資料4

第2回医療イノベーション会議幹事会

説明資料

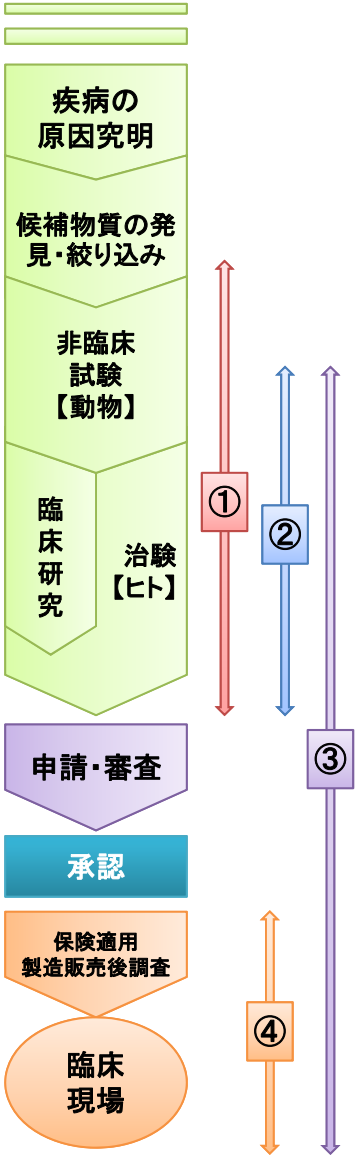
平成24年4月23日

厚生労働省

ライフ・イノベーションの一体的な推進

平成24年度予算 ：127億円

目的：日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出により、健康長寿社会を実現するとともに、国際競争力強化による経済成長に貢献する。



課題

① 創薬・治療法の開発を促進

国民のニーズの高い疾患に対する創薬・治療法の開発（再生医療含む。）に特化した研究費の配分が十分でなく、選択と集中が必要である。

② 臨床研究を促進

日本の豊富な基礎研究の成果から革新的な医薬品等を創出するためには、国際水準で臨床研究を行い、質の高いデータをもとに薬事承認につなげるための基盤構築が必要である。

③ 承認審査を促進

再生医療など革新的な医療技術の開発や承認審査には、有効性・安全性・品質の評価手法を予め確立しておくことが必要である。

④ 新技術を適正に評価

新たな医療技術等の保険収載に際し、さらなるイノベーションの評価や、開発のインセンティブを確保しつつ、費用対効果も勘案した評価が必要である。

施策の推進

① 個別重点分野の研究開発・実用化支援 （71億円）

- がん（小児がん、難治がん等）、B型肝炎、うつ病、難治性・希少性疾患等
- 再生医療（研究開発の基盤構築と免疫拒絶、がん化への対応）
- iPS細胞等ヒト幹細胞を用いた創薬基盤技術の開発
- 個別化医療を推進するためのバイオバンクの整備等

② 臨床研究中核病院等の整備及び機能強化 （34億円）

- 臨床研究中核病院を新たに5か所選定し、研究を支援する人材などの体制を重点的に整備する。
- 国立高度専門医療研究センターの体制整備を行い、臨床研究等を支援する。

③ 技術の進歩に対応する薬事承認審査・安全対策の向上 （21億円）

- 新たな技術に対応する審査の迅速化と安全対策の充実・強化のため、開発途上の最先端の技術の安全性と有効性を評価できる人材の育成や、人材の交流による研究成果を開発側と規制側で共有する。
- 新技術の未知のリスクに対応する安全対策の強化と医薬品・医療機器等の生産・流通のグローバル化への対応を進める。

④ 費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究・調査 （0．8億円）

- 諸外国で行われている評価体系で医療経済評価を試行的に実施した場合の、実行可能性等を検証する。研究報告等も踏まえ、社会的影響やガイドラインの策定等の検討・調査を行う。

① 個別重点分野の研究開発・実用化支援　　予算 ：71億円

○国民のニーズの高い疾患等に対する医薬品・医療機器等の開発に特化した研究に集中的に配分

1. がん診断・治療研究の推進

【背景】　（１６億円）

・世界トップレベルの基礎研究が国内での実用化に至っておらず、医薬品の逆輸入が急増している。

【取組の概要】

・難治性がん、小児がん等の希少がんを中心に、革新的診断法・治療薬の実用化のための前臨床試験や質の高い臨床試験を強力に推進。

2. B型肝炎の創薬実用化研究等の推進

【背景】　（２８億円）

・B型肝炎はC型肝炎と比較して治療成績が低く、画期的な新規治療薬の開発が望まれている。

【取組の概要】

・B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発等を目指し、基盤技術の開発を含む創薬研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を総合的に推進。

3. 気分障害の診断・治療研究の推進

【背景】　（０．５億円）

・うつ病を含む気分障害患者は急増し、100万人を超えているが、客観的な診断指標が乏しく、効果的な治療法が確立されていない。

【取組の概要】

・脳機能画像等を用いた客観的な診断法や病態メカニズムに応じた効果的な治療法の開発により、臨床場面での応用を目指す。

4. 希少疾病用医薬品・医療機器の開発支援

【背景】　（２億円）

・既存の助成額・助成内容では、希少疾病用医薬品・医療機器の十分な開発が実施されていない。

【取組の概要】

・極めて患者数が少ない希少疾病（1,000人未満）に対する助成率を引き上げるとともに、支援対象を非臨床試験に広げ、開発支援。

5. 再生医療、iPS細胞研究等の推進

【背景】　（１２億円）

・革新的医療技術である再生医療の実用化には、安全性・品質の確保が重要な課題である。

・再生医療の実用化に向け、研究の促進とともに、国民に正確な情報を提供する必要がある。

【取組の概要】

・iPS細胞等ヒト幹細胞を用いた再生医療技術の研究開発の基盤を構築するとともに、移植時の課題である拒絶反応及びがん化に関する研究、並びに移植後の診断検査技術の開発を推進する。

・ヒト幹細胞データベースを構築し、ヒト幹細胞に係る情報を広く研究者等に提供することによりヒト幹細胞研究を促進するとともに、患者（国民）への情報提供を行う。

・iPS細胞から作られた細胞を用いて医薬品の安全性等を評価するための技術の開発及びヒト幹細胞を用いた新たな創薬技術の確立を図る。

6. 個別化医療の推進

【背景】　（１３億円）

・個人のゲノム情報に基づく副作用の少ない効率的な個別化医療の推進に当たり、そのための基盤整備等が必要。

【取組の概要】

・国立高度専門医療研究センターが連携してバイオバンクを整備し、収集した生体試料を活用した研究等を実施。

② 臨床研究中核病院等の整備及び機能強化　　予算 :34億円

課題１　質の高い臨床研究を行うための十分なインフラ（臨床研究コーディネーター及びその他の必要な人材）がないため、臨床研究の質が薬事承認申請データとして利用可能な水準を満たさず、臨床研究で得られた成果を有効活用できない。

課題２　小児疾患や難病など、患者数が少ないために企業が開発し難い分野の治験を実施できていない。

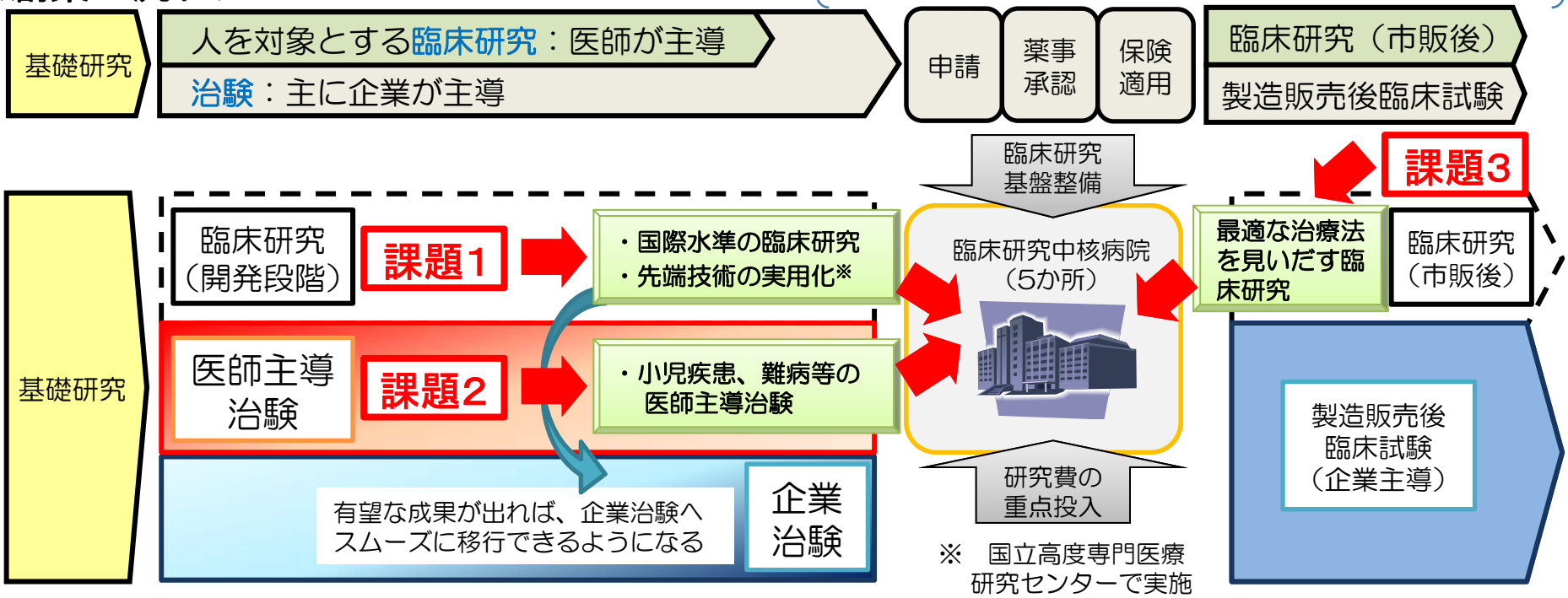
課題３　既存薬の組み合わせなどにより最適な治療法を見いだす臨床研究は、薬事法に基づく適応範囲の拡大につながらず使用患者が増大しないため、企業の取り組むインセンティブが少ない。

国際水準（ICH-GCP準拠）の臨床研究中核病院を５か所整備し、研究費を重点投入するとともに、国立高度専門医療研究センターの体制整備を行い臨床研究等を支援する。

★　社会保障・税一体改革成案において、臨床研究中核病院を平成23年度から３年間で15か所程度創設することを明記。

臨床研究中核病院：（整備5.1億円＋研究1億円）×5か所＝31億円
国立高度専門医療研究センター：　開発･臨床応用研究等＝3億円

＜創薬の流れ＞



※　国立高度専門医療研究センターで実施

③ 技術の進歩に対応する薬事承認審査・安全対策の向上　予算 :21億円

【背景】　社会保障・税一体改革成案で、医療イノベーション、ライフイノベーションの推進、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの早期解消などの諸改革が求められている。
また、第4期科学技術基本計画（平成23年8月19日閣議決定）においても、これらの諸改革の実現のために、レギュラトリーサイエンス※の充実・強化による審査指針・基準の策定や人材の養成・確保等が求められている。

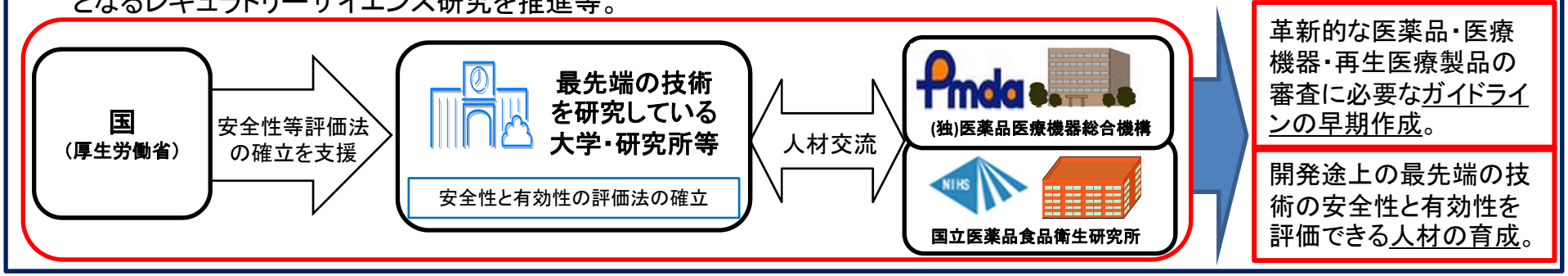
※レギュラトリーサイエンス：　科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学（平成23年8月19日閣議決定「科学技術基本計画」より）

（1）革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の安全性と有効性の評価法の確立、人材の育成【11.9億円】

○ 最先端の技術を研究している大学等におけるレギュラトリーサイエンスを基盤とした安全性と有効性の評価法の確立を支援。
○ 併せて、大学等、国立医薬品食品衛生研究所（NIHS）、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）等の間で人材交流を行い、人材を育成。

（2）革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の承認審査の迅速化に必要なガイドラインの作成に向けた研究の推進等　【3.7億円】

最先端の技術を研究している大学等における成果も活用し、NIHS・PMDAにおいて審査に必要なガイドライン作成の基盤となるレギュラトリーサイエンス研究を推進等。



（3）新技術の未知のリスクに対応する安全対策の強化【3.5億円】

○ PMDAにおいて大規模医療情報データベースを安全対策に活用するための分析手法を開発。
○ 独立行政法人国立成育医療研究センターに「小児と薬情報センター」を設置し、小児への医薬品使用情報を収集。

（4）医薬品・医療機器・再生医療製品の生産・流通のグローバル化への対応【1.8億円】

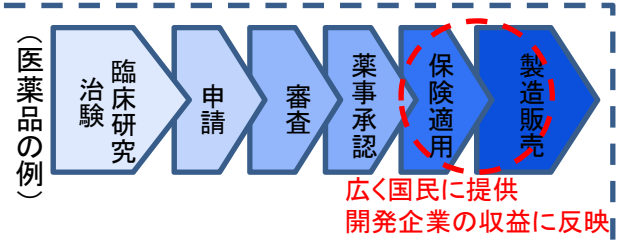
○ PMDAにおいて海外主要国における医薬品・医療機器・再生医療製品の承認情報を収集・整理し、データベースを構築。
○ 個人輸入される偽造医薬品等による健康被害や医薬品等の不正輸入に関する情報を収集するホットラインの設置と、消費者に偽造医薬品等に関する注意啓発を実施。

④費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究・調査　予算 :0.8億円

課題

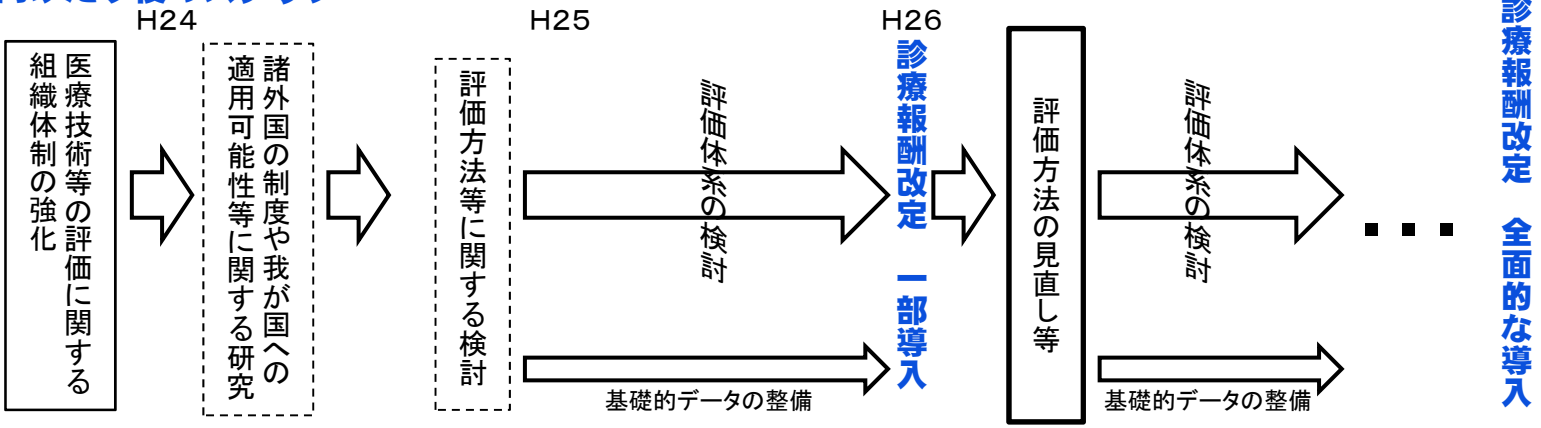
○　革新的な医療技術、日本発の医薬品、医療機器の開発について、そのイノベーションを医療保険上適切に評価し、開発のインセンティブを確保する必要がある。

○　持続可能な医療保険制度の維持に向けて、限りある資源を効率的に配分する必要がある。



医療技術、医薬品、医療機器の保険適用の際の、保険点数、薬価、医療材料価格の設定におけるさらなるイノベーションの評価及び、費用対効果を勘案した評価の導入に向けた取組を実施

導入に向けた今後のステップ



参考）社会保障・税一体改革成案　工程表

○　医療イノベーション（抜粋）　　保険償還価格の設定における医療経済的な観点を踏まえたイノベーションの評価等のさらなる検討

費用対効果を勘案した医療技術等の評価に関する研究

（予算案　0.3億円）

医療技術等の保険価格等における評価において、さらなるイノベーションの評価や、開発のインセンティブを確保しつつ、費用対効果も勘案した評価を行うため、実際に諸外国で行われている評価体系で医療経済評価を実施した場合における、各評価方法の実務上の利点・欠点を明らかにし、実行可能性、政策応用可能性等を検証する。

医療技術等の評価に関する調査・検討

（予算案　0.5億円）

医療技術等の保険価格等における評価を日本に導入するにあたり、研究報告等も踏まえつつ、日本への導入方法や国内における医療経済評価ガイドライン等に係る検討会の開催及び日本で評価する際に参考とするために海外の評価実績事例集の集積事業等を実施する。

東北発革新的医療機器創出・開発促進事業（地域医療再生基金の積み増し《被災3県》）
（革新的医療機器の治験促進等）　　平成23年度3次補正予算計上額：43億円（5年）

目的　：①革新的な医療機器の創出及びそれに伴う企業誘致・雇用創出
②地域住民に対する最先端医療を受ける機会の創出

基本方針
5　復興施策　（3）地域経済活動の再生　①企業、産業・技術等
（ⅳ）被災地域の大学・大学病院・高等専門学校・専門学校・公的研究機関、産業の知見や強みを最大限活用し、知と技術革新（イノベーション）の拠点機能を形成することにより、産業集積、新産業の創出及び雇用創出等の取組みを促進する。このため、研究基盤の早期回復・相互補完機能を含めた強化や共同研究開発の推進等を図るとともに、産学官連携の下、中長期的・継続的・弾力的な支援スキームによって、復興を支える技術革新を促進する。また、大学等における復興のためのセンター的機能を整備する。さらに、海外企業等との連携下での産学官による新産業創出の拠点整備等を行う。

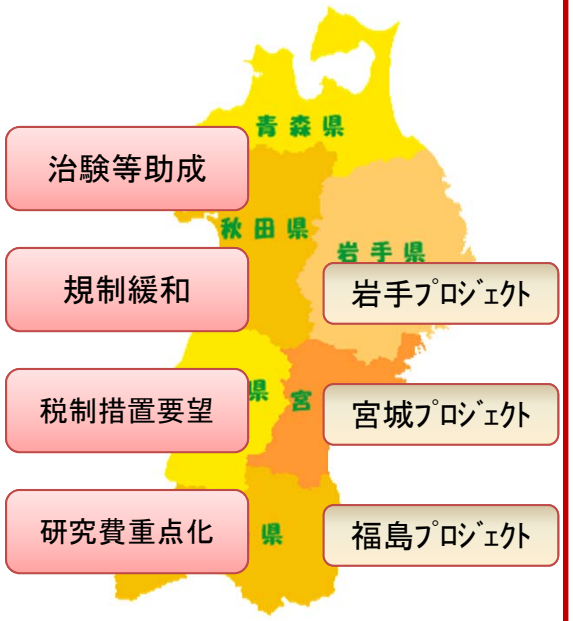
東北発革新的医療機器創出・開発促進事業

革新的医療機器の臨床使用等のための助成

・東北発革新的医療機器等の治験助成金、助成事務（FA）経費

【現状】
○　すでに欧米で使用されているような医療機器で、医療上のニーズが高いものであるにもかかわらず、日本において使用できないものがある。これは、これまで国内において**治療機器治験を十分に行える医療機関が不足してきたことが大きな原因である**。
【事業の概要】
○　東北発の革新的医療機器等について**医師主導治験等を医療機関で実施するための**助成金を交付するとともに、その進捗管理、指導・助言を行う。
○　医療機器の早期実用化のためのレギュラトリーサイエンス研究を推進する。
【本事業の効果】
○　**アンメット・メディカル・ニーズを解消し**、医療の質を向上させるとともに、東北での雇用促進、アジア諸国等への革新的医療機器の輸出の促進等により、**東北復興につなげる**。

東北発医療機器創出特区構想
（厚生労働省）※一部経産省と連携



革新的な医療機器の創出促進

医療機器製造拠点の誘致