

医薬品の研究開発における 論点と対応案について

令和5年11月20日

内閣府 健康・医療戦略推進事務局
厚生労働省

項目1：アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

大論点

アカデミアと企業の共同研究やアカデミアによる出口を見据えた開発等をいかに推進するか。また、橋渡し支援や伴走支援をいかに強化・充実させていくか。

(1) 共同研究、連携促進等

小論点	対応案
1. 日本では、アカデミアと企業の共同研究等の協力活動が欧米と比較して十分になされていないのではないかと。連携を促進するために、どのような対応を実施すべきか。	① より研究開発初期の段階での、アカデミアと企業の連携を促進する機会創出や、共同研究を推進する仕組みを構築 ② 大手製薬企業のCVC（corporate venture capital）活性化
2. アカデミアでは論文作成を重視するため、非臨床POCの取得自体が最終目標となってしまう傾向があるのではないかと。医薬品の承認をいかに（効率的に）取得するかをより考慮すべきでは。	① 非臨床POC、臨床POC、企業導出（特許収入等）などその目的を明確化 ② AMEDの課題採択にあたり将来の臨床POCにつながる研究を重視 ③ 研究評価のあり方の改善（企業導出やベンチャー設立などをより評価） ④ 単なる臨床研究ではなく、将来の承認申請を目指した治験の重要性を意識付け

項目1：アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

(2) 伴走支援・橋渡し支援

小論点	対応案
<p>1. 伴走支援のプログラムはあるが、質的・量的に十分な支援となっていないのではないか。もしくは効果的な枠組みになっていないのではないか。</p>	<p>① AMEDにおいて企業ニーズを踏まえた特許取得のタイミング、内容を助言できる専門人材の獲得・拡充</p> <p>② AMEDにおける目利き・ハンズオン機能のさらなる強化</p>
<p>2. 橋渡し機能のさらなる強化と充実に向けてどのようなことができるか。</p>	<p>① 産学官連携の組織と人員の強化</p> <p>② 有能な企業経験者、海外人材を呼び込めるような制度</p>

項目 2：新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

大論点

諸外国では、融合研究により新規モダリティの開発が進んでいるが、日本の医学研究は閉鎖的で他の学問領域との融合研究が進んでいないのではないかと。

(1) 異分野融合

小論点	対応案
1. 異分野の研究者のコミュニケーションをどのように促進すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 研究分野が異なる研究者間のコミュニケーションの仕組みの構築、アンダー・ワンルーフによる交流促進② 企業とアカデミア等の連携・人流の仕組みの構築
2. 異分野融合の阻害要因をどのように克服すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 研究課題設定、選定の改善② 研究評価の改善

項目 2：新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

大論点

RWDやゲノムデータの基盤は整備が進むが、研究開発において利活用しやすいものにはなっていないとの指摘があり、改善が必要ではないか。

(2) データ利活用

小論点

1. データの創薬への活用において、生み出されたデータを利活用するまでの各プロセスにおける課題をいかに克服するか

対応案

- ①研究者による具体的な利活用を念頭におき、国際的視点をもったオープンなデータ利活用の促進
- ②必要なときに簡便に活用することを可能とするための体制の整備
- ③ELSI*への対応、患者市民参画（PPI**）、国民の理解の促進

*Ethical, Legal and Social Issues , **Public Patient involvement

項目3：新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

大論点

新規モダリティ製品開発の観点からレギュラトリーサイエンス（RS）研究をどのように実施すべきか。実験動物（特に霊長類）の不足等、新たな課題にどのように取り組むべきか。

小論点

対応案

1. 新規モダリティ製品開発のために、RS研究を推進し積極的に該当する開発ガイドライン等を整備する必要があるのではないか。また、それを国際的なガイドラインとし、国際標準作成をリードすべきではないか。

- ① 規制当局が新規モダリティの国際的な開発動向を把握し、RS研究によりその特徴を踏まえたガイドラインを作成。直ちにガイドラインにできないものについても、開発の目安となる文書を作成。
- ② 医療DX（AIの利用含む）の進歩を前提とし、RS研究による薬事規制分野のDX化を推進
- ③ 臨床試験法に関するさらなるRS研究の推進
- ④ 上記について、国際的な規制調和の場であるICHやICMRAに上記ガイドライン等を提案。国際標準の作成をリード。
- ⑤ RS研究推進を担う人材を育成。特に、生物統計家、疫学家、データサイエンティストなど。

2. 近年の実験動物の国際的な不足や有事による供給不足に対応するための方策を検討すべきではないか。

- ① 動物代替試験法若しくは霊長類を利用しない動物試験法の開発
- ② 先進技術を活用した医薬品製造・品質管理の推進

項目4：人材育成（データサイエンティスト、研究支援人材等）

大論点

医薬品開発に必須かつ重要な人材をどのように育成し、確保すべきか。
生物統計家、Project manager、データサイエンティスト、研究支援人材、バイオ製造人材、
生物化学人材（オルガノイドやモデル生物、立体構造の研究者）、vc人材、知財管理、治験人材

小論点	対応案
1. 人材をどのように育成すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 継続的な人材育成② 教育プログラムへの反映③ On the Job training④ スタートアップの起業支援の充実
2. 育成した人材をどのように定着させるか	<ul style="list-style-type: none">① 雇用・待遇改善（多様な人材確保と多様な評価軸）② プレゼンスの向上（異分野連携）
3. 人材の流動化（産学の間や国際的な頭脳循環の促進）	<ul style="list-style-type: none">① 先端国際共同研究推進事業（ASPIRE）の拡充② 人材プール（登録）の設置

大論点

ベンチャー育成エコシステム（水平分業体制）を成熟させ、インキュベーション機能が存分に発揮されるためにはどうすればよいか。また、国内ベンチャー/VCが著しく少なく、規模も小さいため、資金調達が困難な状況をいかに打破するか。

小論点	対応案
<p>1. ベンチャー育成エコシステムの成熟に必要な資金、シーズはどのように調達・獲得するか</p>	<ul style="list-style-type: none"> ① 多様な研究財源の獲得 ② 多様なシーズ（医薬品候補品）の獲得
<p>2. ベンチャー支援に関する事業（主に環境整備の観点）がさらに必要ではないか</p>	<ul style="list-style-type: none"> ① 少量生産スケール製造設備の充実

小論点	対応案
<p>3. オーフアンドラッグ、小児用医薬品の開発は欧米より遅れており、ドラッグロス問題をかかえる領域となっている。これらの医薬品の開発を進めるには、どのような対応を講じていく必要があるか。</p>	<ul style="list-style-type: none"> ① 希少疾病用医薬品の開発を促すための薬事制度等のさらなる充実 ② 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理 ③ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外検討会議」の利用促進等 ④ “新しい”希少疾病医薬品の開発のための、疾患メカニズム解明・研究の促進 ⑤ 成人用の薬事申請時に小児用の開発計画策定を促し、PMDAが確認する仕組みの導入等

項目 6：パンデミックに対処するワクチン等の迅速な研究開発

大論点

新型コロナウイルス感染症の経験及び「ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）」を踏まえ、画期的なワクチンを国内で迅速に研究開発し、国民に供給するためにはどのような取組を行うべきか。

小論点	対応案
1. 事業予測の難しいワクチン事業へ企業の参入を促すには何をすべきか	<ul style="list-style-type: none">① 投資判断のハードルを下げるpush型支援（研究開発予算の安定的な確保等）② pull型インセンティブ（開発成功時の収入保障等）の設定について検討
2. 感染症有事の際の大規模臨床試験の実施体制をどう構築すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 被験者となる健常人を効率よくリクルートする方法の検討（平時からパネルを構築する等）② 項目7参照
3. 未知の病原体に対するワクチンを含む新たなワクチンの研究開発をどのように推進すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 「重点感染症」の暫定リストの逐次の見直し② 研究開発に必要な病原体・検体等を速やかに入手・分与できるよう、ネットワークを平時から構築③ ワクチン研究開発基盤の充実及び安定的な予算の確保④ 診断薬ならびに感染症治療薬に対しても、上記1および2と同様の観点で研究開発体制を充実

項目7：治験実施体制（特に、国際共同治験）の強化と環境整備

大論点

日本の治験パフォーマンスは海外に比して低く、

- ①基礎研究から実用化における「死の谷」とよばれるとともに、
- ②国際共同治験において日本が選ばれないことがドラッグラグ・ロスの一因となっているといわれている。必要な体制強化・環境整備は

(1) 治験施設、関連施設

小論点	対応案
1. 治験実施施設のレベルやパフォーマンスを高めるためには何をすべきか	<ul style="list-style-type: none">① 臨床研究中核病院制度の見直し② 臨床研究中核病院を中心とした治験ネットワークの強化③ 臨床研究中核病院のDX化徹底④ 医療機関スタッフの育成・支援
2. 治験関連施設として、どのような機関をどのように育成・支援すべきか	<ul style="list-style-type: none">① 治験の前提となる治験薬製造のためのCMO/CDMOの育成・支援② 大規模な臨床試験や国際共同治験に対応できる国内CRO、ARO及びSMOの育成・支援

項目7：治験実施体制（特に、国際共同治験）の強化と環境整備

（2）治験手続き等

小論点	対応案
1. 患者リクルートの仕組みを強化するためにどのような対応が必要か	<ul style="list-style-type: none">① 国民・患者への治験の重要性の理解を推進② ワクチンに対しては、正しい情報の周知等によるVaccine Hesitancyへの対応強化③ 平時からの大規模患者パネルの構築および、疾患レジストリや患者データベースの有効活用④ 臨床研究中核病院を中心とした治験ネットワークの強化（前頁（1）-1-②参照）
2. 治験手続きの煩雑さ、不透明さをいかに軽減するか	<ul style="list-style-type: none">① 治験手続きの標準化、透明性の確保② 治験関連文書の電子化③ Central IRB設置と活用の推進④ 治験DX、特にDCTの推進⑤ 国際共同治験に対応するため、代表窓口の設置とワンストップサービスの提供

項目7：治験実施体制（特に、国際共同治験）の強化と環境整備

(3) 薬事規制等

小論点	対応案
1. 薬事規制のさらなる合理化を進める必要があるのではないか	① 各種ガイドラインの整備 ② 国際共同治験に参加するための日本人データの必要性の見直し ③ 治験における規制対応（GCP運用）の効率化
2. 上記を推進するため、PMDAの体制強化も必要ではないか	① PMDAの海外拠点の早期設置 ② ①を活用した日本の薬事制度の普及

(4) その他

小論点	対応案
1. 日本の治験の優れた点を整理し、国内・国際的にアピールする必要があるのではないか	① 日本の治験状況について、調査・解析。その上で、日本の治験の優位性を各国、海外企業等にアピール。 ② 治験に関する情報を一元的に収集するとともに、英語にて情報発信。世界に日本の治験状況を見える化。
2. 臨床研究（論文）より治験（承認）を重視するアカデミア体制を構築する必要があるのではないか	① 臨床研究中核病院制度の臨床研究の承認要件として国際共同治験を重視する方向で検討。ネットワーク支援も国際共同治験を重視する。 ② AMEDの課題採択において、出口（承認）を意識した研究をできるだけ採択。