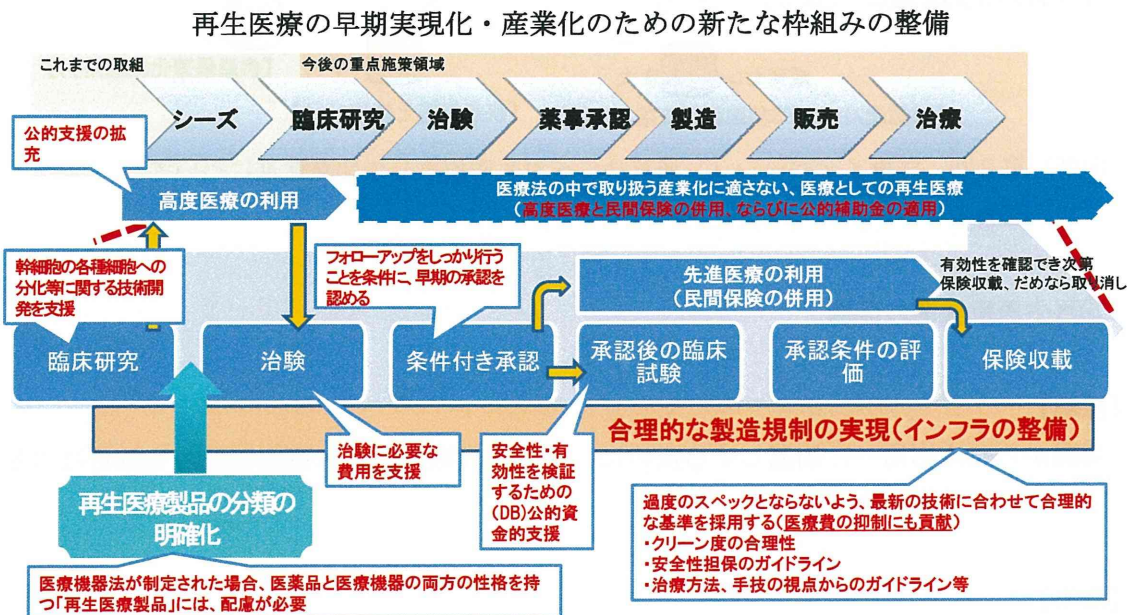


⑥再生医療の早期実現化・産業化のための新たな枠組みの整備

再生医療製品の申請から承認までの時間を短縮し、また研究や製造にかかるコストを低減するため、資金支援と規制緩和が一体となった新たな枠組みの整備が必要である。また、関係省庁の連携により成功事例を創出する。



出所) 第2回 医療イノベーション研究会 ～再生医療製品の開発促進について～
医療イノベーション推進室資料

以下の視点を重視する必要がある。

◆ 適切な規制の視点

- 再生医療製品の特性を踏まえ、医薬品や医療機器とは異なるカテゴリーに位置づけるなど適切な規制の考え方が必要
 - ・ 例えば、心筋シートは医薬品のように製造し、医療機器のように患者に届け、医薬品のように効能を発揮するため、医薬品 or 医療機器といった一律の分類にはなじまない

◆ 産業振興の視点

- 再生医療を実現するための、周辺装置やサービスまで含めた産業振興の視点を盛り込んだ、法的枠組みの整備が必要

4) 参考資料

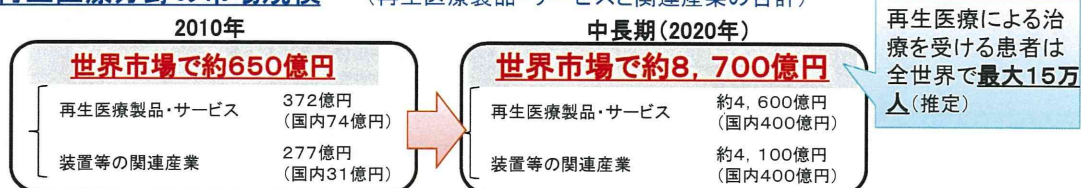
① 再生医療分野の市場規模

再生医療分野の市場規模は10年後に10倍以上に拡大し、その後もさらなる拡大が予想される。また再生医療製品は関連産業の裾野が広く、波及効果大きい。

再生医療分野の市場規模と製品、関連産業の例

再生医療分野の市場規模

(再生医療製品・サービスと関連産業の合計)



再生医療製品の例



関連産業の例



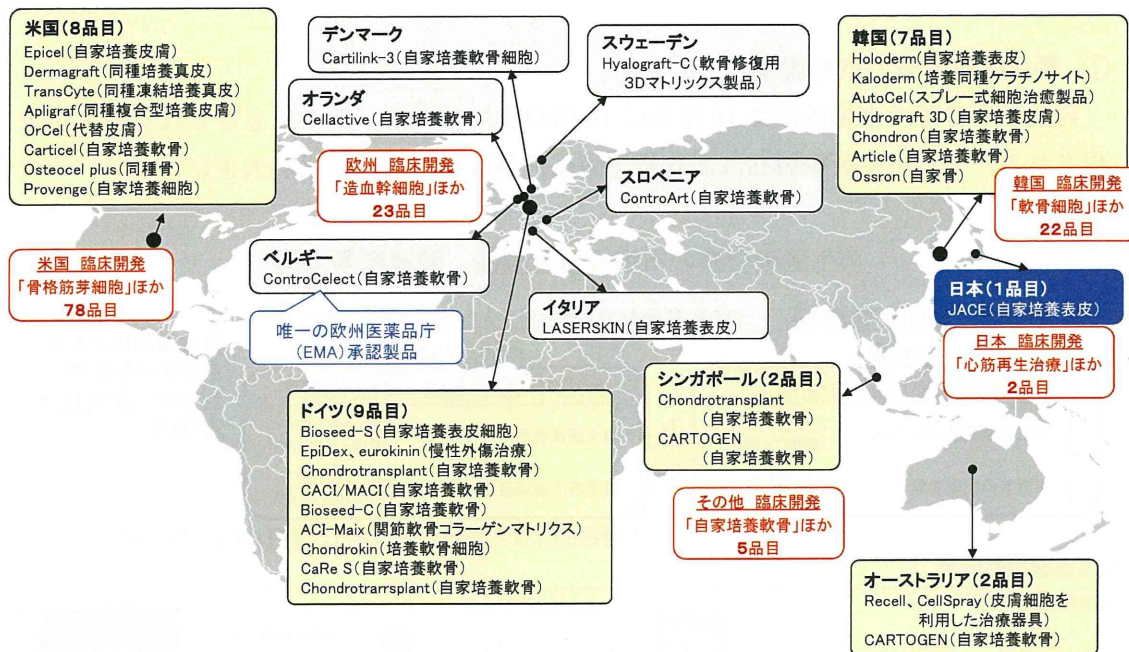
出所) 第2回 医療イノベーション研究会 ～再生医療製品の開発促進について～
医療イノベーション推進室資料

②世界の再生医療製品の状況

世界の再生医療製品の状況を図表に示すが、以下のことがいえる。

- ・ 国別にみると、米国、ドイツ、韓国の事業化が先行している
- ・ 製品化が進んでいるのは、皮膚、軟骨等の整形外科領域である
- ・ 日本は製品化が遅れているが、重篤疾患の研究は先行している部分がある

世界の再生医療製品の状況 (2010年)

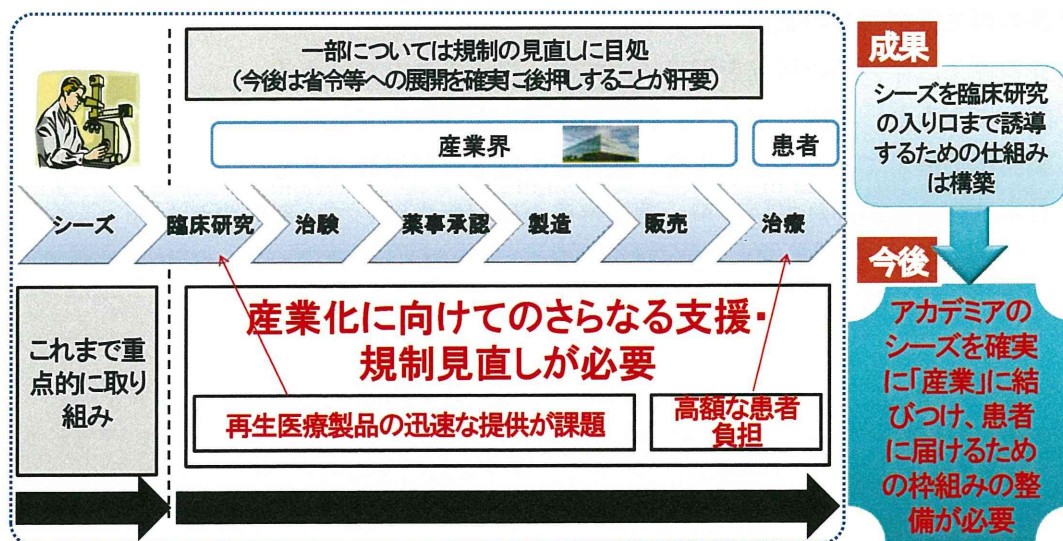


出所) 第2回 医療イノベーション研究会 ～再生医療製品の開発促進について～
 医療イノベーション推進室資料

③これまでの取組・成果とこれからの検討課題

シーズを臨床研究の入り口まで誘導するための政策については手を打ってきており、今後は臨床研究から治験、そして患者に治療を届けるための政策が必要といえる。

これまでの取組・成果とこれからの検討課題



出所) 同上

④現行薬事法の中での検討すべき課題

これまでの取組・成果としては、以下が挙げられる。

●現行薬事法内での規制課題を明らかにし、改革に繋げるための項目出し・提言

⇒厚労省：厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会にて、改正項目を提言

- 定められた期間内に一定の承認手続きを終了し、薬事・食品衛生審議会で審議する仕組みの検討
- 再生医療製品の品質・有効性及び安全性を維持しつつ、迅速に開発が行われ承認されるための支援
- ランダム化比較試験が必ずしも容易でないことを踏まえ、合理的に有効性や安全性を評価することが可能なデータで審査を進める
- ガイドラインの策定、早期・探索的な医師主導治験に対する相談の充実、新たな審査の仕組みの構築
- 再生医療製品の特性を踏まえた制度のあり方
- 「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」の提言見直しや医療機関における培養施設要件の検討等を含めたフォローアップ
- PMDA の体制強化とともに、専門的知見を有する人材の確保・育成、レギュラトリーサイエンス研究の充実
- ICH-GCP 水準の臨床研究や医師主導治験を実施する臨床研究中核病院の創設による治験・臨床研究体制の整備
- ICH-GCP 準拠で実施された臨床研究については、承認申請資料として活用
- GCP の取扱いの見直し
- 臨床研究指針全般の見直し議論の継続

最終とりまとめに明文化され、検討すべき課題として掲げられた。今後は、省令等への展開を確実に後押しすることが肝要と考えられる。

⑤文科省、厚労省、経産省の連携体制による「再生医療の実現化ハイウェイ」

再生医療のいち早い実現化のため、文部科学省、厚生労働省、経済産業省が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、長期間（10～15年間）、研究開発を支援・橋渡しすることを目指すものである。

以下のように、課題の内容や進捗状況に応じた制度である。

- ・課題 A（厚労省）：次年度には臨床研究実施のための効率的臨床研究基盤を探索・実証する研究を対象
- ・課題 B（文科省）：1～3年目までに臨床研究に到達することを目指す。体性幹細胞を用いた研究を想定
- ・課題 C（文科省）：5～7年目までに臨床研究に到達することを目指す。iPS/ES 細胞を

用いた研究を想定

- ・ 課題 D、E（経産省）：再生医療の基盤となる周辺機器（簡便で正確な細胞評価装置、培養装置等）を開発
- ・ 課題 F（経産省）：再生医療技術を活用し、生体内で自己組織の再生を促す再生デバイスを開発

以下のような特徴がある。

- ・ 文科省、厚労省が協働して評価を実施し、結果が芳しくないものは非臨床研究段階から支援を打ち切り
- ・ PMDAの薬事相談窓口が可能となる仕組みの構築
- ・ 基礎研究から臨床研究への迅速かつシームレスな移行を可能とする仕組みの構築

文科省、厚労省、経産省の連携体制による「再生医療の実現化ハイウェイ」



出所) 第2回 医療イノベーション研究会 ～再生医療製品の開発促進について～

医療イノベーション推進室資料

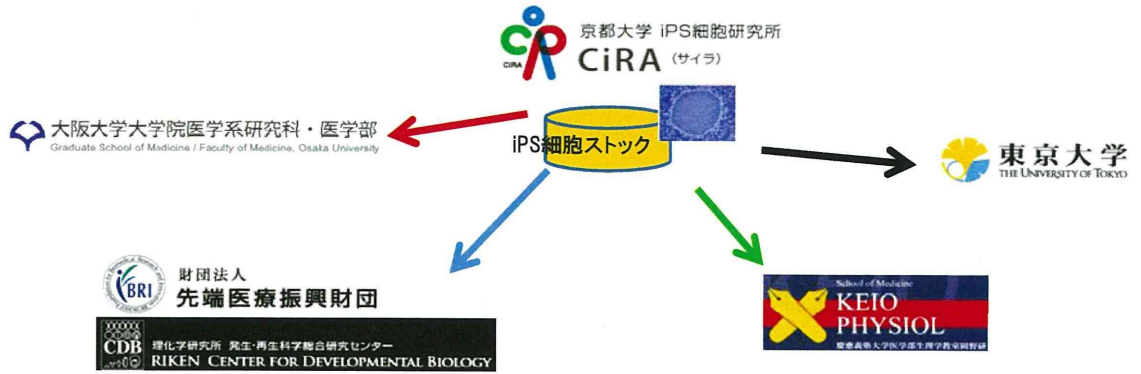
⑥iPS 細胞ストック構想

iPS 細胞を用いた再生医療の実用化するためには、最も安全で標準的な iPS 細胞株の樹立が必須である。

この iPS 細胞を普及して各専門施設で再生医療に応用することが重要である。(臨床応用、疾患最適化)

そのためには、治療用細胞への分化や供給、搬送、保存方法等の確立も必要となる。(世界標準化へ)

iPS 細胞ストック構想



出所) 第2回 医療イノベーション研究会 ～再生医療製品の開発促進について～
医療イノベーション推進室資料

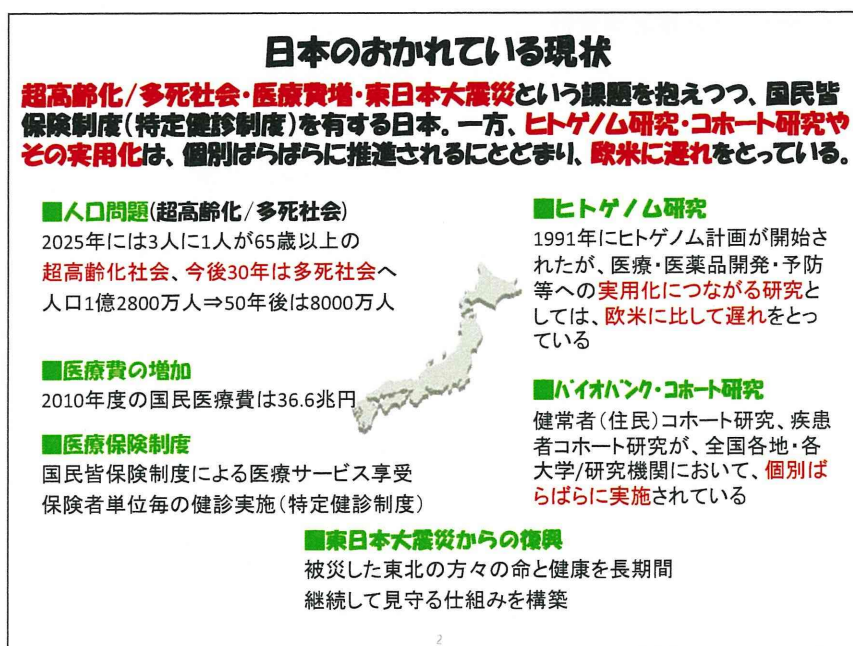
(4) 個別化医療・個別化予防の推進

1) 個別化医療・個別化予防を推進する背景・ビジョン・意義

①背景

わが国は、2025年には3人に1人という超高齢化社会を世界に先駆け迎え、年間医療費は増加傾向という構造的問題をかかえている。そのような中、2011年には東日本大震災を経験した。ヒトゲノム研究やコホート研究・バイオバンクでは、国内では個別ばらばらに推進されるにとどまり、欧米に大きく遅れをとりつつある。

国民皆保険制度というよい医療制度を持ちながらも、このような現状を踏まえ、よりよい医療の仕組みをあらためて考える必要がある。



出所) 医療イノベーション推進室資料

②ビジョン=国民一人ひとりの健康増進に、真の意味で寄与する、個別化医療・個別化予防

個々人一人ひとりの情報、すなわち診療情報・健診情報や遺伝情報・家族歴等の情報(Personal Health Record : PHR、以下「医療・健康情報等」) という。) にもとづき、個人の特性にあったより効果が高く副作用の少ない医療を提供したり(個別化医療)、科学的根拠に基づく疾患罹患予測や予防法を提供する(個別化予防)ことを推進する。

個別化医療・個別化予防を推進することで、医療費の高騰を抑制し、より健康で豊かな生活を実現し、「健康長寿の国、日本」をめざす。

個別化医療・個別化予防を推進するためには、様々なインフラ基盤の整備が必要であるが、

特に、

- コホート研究・バイオバンクといった基礎研究基盤の強化
- 医療情報・遺伝情報の適正な活用の促進
- ICT インフラの整備

が必要であり、重点的な課題と位置づけ推進する。

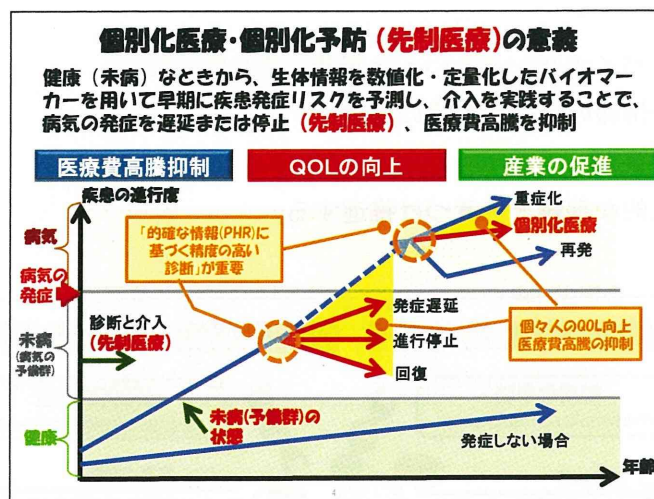


出所) 医療イノベーション推進室資料

③意義

上記のような個別化医療・個別化予防を推進することで、図の黄色い箇所、すなわち「QOLの向上」「医療費高騰の抑制」を実現し、さらには「国民皆保険制度下での産業促進」が実現すると考えられる。

特に、個別化予防（先制医療）を推進する意義は大きい。病気になっていなくても、健康（未病）なときから、生体情報を数値化・定量化した指標（バイオマーカー等）を用いることで、従来のように臨床症状が出現し、診断基準に照らして異常が認められた段階（いわゆる発症）よりも早期に高い確率で疾患罹患リスクを予測し、適切なタイミングと手法で介入（予防）をおこなうことで、疾患の発症を防止・遅延させる「先制医療」を推進する。



出所) 医療イノベーション推進室資料

④「アウトカム（効果）」の可視化の重要性

個別化医療・個別化予防を推進するに際し、一人ひとりの医療・健康情報等の取り扱いが重要になる。わが国は、国民皆保険制度および特定健診制度に基づき、全ての国民の医療・健康情報等を統一的に有する世界でも珍しい国である。超高齢化社会を迎える現在、国民一人ひとりが「健康に生きること」、すなわち国民自らが定期的に健康診断を受診することで、自分の健康状態を知り、また家族・職場・地域等、周囲の人々とコミュニケーションをとることで、健康に対する意識を高め、一人ひとりが自立して健康増進に励むことができる環境を整備することが重要となっている。これにより、国民のQOLを向上し、わが国全体の医療費高騰を抑制できるといった「アウトカム（効果）」を医療・健康情報等により可視化できる仕組みを整備できれば、日本から世界へ、新たな医療イノベーションを創出することも可能となる。

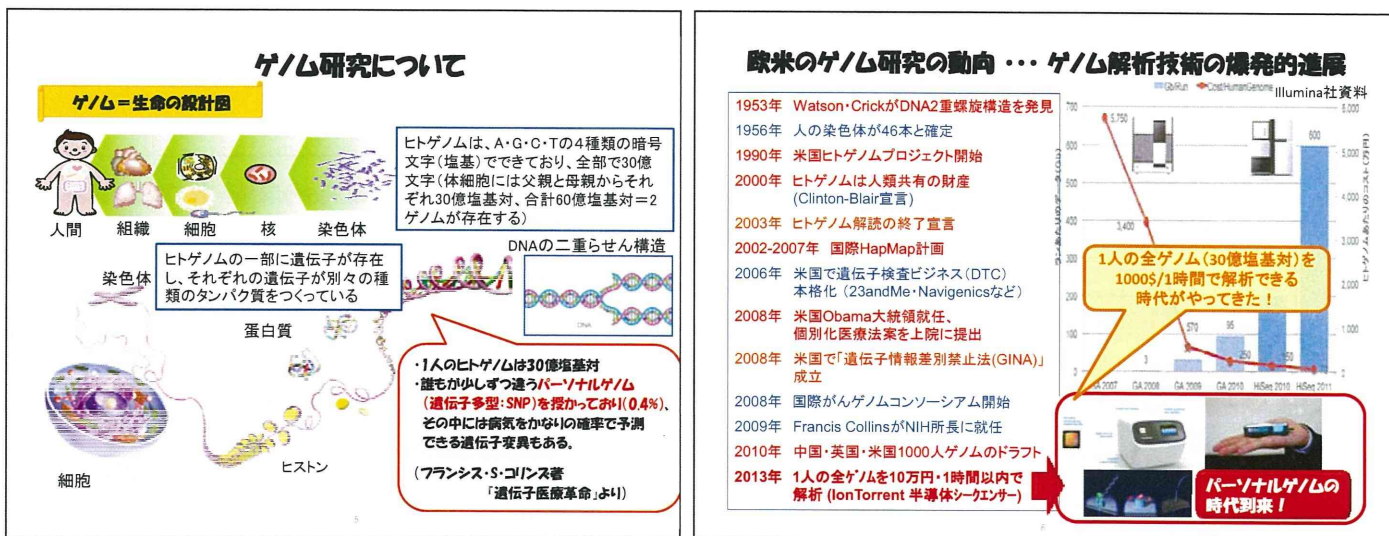


出所) 医療イノベーション推進室資料

2) ゲノム研究・ゲノム医療における飛躍的進展とパラダイムシフト

下図はヒトゲノムについて簡単にあらわした図である。ヒトゲノムは、A・G・C・Tの4種の暗号文字=塩基できており、一人のヒトゲノムは30億個の塩基対という膨大な情報から構成されている。またヒトゲノムには、一人ずつ異なる遺伝子多型（パーソナルゲノム）が、約0.4%存在し、そのなかには病気の予測に用いることができる遺伝子変異も存在する。

このような遺伝子多型を中心に遺伝子を解析することで、病気の原因や将来の疾患リスク予測を解明しようというところみが、この10数年、世界中で飛躍的な進展を遂げた。2007年以降、遺伝子解析データの産出量が飛躍的に上昇し、1人分の全てのゲノム解析（ホールゲノム・シーケンス）が、これまで3年かかっていたことが、2013年には「1000\$」で実現する「パーソナルゲノム」の時代が到来した。これにより、遺伝情報にもとづき、個人の健康状況を知り、医療や予防に役立てようという動きが急激に高まっている。まさに今、飛躍的なゲノム解析技術の進展により、パラダイムシフトが起ころうとしている。



出所) 医療イノベーション推進室資料

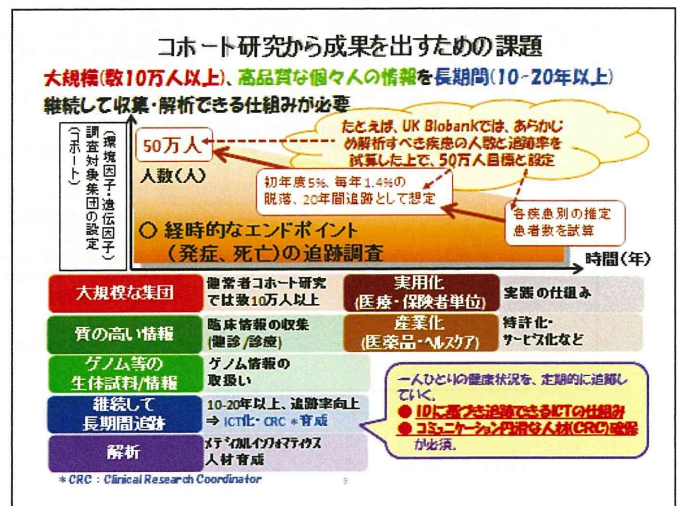
3) 個別化医療・個別化予防を推進するうえでの課題

①基礎研究基盤の強化（ゲノムコホート研究・バイオバンクの連携・インフラ整備）

一方、わが国では、欧米でのゲノム研究の飛躍的進展から大幅に遅れをとりつつある。下図は、わが国で推進されている、おもなゲノムコホート研究（オレンジ色が健常者（住民）コホート研究、青色が疾患コホート研究）・バイオバンク事業であるが、現状は、各省・各研究者により個別ばらばらに推進されている。

今求められていることは、各コホート研究・バイオバンクが、オールジャパンの体制として相互に連携し、長期間・大規模に、質の高い情報の収集とメディカルインフォマティクスが実践され共同研究が活発に推進される仕組みを構築することである。医療機関単位で推進されている個別化医療、保険者単位で進められている個別化予防の実践につなげる仕組みや、持続可能な体制として研究が推進されるよう、周辺産業の促進も同時に検討する必要がある。

特に、東日本大震災を受けた東北地域で進められている「東北メディカル・メガバンク計画」においては、震災の復興とともに、個別化医療・個別化予防のモデルを東北を起点に創出するという意味でも重要であり、他のノウハウや実力あるコホート研究・バイオバンクが支援をし、オールジャパンで連携しあうことが重要になる。



出所) 医療イノベーション推進室資料

②マイナンバーに基づく医療情報の利活用と保護の法制度・仕組みの検討

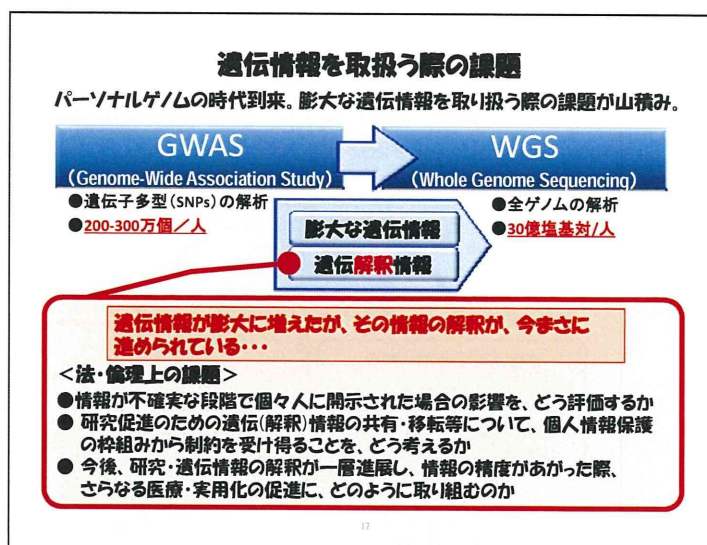
2012年度通常国会において「社会保障と税の一体改革」に基づき、マイナンバー法案が提出された。これは、納税と社会保障の情報において、個人番号および法人番号を活用することで、国民の負担を軽減する制度である。このなかで、「医療等の機微性の高い個人情報」については、マイナンバー法案とは別の「特段の措置」として取り扱うべく、2012年4月より、厚生労働省が中心となり、急ピッチで検討を進めている。

③遺伝情報の利活用と保護の法制度・仕組みの検討

前頁に記載したように、現在、一人の全ゲノムを解析して医療や予防に活用できるパーソナルゲノムの時代を迎えようとしている。研究の側面では、これまでの遺伝子多型を解析する「ゲノムワイド関連解析 (Genome Wide Association Study : GWAS)」といった手法から、一人のゲノム全てを解析する「全ゲノム解析 (Whole Genome Sequencing : WGS)」の手法が注目されている。

このようななかで起こっている課題は、膨大な遺伝情報が生み出されている一方で、それがどのような意味をもつのか、解釈が追い付いていないという状況である。膨大な遺伝情報、またこれから生じる遺伝子解釈情報を取り扱う際、法・倫理上の課題が、大きくいうと3点あげられる。

- ・ 不確実な情報が、そのまま個人々に開示されることによる混乱・悪影響
- ・ 研究促進のために、情報を共有・移転すること等が必要となるが、現時点では個人情報保護の枠組みから、「個人の同意が必要」という制約を受けてしまっていること
- ・ 今後、遺伝子の解析・遺伝情報の解釈が進んだ際、それらの研究成果を、医療や予防といった実用化にどのようにつなげていくか、ということ



出所) 医療イノベーション推進室資料

さらに遺伝情報を取り扱う研究上の課題を整理すると、図の青色部分のようになる。

- ・ 研究参加の際の説明と同意取得における課題

個人々人への説明と同意取得 (インフォームド・コンセント) をどうするか。包括的同意をどうするか。

- ・ 個人々の遺伝情報を取得し管理する際の課題

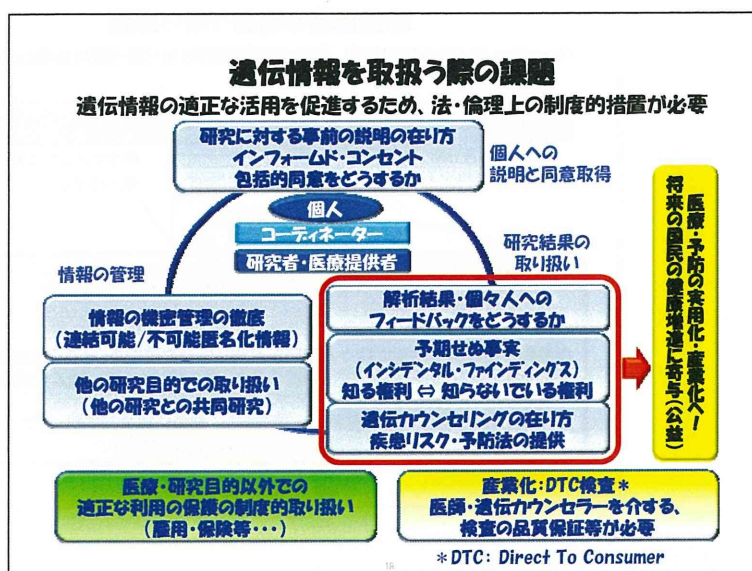
個人々の遺伝情報の機密管理をどうするか。一方で研究の活用促進のために、情報の共有や移転等、個人情報の枠組みで制約を受けている扱いをどうするか。

・研究結果に関する課題

ゲノム解析をおこなった結果、解明された事実を、個人々人へどのようにフィードバックするか。

今後、当初の研究目的では想定されなかった「予期せぬ事実（インシデンタル・ファインディングス）」がたくさん出てくることが想定される。個人々人一人ひとりの価値観にもとづき、「知る権利」「知らないでいる権利」が保証されるべきであり、その取扱いをどうするか。

また遺伝情報においては上記の医療・研究の分野だけでなく、雇用の分野、医療保険・生命保険といった分野でも、個人々の情報が適正に保護され差別を受けられないような情報の取り扱いが必要となる。さらには最近急激に新規参入がみられる、DTC（Direct To Consumer）遺伝子検査事業を規制すべきか否かという点も検討が必要である。そもそも産業は自由競争に基づき促進されるべきであるが、遺伝情報が適正に活用されるための制度措置は検討の必要がある。たとえば個人々に遺伝子検査の結果をかえす場合の規制（たとえば医師・遺伝カウンセラー等の専門家による規制や遺伝子検査結果をかえせる検査項目を規制する等）等の検討である。



出所) 医療イノベーション推進室資料

以上、個別化医療・個別化予防のビジョンや意義、推進のための課題の概略について記載したが、個人々の遺伝情報、医療・健康情報に基づく医療や予防がおこなわれるといったパーソナルゲノムの時代が到来した今こそ、わが国独自の個別化医療・個別化予防のありべき姿を共有し、その実現に向け確実に課題を遂行することが求められている。

(5) 知財戦略

大学等における研究成果を速やかに実用化に結び付けるため、産学連携及びベンチャー企業の育成を一層推進する。

具体的には、以下の方策が必要と考えられる。

①国際競争力を高めるためのツールとして国際標準化と知的財産保護の重要性が認識されている中、医療機器においても標準化戦略と知財戦略との連携による競争力強化に向けた取組等の推進する

②我が国が高い技術力を有する幹細胞技術等の国際競争力を高めるため、戦略的な国際標準化に取り組む大学等の研究成果の有効活用の推進

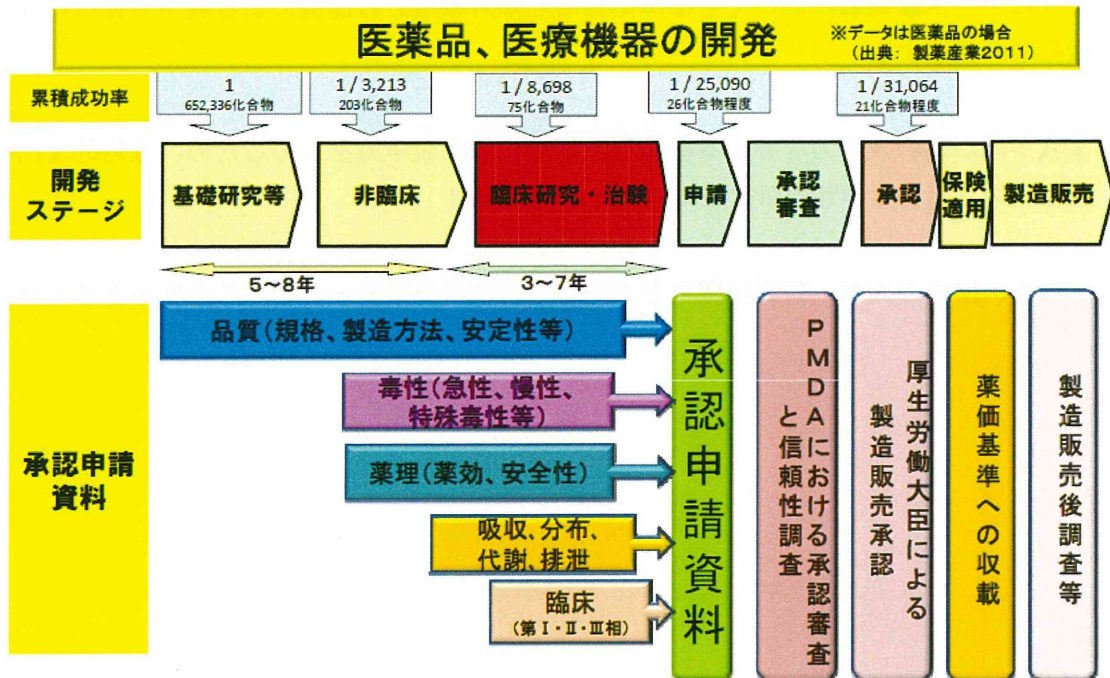
また、国内の大学・研究機関などから有望な知財を集約・分析する必要があると考えられる。

(6) レギュラトリーサイエンスの推進

1) 現状と課題

医薬品・医療機器の開発プロセスにおいては、図表に示すように承認申請が必要であり、規制・制度の果たす役割が大きい。

医薬品・医療機器の開発プロセスと承認申請等

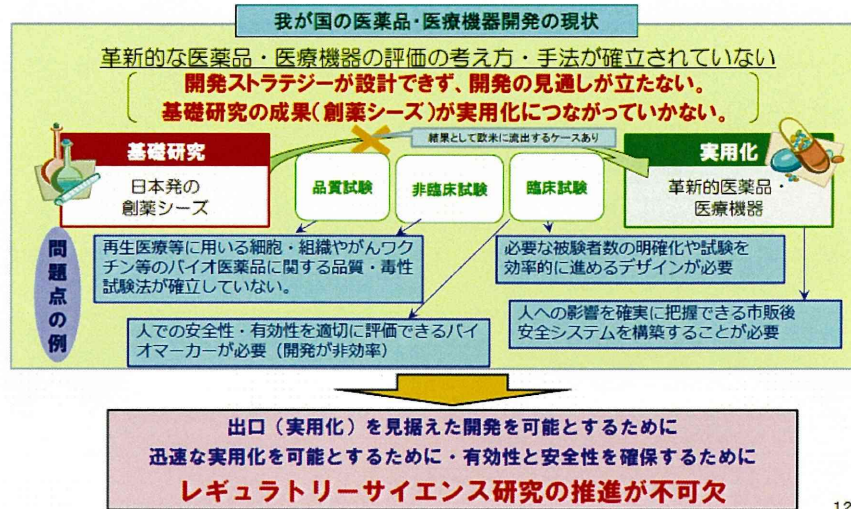


出所) 厚生労働省

我が国の医薬品・医療機器開発においては、革新的な医薬品・医療機器の評価の考え方・手法が確立されていないことが課題として挙げられている。

出口(実用化)を見据えた開発を可能とするために、また迅速な実用化を可能とするために、さらに有効性と安全性を確保するために、レギュラトリーサイエンス研究の推進が不可欠と考えられる。

レギュラトリーサイエンス推進が必要な背景



12

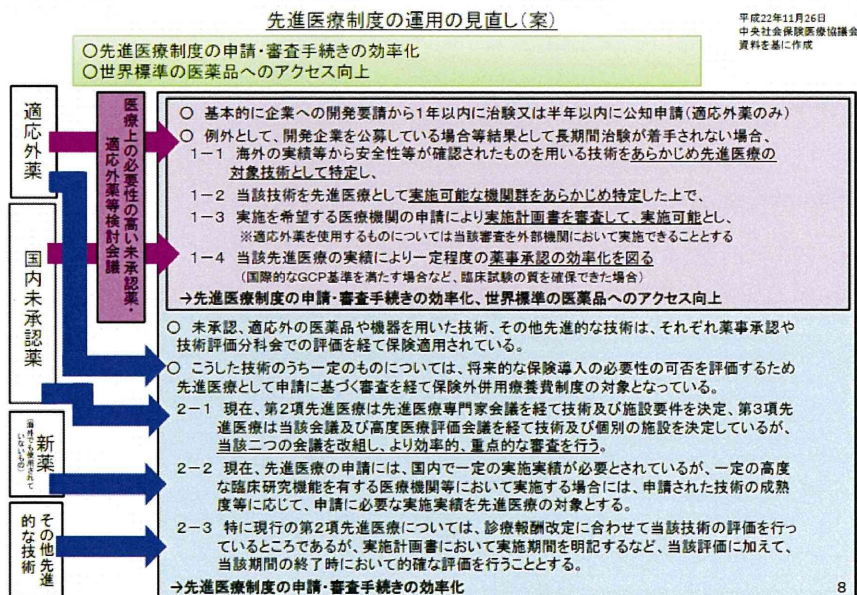
出所) 厚生労働省

2) 個別に必要な方向性と施策

①先進医療制度の運用の見直し

先進医療制度は、先端的な医療技術を迅速に実現するために有効な制度であるが、申請・審査手続きの効率化、世界標準への医薬品へのアクセス向上等の課題がある。それらを解決する方策として、以下の図表のような案が出されている、

先進医療制度の運用の見直し



8

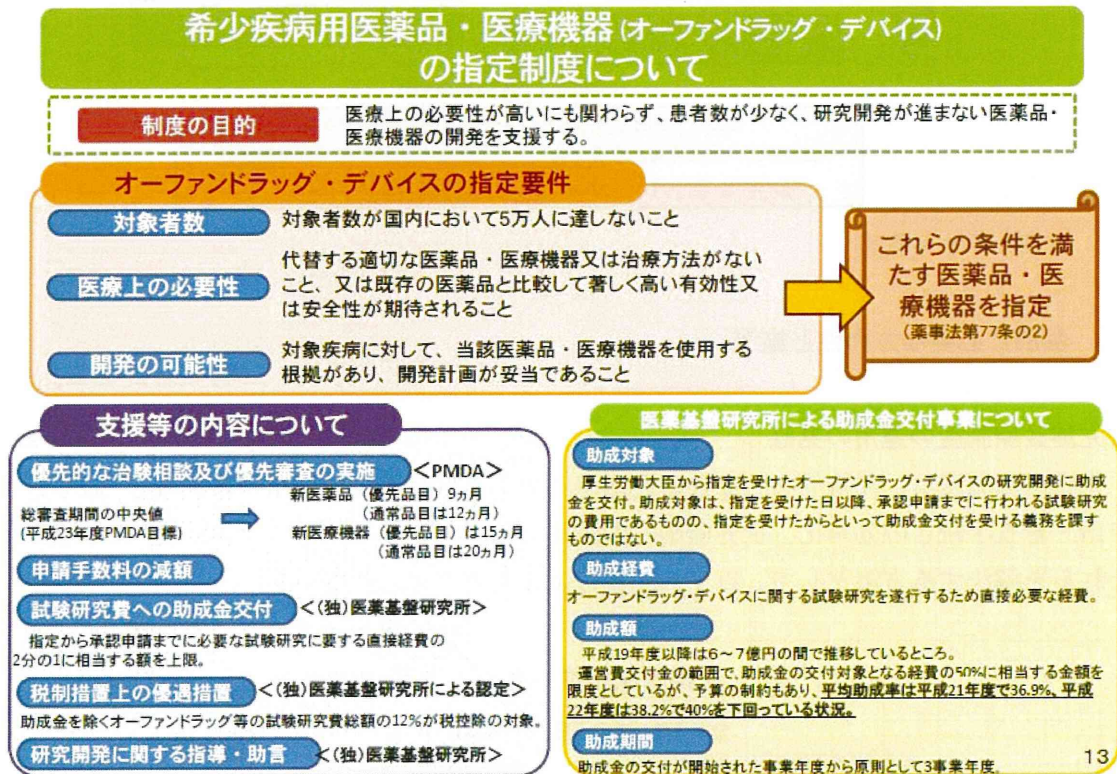
出所) 厚生労働省

② 希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス)の指定制度

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器の開発を支援する制度は、利用者である患者にとっては非常に重要な制度であり、同時に企業等にとっても事業化インセンティブになる。

この制度のより一層の充実が望まれる。

希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス)の指定制度



出所) 厚生労働省

③ PMDAの審査体制の強化

革新的医薬品・医療機器の実用化を促進、レギュラトリーサイエンスの推進のためには、PMDAの審査体制の強化が必要と考えられる。そのためには審査人員の増加と質的向上が必要と考えられる。

PMDA の常勤数の推移

【PMDAの常勤数の推移】

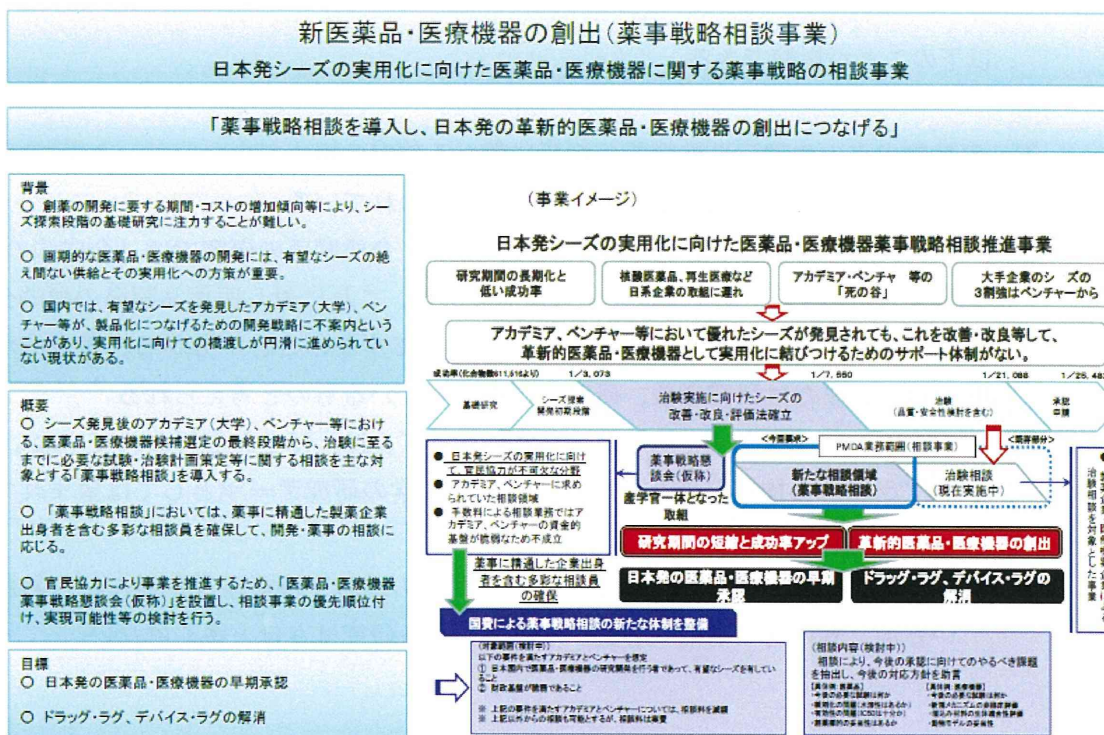
	平成16年 4月1日	平成17年 4月1日	平成18年 4月1日	平成19年 4月1日	平成20年 4月1日	平成21年 4月1日	平成22年 4月1日	平成23年 4月1日	第2期中期 計画期末 (25年度末)
機構全体	256名	291名	319名	341名	426名	521名	605名	648名	751名 (現行計画)
うち審査部門	154名	178名	197名	206名	277名	350名	389名	415名	
うち安全部門	29名	43名	49名	57名	65名	82名	123名	133名	

出所) 厚生労働省

④ 薬事戦略相談

薬事戦略相談は、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出につなげるために有効な制度と考えられる。

薬事戦略相談事業について



出所) 厚生労働省

2. わが国における創薬化学研究の実態（一覧、概要等）と今後の課題

（1）大学における創薬化学関連の現状と動向

1) 公表資料からみた研究、教育の現状

次ページに示す図表は、以下の視点で研究室、講座を選択している。

- ① 21 分野（連携講座を含む）のうち創薬関連 10 分野（薬物動態、薬剤学、薬理学、薬効安全性、分子ス生物薬学、機能分子解析学、生物有機合成化学、薬物分子設計学、機能分子合成化学、薬物送達システム学）を選択
- ② 22 講座のうち、創薬関連 7 講座（有機化学、天然医薬資源学、医薬品化学、生化学、分子機能生理学、創薬物理学、分析科学、病態生理学）を選択
- ③ 18 教室のうち、創薬関連 12 講座（生体分子解析学、生薬、生化学、分子薬理学、微生物学、薬剤学、生命薬化学、薬品製造学、生物 3 分子設計学、微生物、薬品製造、創薬物理化学、医薬品化学）を選択
- ④ 22 研究室のうち、創薬関連 8 研究室（分子生理学、生薬学、ゲノム機能学、微生物化学、精密合成化学、生体情報制御学、分子薬物動態学、情報薬理学）を選択

以下のことが指摘できる。

- ① 天然物由来の生理活性性物質が創薬に繋がる確率は極めて少ないが、大学ではこの種の研究がまだ主流な研究の一つとして行われている
- ② テーマ内容の分類はおおまかなものであるが、合成関係の研究では「合成法の開発研究」が多く、「全合成研究」も相当数ある。これに対し医薬品開発の標的分子創製に繋がる「構造活性相関研究」はきわめて少ないことが分かる。教育的なテーマ選び、または研究者数、研究費が影響しているものと考えられる
- ③ 「化合物ライブラリーを用いたスクリーニング」は、ほとんど行われていないライブラリーの構築が進んでいないこと、大学の研究テーマとしては望まれていないものと推測される
- ④ 大学の創薬研究部門においても、細胞や生体の成分や機能研究が盛んに行われているが、具体的な創薬へと繋がると思われる研究はさほど多くはない

大学薬学部・創薬関連部門（任意選択）の研究テーマ別数（1）

大学名	部門・分野・講座等	研究室数	天然物からの活性物質の単離・精製・誘導体の合成	天然物活性物質の生合成・応用・機能解析・評価	天然物・生理活性物質の全合成	反応・合成法の開発（含触媒反応）	分子設計・合成/コンピュータ解析	構造活性相関	疾患を対象とした具体的薬剤の合成研究	その他の合成研究	化合物ライブラリーによるスクリーニング	細胞機能・生体成分機能解析、代謝・動態、相互作用研究等	疾病・病態に関する生化学・創薬ターゲット研究	遺伝学研究・ゲノム創薬関連（微生物を除く）	微生物学的研究	製剤/DDS	その他の研究
北海道大学	薬学研究院/創薬科学/生体機能化学	5	1	1		4						14	8				
	同/同/創薬化学	5	7		3	4	4			1							
東北大学	薬学研究院/薬学研究科/薬学部/創薬化学専攻/分子制御化学講座	4		1	2	6	1	1									4
	同専攻/分子解析化学講座	3	1														10
千葉大学	大学院薬学研究院/分子創薬科学研究部門/分子医薬科学	5			2	5	1					1	2		8	3	1
	同部門/創薬資源科学	5	7	1	1	5		1	4		1						
東京大学	薬学部/分子薬学専攻/医薬化学講座	2			1	4	3			1							
	同専攻/生物有機化学講座	2	3	2													1
	機能薬学専攻/生体分子機能学	3										5					
	分子細胞生物学研究所/生体有機化学研究分野								2	1			4				
名古屋大学	大学院・創薬科学研究科/基盤創薬学専攻/創薬有機化学講座	3			1	6	1										
	同専攻/創薬生物講座	3										6					
	同専攻/創薬分子構造学講座	2					1					7					
九州大学	薬学部/大学院薬学府/大学院薬学研究院	21 ¹⁾			1	1	4		5	2		5	9		3	1	

出所) 大学のホームページ等公表資料より作成