

平成 25 年 11 月 13 日

**産業界から見た我が国の医療分野の課題と提言**

富士フイルム株式会社 常務執行役員  
再生医療イノベーションフォーラム代表理事・会長  
戸田雄三

**I 国家戦略としての健康・医療戦略（米国の事例分析と日本流の改革の提案）**

- ①米国の状況；1980 年の米国におけるバイ・ドール法の制定によりアカデミア発のインベンション事業化の道筋をつけ、US という世界で一番大きな市場を背景に医薬・医療産業を国際的競争力をもつ産業に育てるための国家戦略を策定した。特許における Pro Patent 政策と 1990 年代以降の FDA と企業との二人三脚での取り組みのコンビネーションで世界一の産業育成に成功してきた。この流れの中で FDA のミッションは「規制から産業育成」に変化した。
- ②抗体医薬等バイオ医薬品の事例；抗体等のバイオ医薬品における FDA の規制制度は、今日、世界におけるスタンダードとして確立され、バイオ、抗体医薬品の世界市場における覇権は欧米大手企業に握られている。その中には日本発の研究成果のシーズを利用したものも多いが治療薬としての臨床開発、市場導入は殆ど米国先行で行われた。その結果、FDA が非臨床試験及び臨床試験の規制要件を世界に先駆けて確立する事により、世界の企業がこぞってアメリカで“First in human”の臨床試験を開始するという事態が常態化しており、アメリカにおける臨床研究（特に癌、免疫疾患、遺伝子疾患領域）の競争優位性（人、モノ、金の集中）は強固なものになっている。（日本発研究成果の例。インターフェロン、エリスロポエチンに始まり、その後も、HER2（Erb2）抗原に対する抗体、抗 IL-6 抗体、抗 PD-1 抗体、ALK 融合遺伝子キナーゼ阻害など）
- ③再生医療の事例；この分野でも他家細胞をつかった細胞治療製品の臨床開発製品はすでにフェーズ III に進んでおり（ガン治療、免疫疾患、遺伝疾患）、世界で初めて他家細胞をつかった治療法が FDA で承認されれば、そのマスターセルバンクの規制要件、培養法の規制要件、臨床試験の規制要件などのデファクトを利用した新たな周辺医療機器・培養装置などの周辺産業を含め、再生医療製品がバイオ医薬品のときと同様にアメリカの企業に特許等を押さえられることになってしまうことが危惧される。
- ④結論；日本は、サイエンスの成果をいち早く患者に届けると云う事と、医療経済的に持続的可能な体制を構築すると云う二つの視点から、臨床開発のあるべき姿、市場のあるべき姿を基本から見直す時期に来ている。従来の路線の部分改善では欧米の後追い体質から脱却は出来ない。かと言って人材、予算、市場規模など米国の真似は出来ないし、すべきではない。今こそ、日本の強みと環境を活かし独自の国家戦略を構築すべきである。以下に、日本が健康医療分野におけるグローバルに競争優位を確保できる成長戦略の要諦を以下に列挙する。

**\*イノベーションを希求した、研究、(臨床)開発、市場」の三位一体の社会システム  
の構築を目標として掲げる。**

**\*日本発、世界初の治験システムの構築。**

総花的には出来ないので、中枢神経系、癌、再生医療の分野から疾患領域を絞り世界に先駆けた治験システムを構築する。その中で対象選択の際に、日本の強み、特有の社会環境、グローバルな位置づけなど反映されたもので無ければならない。例えば次のような視点が重要であろう。

**世界一の高齢化社会、高福祉国家、市場規模の限界、アジアにおけるサイエンス及び  
ビジネスのトップランナー、世界一のも作りの力、品質/コスト競争力等**

**\*定量的なターゲット (数値目標) の設定。**

日本発のイノベーションを促進する目的で、日本版 NIH に対する具体的な目標は必須。

**\*総論賛成、各論反対を防ぐ為の方策；** 例えばこの種の問題意識は10年前以上から有った筈で、都度、対策が議論され実行されてきた。但し、残念ながら眼に見える大きな変革は実現できていない。その反省に立って、**10年後のあるべき姿 (総論) を策定して、即実行すると多くの被害が出るので10年のうちに各論の難易度に応じて変化させるロードマップを共有化し具体的な実行計画を策定すること**である。この中に、財源の健全化も盛り込んでいく。

## **II 目指すところ**

**・イノベーション；**健康・医療産業における成長戦略の要諦はイノベーション。革新的医薬、革新的医療機器、革新的治療法（再生医療含む）を世界に先駆けて世に出すこと。イノベーションが起こる環境（USA）に「人、物、金」が集まる。

**・成長戦略の目的；**

1. 市場の拡大・新しい市場の創出 ⇒ 予防、先制医療市場、混合診療市場
2. 国家財政 ⇒ 医療の無駄、国庫費用の抑制
3. 患者視点 ⇒ 医療情報の双方向性(ITの活用)、医療の選択の自由
4. 国際視点 ⇒ 国家の規制・制度間競争上の競争優位・デファクトの確立

**・研究、(臨床)開発、市場」の三位一体；**無から有を生み出す(0から1)事をインベンションと定義するなら、インベンションを1から100、即ち、**インベンションを育て、社会に実装するまで完結させる事をイノベーションと呼ぶ。**この為には、「**研究、開発、市場の三位一体のイノベーションを生み出す社会システム**」構築が必要。ITによる双方向の情報共有を強化、活性化し、患者ニーズと研究シーズ、開発と市販後データ、基礎研究と企業の事業化を結び付けるべき。日本はイノベーションを狭義に捉えがちで、基礎研究が主役と考えている。

**・最終ターゲット；**医療経済の改善（費用対効果の改善）と患者満足度（QOLの改善：『高い、治らない、苦しい』を『安い・治る・楽になる』）の両方をもたらすこと。結果として国際競争力のある新産業創出に繋げる。

### Ⅲ 3つの要素の有るべき姿

#### 1. 研究フェーズ

##### (1) 研究分野での戦略的なテーマ設定

- ・ 社会的視点、患者の視点から必要とされる分野や、医療産業上の重要性、社会システムへの経済効果をもたらすもの、その上、日本の強みが活かせる分野に絞りこむ。

具体的な出口イメージ、成果イメージを明確化した研究を重視すべき。

Ex: がん領域、精神疾患領域（アルツハイマー等）、新興感染症等、再生医療、コンパニオン診断/医薬品、『先制医療』の実現等

- ・ 日本の強みが活かせる分野を絞り込むため、研究シーズばかりでなく、医薬品等の分野における患者ニーズを把握すべく、現状の医薬品等の効果（延命効果やQOL改善効果）について調査を実施することを日本版NIHの業務に明記。これを踏まえて医療費抑制効果、経済効果を分析公表する。

又、患者ニーズを踏まえて選定された研究成果が、当初の視点でどの程度効果を上げているか、PDCAサイクルの取り組みにより確認・公表する。

##### (2) 国の支援に対する厳正な評価

- ・ 現状の書面審査の改革。費用対効果の評価システムの導入。選択と集中が鍵。イノベーションに値しない研究への支援はやめる。何かをやめないと新研究の財源確保が来ない。

#### 2. 開発フェーズ（臨床開発にも重要なステータスを与える、研究成果の社会への実装の為には、真のインベンションが必要）

##### (1) 規制制度機関のミッションの変更

- ・ サイエンスの成果をいち早く患者に届ける為の有るべき姿を決めて最適な組織設計、人材確保、育成を目指す。

##### (2) リソースの拡充

- ・ 発明・発見をイノベーションに繋げる為には開発に十分なリソースを投入する必要がある。（質と量両面）→人材、設備、金、制度、動機づけ等

- ・ 特に今回の日本版NIH予算の研究開発予算に加え、医療分野の産業化を促進するため、官民双方におけるファンド資金の充実と目利き人材の育成を図る。

##### (3) 臨床治験・審査環境の整備（スピードアップとコストダウンを行い、海外への治験流出から世界一治験が集まる国へ）。

#### ① 明確な数値目標設定による改革促進

- ・ PMDAは日本での新しいBiologyに基づいた（First in Class）開発候補品のFirst in humanの臨床試験を年間10品目（5年間で計50品目）目指す。

- ・ 日本におけるFirst in Class、First in humanの開発候補品が増えることによりFirst in Classの開発候補品のヒトにおけるPOC成績をNEJMなどのPeer Review誌での日本初臨床研究成績の公表論文数を対前年で増加させる。

- ・ 再生医療については、iPSの細胞バンク化、および他家細胞移植治療の推進に目標を定め他家細胞移植治療の臨床研究、治験を加速させる。

## ②治験対象者募集を効果的且つ効率的に行えるデータベースの整備

国が国民の医療情報(カルテ、医療画像、健診、投薬情報等)を安全に保管・管理する医療情報データセンターを構築し、このデータベースの二次利用の一つとして治験への活用を行う。(治験や研究目的での利用を可能とする為には、個人情報保護法における第三者提供の制限の例外規定として法令を整備する必要あり。)

## ③治験に特化または治験を優先的に実施できる医療機関の特定

今まで以上に短期間で効率的な治験を行うため、ナショナルセンター等のネットワークを強化し、治験に専念できる環境を整備する。この取り組みを促進するため治験や臨床研究を専門に実施する医療機関に対して、財政支援を充実させる。

## ④審査制度の改革

世界初/日本発の医療技術の薬事承認を迅速に行うために、領域を絞って新しい治験システムを導入する(領域は、病態が複雑な、がん、中枢神経系疾患、バイオ医薬品分野など、FDAも未だ方法論が確立していない分野を先に手がける事等)。

例えば上記の領域で日本版 NIH が選定・実施するプロジェクトについて、PMDA との連携を強化し、優先審査制度を整備する(特許審査においても早期審査制度を導入)。更に iPS 等の最新の科学的成果を盛り込み人試験の負担を軽減する事や、個別化医療等については、コンパニオン医薬等の活用により治験対象となる症例数を縮小・効率化し、負担を軽減する。

## ⑤企業の臨床開発に対する優遇

本質は金と時間のかかり過ぎない合理的な治験システムの構築であるが、治験の産業化の為に、優遇策を検討する。米国の臨床試験コストを 100 とした時の各国のコストはフランスが 87、カナダが 93 であるのに対して日本は 118、という調査結果がある。

## ⑥医療機器についても、臨床中核病院の整備、PMDA における先端分野の審査体制の整備(治験前段階からの参画等)を図ると共に、機械技術や分析評価等に関する専門機関・人材の活用を促進。また、研究開発・技術開発コストを適切に反映した保険価格を設定すべき。

## 3. 市場の改革

市場の柔軟性と透明性がイノベーションの着地点としては重要。患者満足度、経済合理性、経済成長力、国際競争力などの観点で現在の健康・医療分野の問題点は山積している。10年後の有るべき姿を国民に示し、ロードマップを作成して進捗の見える化を図る。

特にこの分野はサービスを受ける側、金を払う側の国民、患者側とサービスを与える側の情報の非対称が大きすぎる。再生医療を先駆けに、遺伝子情報も医療分野で活用され始めており、患者を群として扱う仕組みは完全に時代遅れであり、患者と医療機関が情報を共有化して個々人の最適な医療サービスを患者の意見を最優先させて決定すべき時代である。患者個々人の情報と群れとしての情報をバランスよく活用する事によって山積する問題点を解決しなければならない。これら情報を包括的に活用する事によって、最終的には病気になりにくい「予防」社会の実現につなげたい。

## まとめ

日本版N I Hにて、日本の医療の在り方が大きく前進するが、ここで、イノベーションを希求した、研究、(臨床) 開発、市場」の三位一体の社会システムの構築を目標として掲げる事を期待する。

この社会システムの構築を進める上で大事なのは選択と集中。日本の強み、環境を生かしたもの（高齢化社会への対応、病態が複雑ながん、中枢神経、再生医療）に領域を絞り、世界に勝てるジャパンモデルの構築を優先させるべきであろう。

以上

# 「医療分野の研究開発に関する専門調査会」

平成 25 年 11 月 13 日

戸田雄三

## 世界初/日本発の医療技術を短期に開発して早期の市場導入を実現するための提言

【提言 1】質の高い臨床研究を行うため、中核病院において短期間で効率的に臨床研究を進められる体制の整備と人材の確保を行うこと。

【提言 2】世界初/日本発の医療技術の薬事承認を迅速に行うために、審査機関等が治験前段階から臨床研究に参画し、判断や進め方を早めるアドバイスを行うこと。

### 1. 目指すもの

- ① 健康寿命の延伸には、早期診断・治療が必須。新規医療機器の研究開発を促進するために、研究開発体制の支援および薬事審査の改革が必要である。
- ② 画像診断装置は国際競争力を持っている。医療機関との強い連携のもと、センシング、画像処理等のコア技術を構築し、先進医療技術を開発してきた。ここを更に強化し、医療への貢献、海外展開を加速すべき。
- ③ 厚労省『革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業』において、医療機関が PMDA、NIHS、企業と連携して研究開発を行っており、新規技術開発を加速する手本となっている。

### 2. 研究開発から薬事承認までの期間を短縮する方策 . . . . .【補足資料①-1】

#### (1) 短期間で効率的に臨床研究を進められる体制の整備と人材の確保

非臨床～探索的臨床試験～治験のプロセスでは、臨床試験必要性判断、治験プロトコル確定などのリードタイムを低減し、効率的に遂行することが必要である。

##### ①行政、医療機関・企業の連携体制の整備

- ・医療現場で医療関係者と企業が協同作業を行える環境（場・仕組みの提供）
- ・運用ルール、ガイドライン等の整備（例：リスクに応じた柔軟な制度適用）

##### ②実施計画の判断や分析評価等を支援する人材の確保（欧米と比べ不十分）

- ・臨床コーディネーター、生物統計家、関係法令の精通者

#### (2) 審査機関等が治験前段階から臨床研究へ参画

新規医療技術については薬事審査の基準が無く、審査の段階で評価方法や追加評価の必要性が検討され、後戻り（データ取り直しなど）が発生することが多い。審査機関等が治験前段階から臨床研究に参画し、比較すべきゴールドスタンダードや認められる効能レベル・安全性立証に必要な評価項目など、判断や進め方をアドバイスすることで、この後戻りが低減される。

また、審査機関等が治験前段階から臨床研究に参画することで、薬事申請の前段階から、安全性・有効性の評価法確立やガイドライン整備を準備し、審査期間の短縮が期待できる。

### 3. 具体的事例とその展開・拡大

『革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業』の考え方の中で臨床研究の支援、人材育成、ガイドライン作成等が示されており、これらが促進事業で具体化されている。

富士フイルム（株）は、国立がんセンター東病院の「代謝イメージング内視鏡の有効性・安全性評価方法の確立事業」に参画し、共同・支援体制の下で研究開発を行っている。 . . . . .【補足資料①-2】

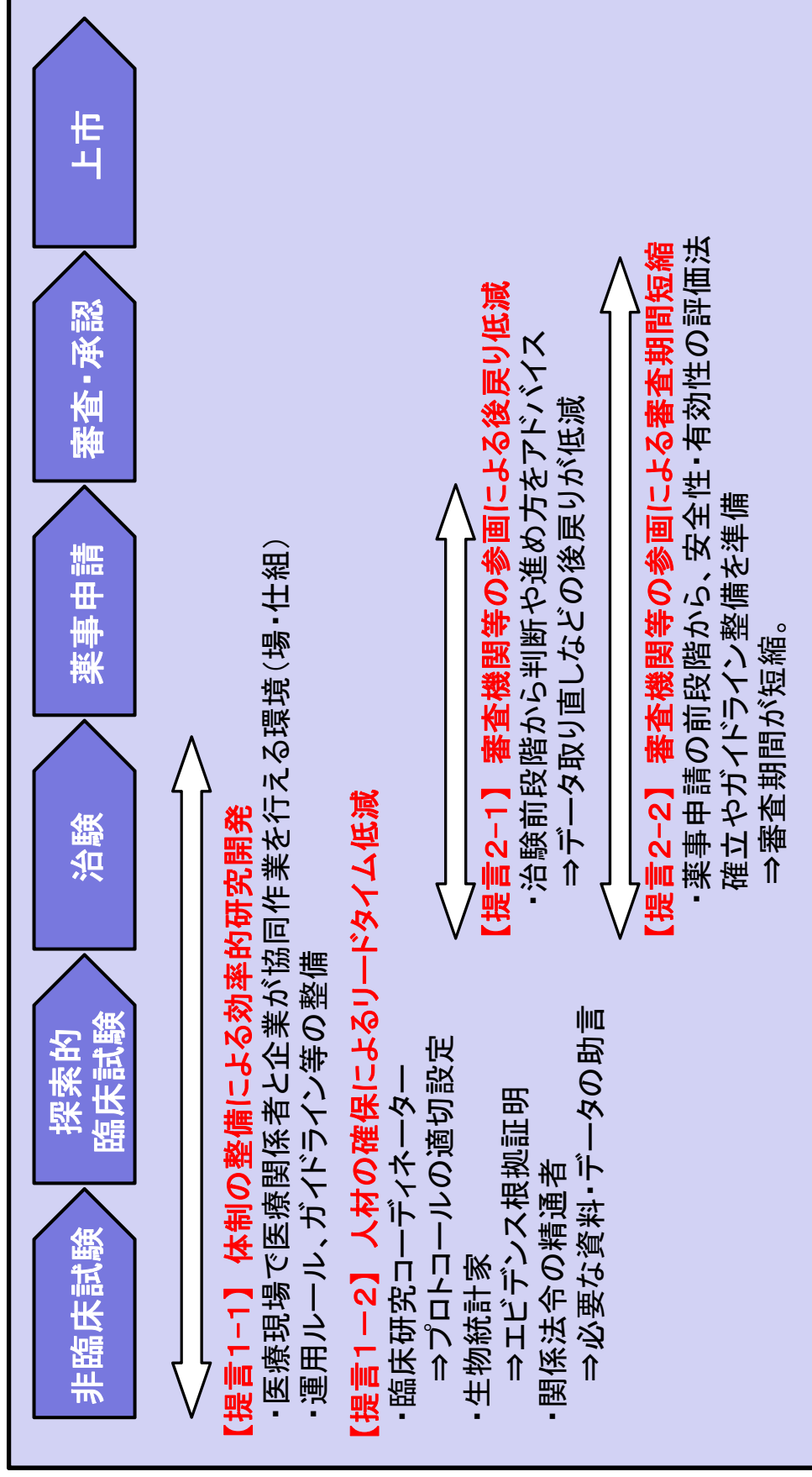
このような施策を一時的な促進事業でなく恒常的な仕組みとして定着させ拡大することで、世界初/日本発の医療技術を短期に開発して早期の市場導入を実現することを要望する。

以上

## 世界初/日本発の医療技術を短期に開発して早期の市場導入を実現するための提言

【提言1】 質の高い臨床研究を行うため、中核病院において短期間で効率的に臨床研究を進められる体制の整備と人材の確保を行うこと。

【提言2】 世界初/日本発の医療技術の薬事承認を迅速に行うために、審査機関等が治験前段階から臨床研究に参画し、判断や進め方を早めるアドバイスを行うこと。



**厚労省『革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業』と研究開発事例**

- 促進事業における考え方と施策
  - ・臨床中核病院等の整備および機能強化 ⇒ 臨床研究の支援
  - ・技術の進歩に対応する薬事承認審査・安全対策の強化 ⇒ 人材育成、ガイドラインの作成
- 研究開発事例
  - 国立がんセンター東病院「代謝イメージング内視鏡の有効性・安全性評価方法の確立事業」

**(1) 研究開発体制 医療機関、行政機関、大学、企業の連携**





## (2) 技術開発：低酸素イメージング(内視鏡)

センシング、画像処理等のコア技術による先進医療技術の開発

