

である。外部とは、大学等研究機関であり、創薬系ベンチャーである。トランスレーショナルリサーチでの課題の一つは、大学等研究機関に埋もれているシーズの発掘と我が国製薬企業へのマッチングであり、より投資リスクを小さくするためには創薬系ベンチャーを我が国で育成することと考える。創薬系ベンチャーが外部から求められるには、知財から CIM まで確固たるパッケージングが必須であり、研究開発コスト・リスクの低減のためには、PMDA などによる最初期からの相談制度等の充実が必要となる。これら創薬シーズを、製薬企業等が引き続き開発を進めるに当たっては、特に非臨床試験にあって段階ごとでの希求事項の整理・明確化が求められる。薬剤の開発にあって、安全性を評価する First-in-Man においてさえ、基材の配合まで固定することを求めるのは、不合理であり、FDA でさえそこまでは求めていない。

医療機器開発・再生医療製品開発は、早期から開発の「現場」を必要としているという点で開発ステップが類似している。また、開発の途上、あるいは臨床利用されていても改善改良の余地があり、そうすることが患者の利益になるかもしれない、という点でもである。

既承認医療機器領域での改善改良に関しては、これまでもいわゆる 510k 問題として議論されてきた。今後この課題について議論し、我が国医療産業にとって、どのような規制としてあるべきなのか、議論する必要がある。加えて、治験中の医療機器についても同様のことが言える。単純に 510k 問題と同一に論じることはできないが、承認前に改善改良が試みられるようなシステ

ムがあることが望ましい。現行の法令等規制制度を鑑みるに、高度医療評価制度（第3項先進医療）の発展的活用がその手法として活用できるかもしれない。現状では、高度医療評価制度が、国外で承認されたあるいは未承認の機器を、薬事法外で行う「逃げ道」として活用されている、という危機感がある。高度医療評価制度は臨床研究の一環なのであるから、改善改良があるなら高度医療評価制度（臨床研究）を利用し、そののち治験へという誘導をすべきであろう。加えて、医療機器などの「並行輸入」としての実質的な販売も、副作用被害等国民福祉を守るという観点から、規制を検討されるべきである。惜しむらくは、我が国の医療機器産業が高度医療評価制度を活用しきれず、欧米の物まねとしての臨床研究が大学等研究機関において行われているのは国富の流出であり、新たな輸出産業を育成するというトランスレーショナルリサーチ、ひいてはイノベーションの本来の姿に反するものである。

再生医療あるいは細胞治療領域をみると、前章でも述べたように、薬事法トラックと医療法・医師法トラックでの出口への模索と、これら2つのトラックを結び付ける高度医療評価制度がある。これまでも議論されてきたことであるが、薬事法は低分子化合物を射程にいれて構築された法であるため、細胞医薬品医療機器を規制するにはふさわしくないのではないか、という議論である。医療機器についても同様の議論はあり、たしかにドイツにおいて薬事法は医薬品法と医療機器法に分けられている。新規立法をするなら、むしろ医療機器法を策定するほうが先なのかもしれないと想定して

いる。低分子医薬品に関しては、薬事法という法律が必要とされる以前から医薬品は存在し、その有効性・安全性・品質を規制する必要が生じたからである。一方で、再生医療製剤あるいは細胞医薬品は、上市されたケースが少なく、どのような法体系にすれば適正に医療として提供できるか不明であるという点に、新たな立法の困難さがある。法は、規制による公衆衛生の担保という側面を強く有するため、規制の必要がなければ新規立法はむしろ研究開発の阻害になりかねない。法は、現在の課題を解決するために立法される場合が多く、未来を想像して立法を行うのは困難であるからである。たしかに、再生医療製剤あるいは細胞医薬品の規制の基準が明確でなく、研究開発の促進には働いていなかったことは認めざるを得ない。とすれば、再生医療製剤あるいは細胞医薬品にかかる規制科学を、国家として実施し、新たに策定された基準を国際標準とするように展開することで、再生医療産業は新たな輸出産業として国富の蓄積に寄与するものである。一方で、医療産業を活性化するには、医事法制度上の問題として、医師の裁量権のコントロールの必要性が生じる。医師の裁量という名のもと、倫理問題と科学的合理性の明確でない「細胞治療」が蔓延していることに危機感を持つべきであり、この点に関しては、法的な手当てが必要となろう。また、「院内製剤」にかかる法的位置づけが不十分であ

るという認識を持っており、薬事法上の明確な位置づけが必要となるかもしれない。

ヒト幹細胞臨床研究の審査を行っている経験から、いくつかの課題を述べたい。医師の裁量の名の下自由診療として行われている多くの細胞治療では何ら規制がないため、科学的に有効性・安全性・品質が担保されていない治療が蔓延している。一方で、大学等で実施される臨床研究にあっては、二重審査が実質的に行われており、基準に差がありすぎるという意見もあり、「正直者がばかを見ない」制度設計は必要となろう。実際、名古屋大学でヒト幹細胞臨床研究指針に反して臨床研究が実施されたという事例もあり、基準が厳しすぎるからだとの議論もあった。培養と非培養で基準に違いがありすぎるという、課題もある。非培養は安全だという議論に科学的根拠はなく、基準を策定するにあたっては、十分な科学的検証が必要となろう。

D. 考察と結論

今般、トランスレーショナルリサーチに期待されることは、新たな知見の蓄積を目的とした科学技術研究の推進のみならず、これまで我が国で創出されてきた科学知見（価値）の融合による、新たな価値の創造を目指し、我が国の持続的成長が可能な社会の構築に寄与することにある。トランスレーショナルリサーチのあるべき姿と実践する人材の育成こそ、喫緊の課題である。

Ⅲ. 研究成果の刊行に関する一覧表

研究成果の刊行に関する一覧表

書籍：該当なし

著者氏名	論文タイトル名	書籍全体の 編集者名	書 籍 名	出版社名	出版地	出版年	ページ

雑誌：該当なし

発表者氏名	論文タイトル名	発表誌名	巻号	ページ	出版年

