の研究活動を阻害する可能性がある。	

出所) 三菱総合研究所作成

図表 4 4 大学がライセンス対価として株式等を受け取る場合のメリット、デメリット

	メリット	デメリット
独立行政法人・大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>・上場された場合には株式売却で大きな収入が得られる。</li> <li>・【株式の場合】配当収入が期待できる。</li> <li>・【株式の場合】実用化が必要な技術の事業化を経営参加権の行使で促すことができる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・上場しない場合、十分な収入が得られない可能性がある。</li> <li>・現金化の際にインサイダー取引を回避する配慮が必要となるなど、利益相反の管理が必要となる。</li> </ul>
企業	<ul style="list-style-type: none"> <li>・現金支出を避けることができる。</li> <li>・【株式の場合】独法、大学が株主であることによって信用が得られる。</li> </ul>	(特になし)
ベンチャー企業への金銭による出資を行う場合(上記への追加)	<ul style="list-style-type: none"> <li>・事業化資金が得られる(企業)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・出資先の管理、投資判断が必要である。</li> <li>・独立行政法人・大学として本来求められている機能を超える可能性がある。</li> </ul>

出所) 三菱総合研究所作成

## (2) 目指すべき方向性

### ①大学発の特許等を生かす仕組み、組織、ファンド、人材等の必要性

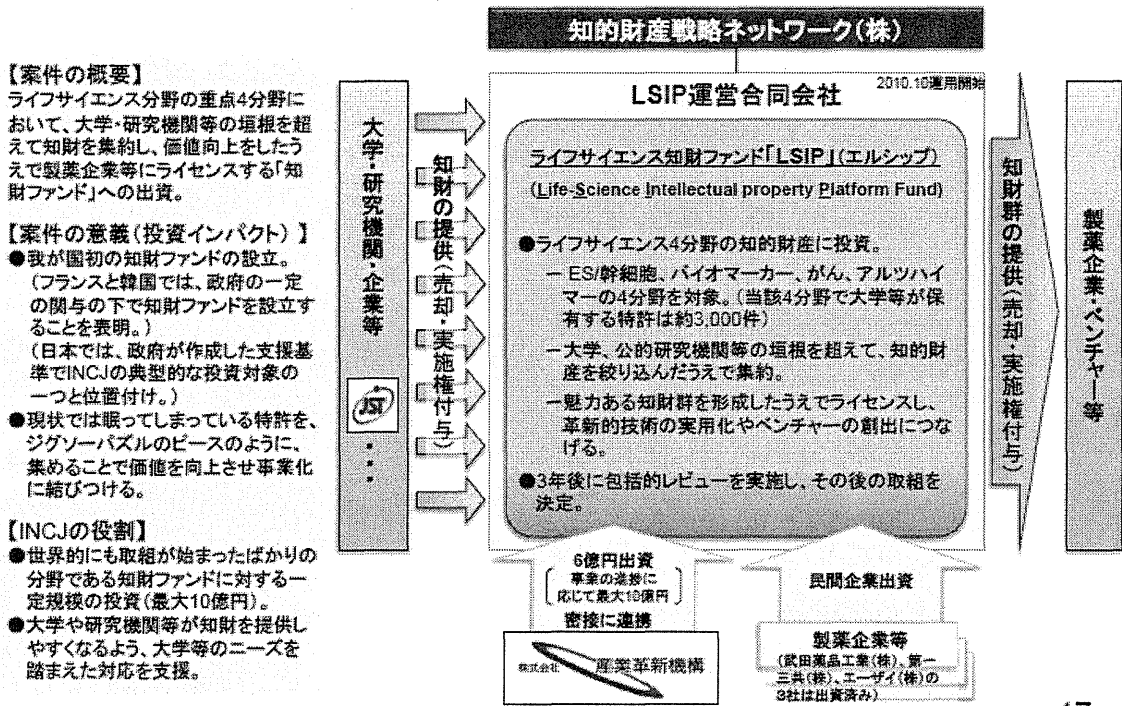
米国では特許やそれ以前のアイデアに対するファンドが海外で形成され、日本を対象とした投資がなされ、日本の特許やアイデアが海外に流出する懸念も高まっている。

(インテレクチャルベンチャーズ)

このような状況に対応して、特許やアイデアの流通、活用に係わる資金的支援、税制優遇等の制度整備を行うことが重要である。

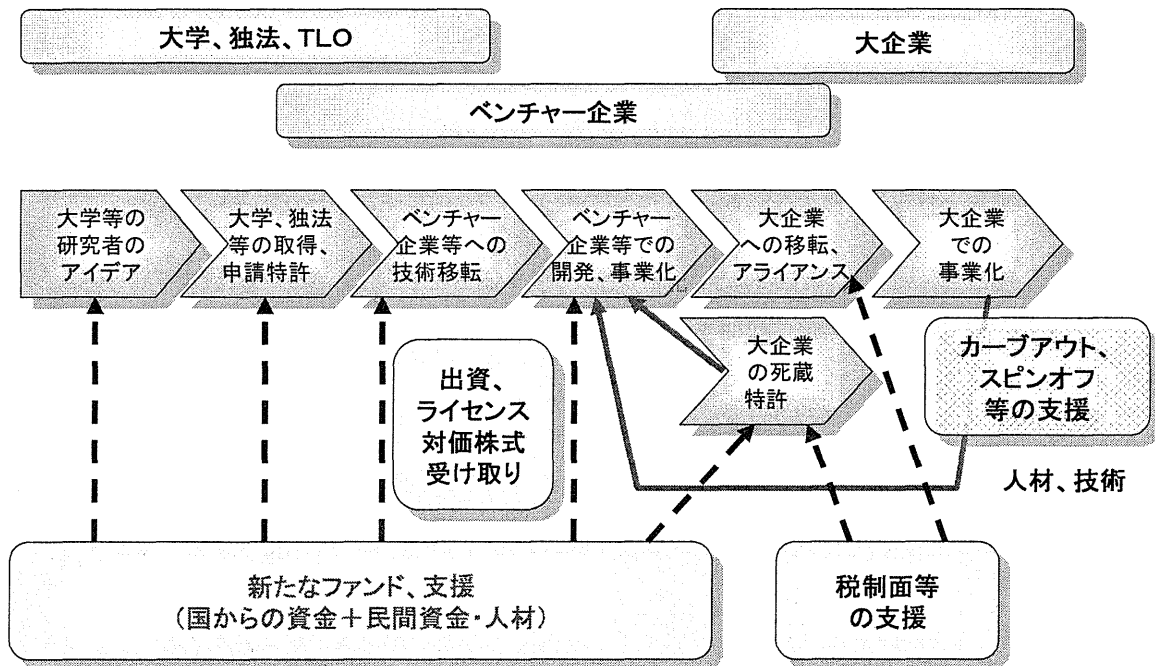
既に国による産業革新機構によるファンドが創成されているが、大学の特許や技術の活用、研究開発ベンチャーの再生、大企業の死蔵特許等に対するファンド創成や活用の仕組みが必要と考えられる。

図表 4 5 産業革新機構による知財ファンドの概要



出所) 産業革新機構資料

図表 4 6 知的財産や技術に対するファンドを中心とした支援のしくみ担い手



出所) 三菱総合研究所作成



## 6. レギュラトリーサイエンスのあり方

### (1) 現状と課題

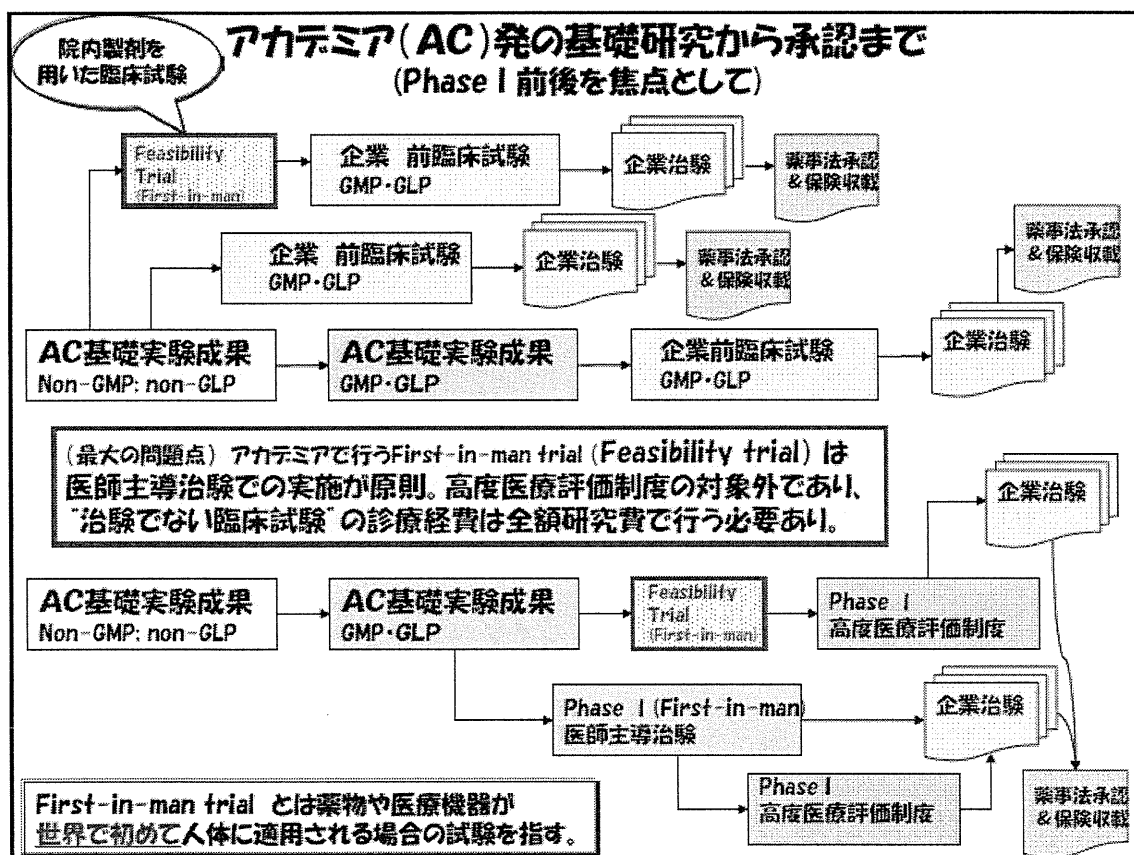
海外の制度と日本の制度を比較して、以下のような課題が存在する。

#### ①第 I 相試験関連（ファースト・イン・マン試験、Research IND）

高度医療評価制度において、ファースト・イン・マン試験は現行規定では対象外とされている。ファースト・イン・マン試験が認められれば、これまでアカデミアで行われてきた品質担保のない数例から十例程度の被験者を対象とするフィージビリティ・トライアルの質が向上し、ベンチャー企業や大手製薬企業とアカデミアの臨床早期段階でのリスク分担につながると考えられる。

ファーストインマン試験は、治験以外の臨床試験であったとしても、GMP規準の製剤を用意しICH M3あるいはICH S9準拠の前臨床試験（毒性試験）を行うことが試験前に必須であり多額の経費が必要となる

図表 4 7 アカデミア発の基礎研究から承認まで



出所) 高度医療評価制度におけるファーストインマン試験について

国立がん研究センター中央病院 藤原康弘先生 作成資料

米国では2006年よりCTSAという研究費の枠組みを設けて、医療機関における橋渡し研究（早期臨床開発（Phase 0/I 試験を含む））を推進している。CTSA は、2006年夏より1医療機関あたり約7億円/年5年間の資金提供プログラムとしてスタートした。

図表48 米国のCTSA

## Clinical and Translational Science Award

米国では、臨床研究とトランスレーショナルリサーチの実施基盤整備（研究の下支え）を目的として、  
**2006年夏より1医療機関あたり 約7億円/年 5年間の資金提供プログラム(CTSA)をスタートした。**

The screenshot shows the CTSA website interface. At the top, it reads "CTSA Clinical and Translational Science Awards" and "A consortium of institutions linking basic, clinical and translational research to bring effective strategies and treatments into medical practice more rapidly." Below this, there is a navigation menu and a list of participating institutions including Columbia University, Duke University, Mayo Clinic, etc. The main content area features a "SOUNDING BOARD" section with the title "Translational and Clinical Science — Time for a New Vision" by Elise A. Zerhouni, M.D. The quote states: "It is the responsibility of those of us involved in today's biomedical research enterprise to translate the remarkable scientific innovations we are witnessing into health gains for the nation. In order to address this imperative, we at the National Institutes of Health (NIH) asked ourselves: What novel... paramount among the NIH's immediate responsibilities... NEJM Oct 13, 2005... Translational and clinical research are core components of a full-spectrum biomedical research en..." The URL <http://ctsaweb.org/> is provided at the bottom left.

出所) 高度医療評価制度におけるファーストインマン試験について  
 国立がん研究センター中央病院 藤原康弘先生 作成資料

さらに米国のライフサイエンスの活力は、Research IND (Non-Commercial IND) と呼ばれる日本の治験届けとは異なる届け出しシステムの存在で保たれている。この制度の導入も検討すべきと考えられる。

図表 4 9 Research IND (Non-Commercial IND) について

CDER ORIGINAL INDs RECEIVED  
CALENDAR YEARS 1986 - 2008

Calendar Year	Commercial	Non-Commercial	Total
1986	332	1286	1618
1987	311	994	1305
1988	371	929	1300
1989	310	1004	1314
1990	382	1123	1505

**米国FDA (CDER) では、  
日本の治験届けに相当するCommercial INDより  
研究者が独自に提出する(日本の高度医療評価制度下での臨床試験もこちらに相当)  
Non-commercial IND (Research IND)の方が多**

2000	410	974	1384
2001	409	995	1404
2002	417	1338	1755
2003	391	972	1363
2004*	621	1216	1837
2005*	637	1297	1934
2006*	713	1150	1863
2007*	779	1810	2589
2008*	883	1156	2039

\* Includes INDs for Therapeutic Biologic Products transferred from CBER to CDER

出所) 高度医療評価制度におけるファーストインマン試験について

国立がん研究センター中央病院 藤原康弘先生 作成資料

②承認後の適応外薬、未承認薬の臨床研究

適応外使用は、薬事法上の既承認医療用医薬品について、承認されている効能・効果あるいは用法・用量以外で使用されている場合である。

米国では、適応外使用については、世界的に認知されている学術雑誌に掲載された治験以外の臨床試験成績にもとづいて、保険での薬剤費償還の判断がなされる。

この背景には、米国 FDA の承認した効能・効果には、診療ガイドライン的な、詳細な記載があり、治験以外の臨床試験成績を比較的リアルタイムに反映しやすいという面がある。EU 全体でも、フランスを始めとして、“例外的使用”を制度化する動きがみられる。

一方、日本の厚生労働省の承認した効能・効果は、簡潔な記載であり、保険診療と承認は 1:1 対応する一方、治験以外の臨床試験は反映されない。

日本の抗がん剤等におけるドラッグラグの問題は、この点の課題に起因すると考えられ、その課題解決が必要とされる。具体的には内外のエビデンスに基づく適正使用であれば、適応外使用であっても認められるべきと考えられる。

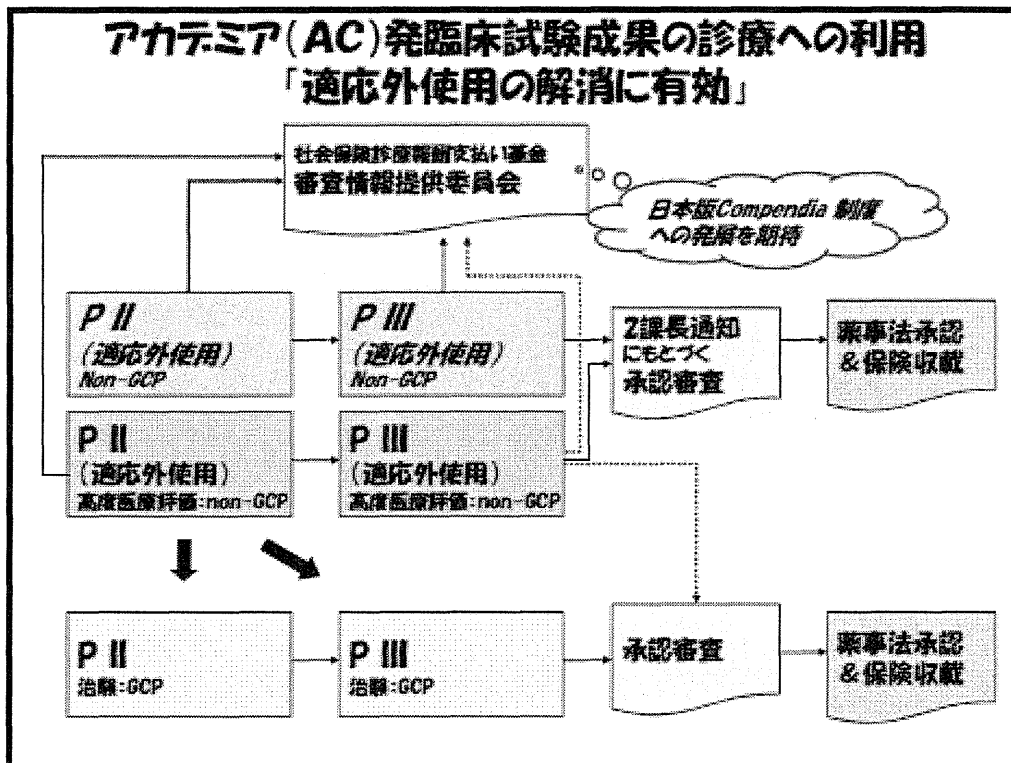
また、日本では完全 GCP 対応の臨床試験 (治験) のみが未承認薬の提供機会として公

的に設けられているのに対して、米国では様々なタイプの未承認薬使用制度（IND 届け）がある。

また、欧米では、臨床試験にかかる診療経費の一部を医療保険でカバーしている。一方、日本では、日常診療では、適応外使用のように、医師による査定の制度をうまく利用して研究的診療の許容がなされている。しかし、いざ研究的診療を臨床試験として実施しようとすると、保険診療でカバーできない。

日本でも高度医療評価制度下あるいは臨床研究に関する倫理指針のもとで、医師主導臨床試験で、その結果が学術論文となり、世界的に評価の定まった学術雑誌に掲載されれば、当該論文をもって薬事法承認につながるようにすることが望まれる。

図表 5 0 アカデミア発の臨床試験成果の診療への応用



出所) 希少疾病医薬品の開発促進と臨床現場 国立がん研究センター中央病院 藤原康弘先生

(2) 目指すべき方向性

イノベーションから承認までの現状と将来像は、図表に示すとおりである。

図表5-1 イノベーションから承認までの現状（上）と将来像（下）

