

医療分野の研究開発に関する総合戦略（基本的考え方）
（案）

資料 2

平成 25 年 1 2 月 1 6 日

目次

I. はじめに

| | |
|---------------------------------------|----|
| 1. 医学研究の新しい展開について | 3 |
| 2. 医療分野を巡る現状認識と新たな医療分野の研究開発の取組の開始について | 4 |
| 3. これまでの検討の経緯と進捗 | 5 |
| 4. 総合戦略の位置づけ | 5 |
| 5. 総合戦略の実現により期待される具体的将来像 | 6 |
| (1) 国民に対し、世界をリードする医療提供を実現する国 | 6 |
| ① 国民の健康寿命の延伸 | |
| ② 国民・社会の期待に応える医療の実現 | |
| ③ 我が国の技術力を最大限生かした医療の実現 | |
| (2) 医薬品・医療機器関連分野における産業力の向上 | 7 |
| (3) 医療の国際連携、国際貢献を進める国 | 7 |
| 6. 我が国の課題 | 8 |
| (1) 基礎研究の抱える課題 | 8 |
| (2) 臨床研究の抱える課題 | 9 |
| (3) 産業界の抱える課題 | 9 |
| (4) 研究支援体制の抱える課題 | 10 |

II. 課題解決に向けて求められる取組

| | |
|-----------------------------------|----|
| 1. 基礎研究成果を実用化に繋ぐ体制の構築 | 11 |
| (1) 臨床研究・治験実施環境の抜本的向上の必要性 | 11 |
| ① 症例集積性の向上と治験に係るコストの適正化・スピード、質の向上 | |
| ② 研究者・専門家の育成・人材確保 | |
| ③ 臨床研究のための共通的な基盤の共用 | |
| ④ 研究不正・研究費不正使用等防止への対応 | |
| ⑤ 患者との連携及び国民への啓発活動等への取組 | |
| (2) 「循環型研究開発」の推進とオープンイノベーションの実現 | 13 |
| 2. 医薬品・医療機器開発の新たな仕組みの構築 | 14 |
| (1) 医薬品分野 | 14 |
| (2) 医療機器分野 | 15 |

| | |
|------------------------------------|----|
| 3. エビデンスに基づく医療の実現に向けて | 16 |
| 4. ICTに関する取組 | 16 |
| 5. 世界最先端の医療の実現に向けた取組 | 17 |
| (1) 再生医療の実現等 | 17 |
| (2) ゲノム医療の実現 | 18 |
| (3) その他の先進的な研究開発への取組 | 19 |
| 6. 国際的視点に基づく取組 | 20 |
| (1) 国際的視野でのテーマ設定 | 20 |
| (2) 国際協力・展開及び国際貢献（欧米、アジア等） | 20 |
| (3) 規制の国際整合等 | 20 |
| 7. 人材育成 | 21 |
| 8. 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備 | 21 |
| 9. 研究基盤の整備 | 22 |
| 10. 知財のマネジメントへの取組 | 22 |

Ⅲ. 新たな医療分野の研究開発体制に期待される役割

| | |
|------------------------------|----|
| 1. 新独法に期待される機能 | 23 |
| (1) 医療に関する研究開発のマネジメント | 23 |
| (2) 臨床研究・治験データマネジメント | 24 |
| (3) 実用化へ向けた支援 | 24 |
| (4) 研究開発の基盤整備に対する支援 | 24 |
| (5) 国際戦略の推進 | 24 |
| 2. 基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 | 25 |
| 3. 共通基盤の整備・利活用 | 28 |
| 4. 臨床研究中核病院（仮称）の医療法上の位置づけ | 29 |

I. はじめに

1. 医学研究の新しい展開について

バイオテクノロジーのみならずナノテクノロジー及び情報通信技術など近年の科学技術の進歩により、世界的に革新的な医療技術が相次いで開発され、我が国でも医療におけるイノベーションが期待されるようになった。特に、疾病の制圧と健康な社会の構築を目標とする医学研究においては、臨床現場で活用される医療技術の開発が研究の目標となるが、そのためには乗り越えなければならない多くの課題がある。

基礎科学の成果を疾患の克服に向けて具体的に生かすためには、何よりも研究者の自由な発想に基づく幅広い基礎研究の重要性を認識し、基盤を構築していかなければならず、これは、今後も推進しなければならない。特に、疾患の基礎研究、すなわち、疾患の病態生理を解明し、生体の恒常性の維持と破綻のメカニズムを明らかにする研究を推進する必要がある。これらの基礎研究の成果は、人間の疾患について検証され、治療・診断用の薬剤や医療機器を開発することが求められる。しかし新しい薬剤や医療機器が臨床現場で利用されるためには、安全性を確認したうえで、規制やガイドラインに対応しつつ臨床試験を行わなければならない。さらに医療技術が臨床現場に実装されたとしても、多数の症例を対象とする臨床疫学研究によって、その有効性、特に、予後に対する効果を他の技術と比較検証される必要がある。また、検証の過程において臨床現場からは新たな課題が抽出され、基礎研究に還元される必要がある。このように医療分野の開発研究には基礎研究と臨床現場の間の循環（「循環型研究開発」）（一種のPDCAサイクル）を構築しなければならない。重要なことは、人間を対象とする医療分野の開発研究は社会との協働、特に研究倫理の順守と透明性の確保が求められる点である。したがって研究にあたっては目的と目標を明確にし、十分な体制で実施しなければならない。さらに、研究開発をイノベーションに結びつけるためには研究費だけでなく、多彩な人材の育成、情報システムやデータ管理などの基盤整備、規制当局との連携などが必須であり、そのための社会システムの確立が欠かせない。

基礎生命科学の成果を医療技術の開発へ展開する研究は、近年、トランスレーショナルリサーチ（TR）と呼ばれている。研究の展開にはいくつかの重要なステップが存在する。すなわち、1) 生命科学の技術や知見をもとに疾患細胞やモデル動物等の生体試料において病態を解析し治療法を検討する、2) 実験動物における病態や治療効果が人間の病態にも適応できるか検討する、3) 新しい診断・治療技術を開発し医療現場に実装するなどである。トランスレーショナルリサーチにおいては臨床研究や治験の実施とともに倫理的・法的・社会的な観点等における規制対応も重要である。臨床医学におけるこうした研究に対し

て、医療イノベーションを推進する立場からは大きな期待が寄せられている。そして、これはむしろ社会と科学者が協働して行う新しい分野横断的な学術活動であり、国の科学技術政策において特に重要な課題の一つとして位置づけられるべきである。

本戦略が対象とする研究は、産学連携研究とも密接な関係にある。大学においては必ずしも産学連携が十分に行える体制になっていなかった経緯もあり、我が国では、産学連携体制を進めてきたところであるが、今後は、ビジネス創出やイノベーションの実現に直結するような実用化を念頭においた産学連携体制の整備を進めていく必要がある。本戦略は、我が国の基礎医学・臨床医学における透明性の高い産学連携研究を推進する上でも重要である。なお、研究開発の方針の策定やプロジェクトの選択にあたっては、専門家が医療上のニーズと実現可能性等について詳細な調査を行い、科学的合理性と透明性に基づく判断が尊重されるべきである。

2. 医療分野を巡る現状認識と新たな医療分野の研究開発の取組の開始について

我が国はすでに世界に先駆けて超高齢社会を迎えた（*1）。人口構成の変化は、既に日本の社会や経済に対して様々な影響を与えているが、今後より広範な分野で一層大きな影響をもたらすと予想されている。こうした社会的背景と前述の医学研究のあり方を踏まえ、我が国の基礎科学研究を展開して世界最先端の医療技術の開発を推進し、その成果を活用した医療による健康寿命の延伸を実現するとともに医療制度の持続性を確保することが、焦眉の課題とされるようになった。併せて、健康・医療分野に係る産業を戦略産業として育成し、経済成長への寄与（*2）によって超高齢社会を乗り越えるモデルを世界に発信することを政策課題として位置づけた。こうした問題意識から新たな取組が検討され、具体的な対応が開始されることとなった。

*1：平成22年の我が国の平均寿命は男性79.6歳、女性86.4歳。

我が国において65歳以上の高齢者の総人口に占める割合は、平成23年の23.3%から上昇を続け、平成72年には39.9%に達すると予測されている。

同時に、高齢化の進展に伴い、75歳以上の高齢者について、慢性疾患による受療、疾患の罹患率、要介護等の高い者は増加しており、平均寿命と健康寿命の差を短縮することが課題となっている。（出典：厚生労働省平成22年都道府県別生命表の概況、平成24年版高齢社会白書）

*2：世界の医療市場は、平成13年から平成22年まで年平均8.7%で成長を続けており、平成22年の市場規模は、約520兆円に達している。

平成23年には、医薬品・医療機器の貿易赤字は約2兆円に達する拡大傾向。（出

典：WHOデータ等をもとに内閣官房にて算出)

3. これまでの検討の経緯と進捗

20年以上続いた経済の低迷から脱却し、日本経済再生を目指す我が国の新たな成長戦略として、平成25年6月14日に日本再興戦略が策定された。本戦略は課題をバネに新たな市場を創造することを目指し、なかでも“戦略市場創造プラン”の柱の1つとして、「健康寿命」の延伸を掲げた。同テーマの取組にあたっては、2030年のあるべき具体的な姿として、以下の3つの社会像の実現を目指すものとされた。

- (1) 健康管理の充実や効果的な予防サービスにより、健やかに生活し、老いることができる社会
- (2) 医療関連産業の活性化により、必要な世界最先端の医療等が受けられる社会
- (3) 病気やけがをしても良質な医療・介護を受けることにより、早く社会に復帰できる社会の実現

すなわち、イノベーションの観点に加え、国民自身が疾病予防や健康維持に努めるとともに、超早期診断など適切な予防サービスを多様な選択肢の中で購入でき、必要な場合には、世界最先端の医療やリハビリが受けられる適正な環境が確立された社会を目指すこととされている。

このような社会の実現に向けた取組の一環として、医療分野の開発研究も取り上げられ、司令塔機能を担うシステムの創設によって医療分野の開発研究の一元的な支援と管理、基礎研究から臨床への橋渡し、質の高い臨床研究・治験が確実に実施される仕組の構築などが決定された。

併せて、「健康・医療戦略」が日本再興戦略と同日に関係大臣申し合わせ事項として取りまとめられた。健康・医療戦略では、「新サービスの創出（健康寿命伸長産業の創出）」、「新技術・サービスの基盤整備」及び「医療技術・サービスの国際展開」とともに、「新技術の創出（研究開発、実用化）」の全般的な方向性が示されている。

4. 総合戦略の位置づけ

本戦略の役割は、前述の日本再興戦略における重点化すべき研究分野とその目標を策定するとともに、新たな研究開発体制を構築することである。また、本戦略の実施のために必要な各省に計上されている医療分野の研究開発関連予

算を一元化することにより、研究支援と司令塔機能に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行うものである。さらに、本戦略に基づき、「研究テーマの策定」、「研究の進捗管理」、「事後評価」「新たな研究目標の策定」など、国として戦略的に行うべき実用化のための研究を基礎段階から応用段階まで一貫して支援するものとする。そのために基礎・臨床研究・創薬及び医療機器開発などの豊富な経験を有し、各研究制度や運用について総括するプログラムディレクター（PD）、各制度の個々のプログラムや研究分野で課題の選定、評価、フォローアップ等の実務を行う研究経歴のある責任者であるプログラムオフィサー（PO）等の適切な配置をするなど本戦略を実行するための中核機能を果たす独立行政法人を設置する。このことから本戦略は、今後の医療分野の研究開発に関する設計図ともいえるべき大きな方向性を示すものである。

本戦略は、近年の科学技術の急速な進展や、医療現場と医療産業のニーズの変化にも機動的に対応できるものとする。すなわち今後5年、10年乃至20年後における医療現場と医療研究開発及び関連産業等に関して期待される具体的将来像を描き、当面、今後5年間に国として研究開発において取り組むべき課題に関する戦略を策定するが、策定後は必要に応じ適宜見直すとともに、新たな重要課題に取り組むこととする。

5. 総合戦略の実現により期待される具体的将来像

本戦略の実現により期待される具体的将来像は以下のとおりである。

(1) 国民に対し、世界をリードする医療提供を実現する国

① 国民の健康寿命の延伸

我が国の国民の平均寿命と健康寿命（日常生活に制限のない期間）との差は、平成22年に、男性は9.1年、女性は12.7年となっている。今後、健康寿命の延伸に伴い、この差を短縮することができれば、個人の生活の質の低下を防ぐとともに、社会保障負担の軽減も期待できる。（出典：厚生科学審議会地域保健健康増進栄養部会・次期国民健康づくり運動プラン策定専門委員会「健康日本21（第二次）の推進に関する参考資料」）。

健康と疾病は必ずしも不連続なものではないことから、治療を中心とする医療だけでなく、まだ病気でない段階においても、疾患を高い確率で予測するとともに早期診断を行い、適切な対策によって発症、合併症や重症化を防ぐ取組をより重視することが望まれる。

また、近年の遺伝子解析技術の格段の進展により、エピゲノムを含む遺伝情報と疾患との関連の研究が急速に進んできていることも踏まえ、臨床情報とゲノム情報を組み合わせた個別化医療の実現も期待される。

② 国民・社会の期待に応える医療の実現

患者や社会の要請によりの確にこたえられる医療の実現も、医療分野の研究開発に関して期待される極めて重要な将来像である。このため、発症前からの取組等の先制医療に加え、可能な限り根拠に基づく医療を強化することや、現在の医薬品や医療機器では対応できない、または、対応が未だ不十分であるニーズへの適切な取組が求められる。

すなわち、現在、生涯のうちに約2人に1人は罹患し、3人に1人の死亡原因となっているがん、国民の健康に直結する大部分の疾患群の中核に位置している生活習慣病、高齢化の伸展等とともに、今後、益々、患者数が増加すると予測されている精神・神経疾患、世界のグローバル化により万全の対応が求められている感染症、その他にも我が国の疾患別医療費の上位を占める循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系及び結合組織疾患及び泌尿器系疾患、次世代を担う小児・周産期の疾患、希少な疾患や難病などの多岐にわたる疾患に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法の開発、医療機器の開発が推進される社会の実現が期待される。

③ 我が国の技術力を最大限生かした医療の実現

科学技術立国である我が国が、i P S細胞をはじめとする幹細胞を活用した再生医療技術やゲノム解析などの最先端医療技術だけでなく、工学や材料、製造業の特筆すべき課題解決力を最大限に生かした世界最先端の医薬品や医療技術を開発し、これらを速やかに国民に提供できる国を目指すことが期待される。

(2) 医薬品・医療機器関連分野における産業力の向上

平成13年から世界の医療市場は年平均8.7%で成長を続け、平成22年の市場規模は約520兆円に達している。その中で、我が国の貿易赤字（平成23年には、医薬品・医療機器についての貿易赤字は約2兆円）は拡大傾向にある。一方、科学技術全般で見ると我が国の基礎研究や関連技術の力は、まだ国際的にも競争力を保っている。したがってこの力を活かし、我が国発の創薬や機器及び医療技術開発を実現し、国の経済成長に貢献することが期待される。

(3) 医療の国際連携、国際貢献を進める国

我が国発の創薬や機器及び医療技術開発を実現し、我が国のみならず諸外国の医療の向上に貢献することは必須の課題である。更に、こうして実

現された我が国の医療技術や産業競争力を活かし、諸外国との連携による地球規模の課題への取組や、日本の優れた力を生かした国際貢献といった主導的取組を進める国となることも期待される。

6. 我が国の課題

基礎研究の成果が創薬や医療機器などの実用的診断・治療技術に必ずしもつながっていないことは、以前より再三にわたり指摘されてきた。その要因は、「基礎研究」、「臨床研究」、「産業界」及び「国などの研究支援体制」それぞれの段階に見出すことができる。

(1) 基礎研究の抱える課題

近年、中国や韓国等の新興国においても基礎研究への取組が強化され、日米欧を急速に追い上げてきているなど、基礎生命科学や臨床医学分野での日本の論文の国際競争力は相対的に低下傾向にあるものの、我が国の基礎研究力は国際的にも依然高い競争力を保っている（*5）。

*5：基礎生命科学、臨床医学分野の国・地域別論文数比較

（科学技術政策研究所 調査資料204 科学研究のベンチマーキング2011）

| 基礎生命科学分野 | 論文数 | トップ10%補正論文数 |
|-------------|-------|-------------|
| 1998年-2000年 | 世界第2位 | 世界第4位 |
| 2008年-2010年 | 世界第5位 | 世界第7位 |

| 臨床医学分野 | 論文数 | トップ10%補正論文数 |
|-------------|-------|-------------|
| 1998年-2000年 | 世界第4位 | 世界第4位 |
| 2008年-2010年 | 世界第4位 | 世界第9位 |

従来は基礎研究に携わる研究者自身の開発への興味や、製薬会社における研究開発過程で見出された知見に基づいて、製品開発に至ったケースが多く、個人の見識に強く依存しており、組織的なマネジメントはなされていなかった。

本戦略はこうした基礎研究力を更に充実強化し、その結果を展開する研究を促進するものであるが、この点、これまで、多くの基礎研究が論文発表で留まり、疾患の病態解明や病態に基づく創薬あるいは医療機器の開発・実用化に展開する研究は必ずしも活発ではなかった。これは研究者の志向の問題のみならず、これを推進する研究費や支援体制が十分ではなかったこと、さらには、成果の中から実用化につながる有望シーズを見出し、これを育成する体制や目利きが不足していたことによると考量される。

(2) 臨床研究現場の抱える課題

我が国の臨床研究現場は国際的にみていまだに課題が多く、製薬企業においても治験を海外機関で実施する傾向のあることは否めない。これは、治験や臨床研究における倫理規定、データマネージメント、安全性、品質保証などに関する国際基準がより厳格化されるなかで、我が国の対応が遅れたことと関係がある。治験や臨床研究においては厳密なデータ管理や各種規制への対応を行わなければならないこと、さらに医薬品や医療機器の有効性が生命予後や心臓発作、脳卒中などの低い頻度ながらも重大な事象を指標とされるようになったことは、臨床研究の大規模化と長期化に拍車をかけた。その結果、多くの研究費と強力な研究支援体制なしに治験や臨床研究を行うことがきわめて困難となった。

大学病院では疾患の病態研究については多くの国際的実績を挙げてきたが、研究体制の不備や人材不足により、臨床研究や臨床試験等は十分に行われてこなかった。国立高度専門医療研究センター（以下、「ナショナルセンター」と記載。）においては、特定の疾患群の治療を対象とした病院と治療技術の実用化に軸足をおいた研究所を併設しているという特長を活かして治験・臨床研究を実施し、一定の成果を挙げてきたが、企業との連携による創薬及び医療機器開発において貢献してきたとは必ずしもいえない。

このため、症例集積性の向上、治験・臨床研究手続きの効率化、研究者・専門家の育成・人材確保、治験・臨床研究の情報公開、治験にかかるコスト・スピード・質の適正化に関して、より一層の強化が求められる

(3) 産業界の抱える課題

我が国は、世界第3位の医薬品開発実績を上げているが、革新的な新薬の開発実績における存在感が低下していること、世界で売上高ランキングの高い医薬品の多くに日本人研究者が関与しているものの製品化に際して日本企業参画が非常に少ないこと等の指摘がある。

医療機器については、今後、特に診断・治療機器の分野において市場の伸びが期待されている。しかしながら、我が国の企業の参入は限定的であり、市場における日本企業の存在感も欧米企業に比べて小さいのが実情である。我が国が誇る高度なものづくり技術や大学等の工学的な基礎研究シーズが活かせる分野も多いが、こうした技術を有する企業や大学と医療現場の要請との適合が必ずしも十分でなかったことも課題として挙げられる。

また、日本の製薬・医療機器メーカーは売上高からみて欧米に比べてリスクを許容できる経営資源に差があり、さらに、近年、企業の医薬品研究開発投資

が巨額化しており、企業規模の違いから1社当たりの研究開発費の日米間の格差が拡大している。

欧米諸国等においては、創薬、医療機器開発においてベンチャーの果たす役割が大きい。これに対し、我が国においてはリスクマネーや目利き人材の不足をはじめ、ベンチャーの育つ環境は十分に整っていない。積極的にリスクを取って管理していこうとする者が少ない構造も相まって、ベンチャーの果たす役割は小さい状況にとどまっている。

さらに企業によっては医療の実態やアンメットメディカルニーズへの認識が必ずしも高くない。これは我が国では研究開発の基盤となる医療と疾病の実態を示すデータが十分でないこと、また企業に限らないものの、創薬を志向する研究者と臨床現場との間でのコミュニケーションが十分でないことも一因と考えられる。

(4) 研究支援体制の抱える課題

従来、医療分野の研究開発については、基礎研究から前臨床試験までに軸足を置いた文部科学省、臨床試験から実用化に軸足を置いた厚生労働省、および産業活性化の視点で推進している経済産業省により個別に実施されており、省庁間の連携が不十分であったことは否めない。このため限られた予算と人材を活用し、基礎研究から実用化までを切れ目なく実施できる体制の構築が喫緊の課題である。また、公的研究費の柔軟な使用について検討するとともに、民間からの資金を活用するために改正された寄附税制の活用を図るべきである。

以上のような医療分野の研究開発に係る背景と現状に鑑み、本戦略は、他国を模倣するものではなく、諸外国の現状や方向性を理解したうえで、我が国が現在有する人材や施設・設備、体制等を最大限に活用しつつ、必要な手当てを講ずるなど我が国の強みを生かして課題を克服するための独自の取組を推進するものである。

Ⅱ. 課題解決に向けて求められる取組

長期的視野及び短期的成果を目指す両面から、アカデミア、医療機関、産業界、国が連携しつつ、以下の取組を行っていくことが求められる。

1. 基礎研究成果を実用化に繋ぐ体制の構築

医療の研究開発を持続的に進めるためには、基礎研究を強化し、画期的なシーズが常に産み出されることが必要である。基礎研究成果を実用化に展開するためには、臨床研究・治験実施環境の抜本的な向上、及び我が国発の医薬品・医療機器の創出に向けたイノベーションの実現が鍵となる。

(1) 臨床研究・治験実施環境の抜本的向上の必要性

諸外国においては、臨床研究のために数千床規模の一か所集中型の臨床研究拠点を創設する例も見られる。一方、我が国においては、複数拠点のネットワークの構築を推進してきたところであり、ナショナルセンターや大学病院を中心とした橋渡し研究拠点、臨床研究中核病院及び早期・探索型臨床試験拠点等の分散型の拠点を活用し、それらを中心としたARO (Academic Research Organization)機能の構築による臨床研究が推進されている。臨床研究及び治験を進めるため、各施設で症例の集約化を図るとともに、今後も、これらの資源を有効に活用しつつ、以下のような更なる機能の向上を図り、国際水準の質の高い臨床研究・治験実施が確実に実施される仕組みの構築が求められる。なお、我が国の医療研究開発におけるナショナルセンターのあり方の検討をさらに深めてゆくべきである。

① 症例集積性の向上と治験に係るコストの適正化・スピード・質の向上

症例集積性の向上とコストの適正化、スピードの向上、ICH-GCP (Good Clinical Practice) 基準の推進など、臨床試験の質の向上を図ることが必要である。このためには、ALCOA原則に基づいた原資料作成、モニタリング、監査の実施等による品質管理と品質保証が求められる(注:ALCOA原則とは、研究における原資料の質に関してFDAのガイダンスの中で求められているAttributable (帰属/責任の所在が明確である)、Legible (判読/理解できる)、Contemporaneous (同時である)、Original (原本である)及びAccurate (正確である)5つの基本要素のこと)。その対応には各ネットワーク拠点となる臨床研究中核病院等のAROや中央倫理・治験審査委員会等の機能を活用するとともに、研究計画書(プロトコール)の策定、研究の進捗状況の把握、研究データの管理(データ入力・集計・解析)、研究成果や知的財産の管理等の研究開発マネジメントを効率的に実施する等、個別臨床研究に対する一貫したマネジメントが有効である。これにより、治験や臨床研究の手続きの効率化も期待される。また、研究成果を効率的

に薬事承認につなげられるように、PMDA（注：Pharmaceutical and Medical Devices Agency：独立行政法人医薬品医療機器総合機構）との連携を強化し、薬事戦略相談制度の拡充や優先的な治験相談制度の運用を改善する。

② 研究者・専門家の育成・人材確保

我が国の医療研究開発分野においては基礎研究論文が比較的高く評価される傾向があり、そのため基礎研究論文における我が国の国際的存在感が高い。一方、臨床研究論文に関する我が国の国際的存在感は低く、かつ低下傾向にある。臨床研究や治験を重要な医科学と位置付け、臨床研究の質と量を向上させることが必要である。そのためには、まず臨床研究に従事する人材の魅力的なキャリアパスを確立する必要がある。とくに、医学部、薬学部生等に対し、臨床研究に関する教育を充実するとともに、臨床研究や治験のためのポストの整備など、若手研究者の育成が求められる。

また、オミックス解析、生物統計、バイオインフォマティクス、ビッグデータ解析等にかかる生物医学系の情報科学分野の人材育成や確保は、今後の遺伝子情報や医療情報等を活用した臨床研究の推進にとっても必須である。

さらに、疫学専門家、生命倫理、研究倫理等の専門家の果たす役割がきわめて多大である。現在これらの人材が不足しているため、早急な人材の育成・確保が重要である。

③ 臨床研究のための共通的な基盤の共用

臨床研究のため大量に細胞培養を行うために用いるCPC（Cell Processing Center）等の構造設備及びGMP（Good Manufacturing Practice）基準準拠の製造管理・品質管理が可能な拠点並びにナノテクノロジー、エピゲノム解析、最先端の計測分析技術など特殊・高度な研究基盤を整備し、共用できる仕組みの構築が求められる。

④ 研究不正・研究費不正使用等防止への対応

近年、特定の高血圧症治療薬に関する研究論文のデータ不正操作・利益相反行為の問題が明らかになったが、このようなことが二度と起こらないよう臨床研究に関する情報公開、監査、モニタリング、利益相反管理、医師・薬剤師・研究者等への卒前・卒後の研究倫理の教育など、行政のみならず、研究開発現場におけるコンプライアンス遵守への取組の徹底が必須である。

⑤ 患者との連携及び国民への啓発活動等への取組

臨床研究の実施に当たっては、被験者や患者との連携、患者・国民への臨床

研究の意義、それが国民にもたらすメリットなどについての啓発活動は積極的に推進すべきである。特に、教育・研究を旨とする大学病院やナショナルセンターにおける取り組み方の検討が必要である。

(2) 「循環型研究開発」の推進とオープンイノベーションの実現

- ① トランスレーショナルリサーチ (TR) に関しては、基礎研究の成果を臨床につなぐ方向に加え、臨床で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRが重要である。これは多数の症例を対象とした臨床疫学等により可能となる。こうした循環型の対処法は新規の診断・治療技術だけでなく、既存の技術についても同様であり、医療分野の研究開発の基本である。
- ② 近年、開発費が高騰し、一企業のみで医療分野に関する研究開発を実施することは困難になりつつあることから、大学、研究機関、病院、企業等がネットワークを形成し、連携することの重要性が増している。限られた予算をいかに有効に医療・医療産業に応用するかを考慮し、戦略テーマを設定するとともに、知的財産を確保しつつ、オープンイノベーションの実現が求められる。
- ③ 産官学の連携を強化し、実用化研究と技術開発を推進するためには、コンソーシアムを形成し産学連携によるオープンイノベーション等の推進により次世代産業の育成を図るとともに、各種ファンドを通じた必要な資金の供給、中小・ベンチャー企業への支援等も重要である。また、医療分野の産業化の促進向上が必要である。
- ④ PMDAとの連携を強化し、薬事戦略相談制度の拡充、審査ガイドラインの整備、審査員の専門的知識の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンス（有効性・安全性の評価、開発・審査に関する開度ラインの整備等に関する研究の基となる科学）を普及・充実させる。また、研究開発における出口戦略を見据え、開発プロセスの早い段階からPMDAが関与することにより、相談・承認審査・市販後安全対策を通じて革新的な医薬品、医療機器の実用化に向け適切な対応を行うなど創薬・医療機器開発支援の充実強化を図る。
- ⑤ レギュラトリーサイエンスに基づいた研究開発支援を行うため、PMDAや国立医薬品食品衛生研究所と大学などとの人材交流を積極的に進める。

2. 医薬品・医療機器開発の新たな仕組みの構築

国内に埋もれている有望なシーズをくみ上げるシステムを構築し、それを実用化に結び付けるため、最終的なビジネスとしての発展も視野に入れつつ、基礎から臨床研究、実用化までの一貫した研究開発の推進、さらに臨床現場における検証と新たな課題を抽出できる体制の整備が必要である。

その際には、研究開発の出口を見据えた知財戦略と、基礎研究の成果の中から実用化に向けた可能性の高いニーズを見極め、臨床研究データの集積・活用を図り、しっかりと基礎から応用、臨床、実用化へと橋渡しがなされることが重要である。また、日本発の革新的医薬品・医療機器の実用化促進に向け、幅広い分野につき高度の知識・技術を有する人材の育成、医薬品・医療機器開発の基盤整備による効率化、迅速化、レギュラトリーサイエンス、知財に関する法制度の整備を同時に推進する必要がある。さらに、日常の臨床症例を登録するレジストリー研究のためのデータベース構築、ビッグデータ分析等のICT (Information and Communication Technology)の活用による研究開発の迅速化とコストダウンを図る必要がある。

新薬開発のための First in Human 試験（医薬品の第 I 相臨床試験において人に初めて投与すること）をはじめ、あらゆる治験の迅速な実施に向け、短期間で効率的な治験を行うため、ナショナルセンター、早期・探索的臨床試験拠点、臨床中核病院、橋渡し研究拠点等のネットワークを強化し、世界に通用する臨床研究を遂行すべく症例を集積しやすい環境を整備する必要がある。

なお、実用化へ向けた支援として、薬事戦略相談等に関する PMDA の体制強化と、PMDA と連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言、企業への情報提供・マッチング等、企業連携・連携支援機能の強化が必要である。

(1) 医薬品分野

我が国発の革新的医薬品開発を加速するためには、患者ニーズの把握等に努め戦略的なテーマを設定する必要がある。また、対象となる技術として、従来からの創薬資源である低分子化合物や天然物に加え、核酸、細胞、抗体／ワクチンといった新しい創薬資源に着目する必要がある。さらに、たんぱく質を中心にした生体高分子の分子機能を、その分子構造からの理解を目指すことを目的とした構造生物学の発展により、薬剤の分子設計が大きく進歩していることも念頭に置かなければならない。

創薬に向けては、アカデミアの研究成果からシーズを探索し、様々な分野の研究者が創薬関連研究支援基盤を活用しやすい環境を整備する必要がある。そのためには、創薬支援ネットワーク（平成25年5月開始）等を活用し、シーズの探索、知財管理、そして実用化に必要な応用研究などの支援を進める。ま

た、既存の薬剤や開発途上で中断した新規な薬理作用を示す化合物について、網羅的薬効プロファイリングを行うことによって新しい適応症を探索し、新たな効果を持つ医薬品として開発するドラッグ・リポジショニングに向けた研究体制の構築等についても視野に入れるべきである。

また、当初から G L P (Good Laboratory Practice) 及び G M P (Good Manufacturing Practice) 等の国際基準並びに品質、有効性、安全性を確保するレギュラトリーサイエンスを念頭に置いた研究の推進が必要である。さらに、大学発ベンチャー等のベンチャーの活用、分子標的薬等の効果あるいは副作用の危険性を予測するコンパニオン診断薬等の同時開発及び治験デザインの最適化を推進 (コンパニオン診断薬 (注: 特定の医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するものであって、当該医薬品の使用に不可欠な体外診断用医薬品又は医療機器 (単に疾病の診断等を目的とする体外診断用医薬品又は医療機器を除く)) することも有効である。

(2) 医療機器分野

全く新しい基礎技術シーズを臨床応用することにより実現されるような最先端の医療機器の開発に加え、我が国のものづくりの高い技術を継承、発展させることによる我が国発の多岐にわたる医療機器や周辺技術の開発を研究開発の出口を見据えつつ支援する必要がある。

この際、医療機器は、「現場ニーズにあった開発、現場での改良と修正・最適化」が極めて重要である。大学等の基礎技術シーズや先端的な計測分析技術などの共通基盤技術、中小企業等の高度なものづくり技術等を医療現場ニーズとマッチングさせる施策、あるいは「医療現場直結型研究開発拠点の構築を大病院をはじめとする医療機関に負託することによって、応用研究・試作開発の過程の加速を容易にし、臨床現場での評価を経て、医療機器として実用化させるための橋渡しが適切になされることが極めて重要である。

そのためには、① 医療現場のニーズを踏まえ、既存医療機器の改良・改善・最適化、医療現場が医療機器メーカーと協力して臨床研究、治験を実施する仕組みの整備、短期に実用化が見込まれる既存機器の改良・改善、医療現場等におけるニーズと大学等の基礎技術シーズや中小企業における高度なものづくりの技術シーズの適切なマッチング、② 医療 (市場) 及び実用化シーズの把握、選択と集中による研究開発プロジェクトの立案、③ 真の医療ニーズを見出す人材を育成するための仕組みの整備及び医療人材と開発人材の交流、④ 今後ニーズが高まる相対的にリスクの高い治療機器技術 (日本が強みを有する診断技術に治療技術を組み合わせたもの、ロボット技術等を活用した低侵襲治療機器等) ・高度診断技術、重粒子線がん治療装置等をはじめとした最先端診断・治療機器

技術の取組、⑤ 開発における事業化・薬事（非臨床試験や治験における有効性・安全性に関するエビデンスの迅速、的確な収集・評価を含む）・知財に係る戦略、開発を成功に導くための各種の支援が必要であることから関係機関が連携できるようなネットワークの構築、⑥ 継続的に開発力を強化するとともに、国際的な産業競争力の向上を実現するためのプラットフォームの構築、⑦ 障害者の機能支援機器への取組等の施策が必要となる。

3. エビデンスに基づく医療の実現に向けて

近年、エビデンスに基づく医療の重要性が増しているとともに、臨床研究・治験における国際競争力の強化に向けても、客観的データを活用した取組の必要性が増している。医療技術の評価には介入型臨床研究が最も重要であることは論を待たないが、介入研究だけでなく、レジストリー研究も劣らず重要であり、これを推進する基盤整備や情報技術の発展が望まれている。

特に、大規模ゲノム解析技術等の進展による遺伝子情報と疾患や薬効との関係の解明が進むことに伴い、疾患予防、治療方法の選択、予後対応といった各種段階に対して貢献するべく、十分な臨床情報が付帯した良質な資料を保有するバイオバンクや、疫学研究の重要性が増している。我が国においては、従来より、大規模コホートやバンクに加え、各種の目的で地域毎の取組も実施されていることから、それらをネットワーク化し、効果的な相互活用を目指すことが求められる。これら試料や情報は大規模かつ多岐にわたるため、それらを統括して進めることが重要であり、そのもとで、臨床試料、臨床情報を有効活用すべく、生命倫理の課題等への対応の支援、疾患検体バンクの整備を行うとともに、企業から匿名化されたデータへアクセスできるようにすることについても検討すべきである。

医学研究の重点研究領域の設定に際しては、従来からの地道な疾患研究や疫学的な調査研究がおろそかにならないよう十分な配慮が必要である。

4. ICTに関する取組

我が国の医療情報のICT化に関しては、研究開発においても十分に有用かつ適切に電子化されているとはいえない。そのため、電子カルテの活用等ICTによるビッグデータの活用を含む実践的なデータベース機能の整備が早急に求められる。その際、医療情報の利活用を促進するための工夫とともに、国民全体が利益を享受できる社会的なルールの整備が必要である。

効率的な臨床研究・治験の実施に向けた症例集積性の向上に関する重要な取組は、Ⅱ. 1 (1) ①に述べられているが、国民の医療情報、健診情報及びレセプト情報等の各種データを更に柔軟な形で統合することができるような技術

の実装、標準化やルール等の早期の確立が求められる。

医療情報のICT化の進展に伴い、必要に応じて研究目的での利用に向けた第三者に提供する場合の医療情報の扱い等に関する条件を法改正の必要性も含め検討、整備することが重要である。

また、遠隔医療技術に関する研究開発、生体シミュレーション技術の開発と活用、ゲノム医療実現のためのデータ解析技術、問診・診断・手術・治療における一層のデジタル技術の活用等、医療の包括的なICT化に関する研究開発等を推進するとともに、当該医療情報を扱うシステム間における相互運用性を確保する必要がある。

5. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

再生医療やゲノム医療の実現といった世界最先端の医療の実現に向けた研究開発も、科学技術先進国たる我が国が重点的に取り組むべき重要な課題である。

このような最先端医療の開発に当たっても、基礎研究の果たす役割は重要である。我が国の基礎研究力は未だ国際的にも競争力を保っているものの、革新的かつ医療ニーズに応える上で優れたシーズを将来にわたって創出し続けるためには、基礎研究への投資を怠ることなく、分野横断的な研究を推進することが必要である。加えて、基礎から臨床への流れだけではなく、両者間の緊密なフィードバックが不可欠であり、両者に対する同時支援が必要である。また、アカデミア創薬からの医薬品実用化においては、化合物ライブラリーなどのリソースや技術を有する製薬企業との協働・協力が不可欠であり、産学連携への継続的な支援が必要である。

なお、このような取組に当たっては、研究開発の着実な推進に加え、最先端がゆえに生じる課題やリスクを解決する社会の受け入れ態勢をも同時に整備する必要がある。

さらに、基礎研究の成果を出口に繋げていく際には、その研究の当初から、患者をはじめとする国民のニーズに基づき出口戦略を明確にした工程表等に基づいた知的財産権を含む計画的、戦略的な取組や、研究の進捗に伴う客観的な評価を行いつつ推進することが求められる。

(1) 再生医療の実現等

iPS細胞等を含む幹細胞を用いた再生医療・創薬研究において、我が国の優位性を維持するためには、疾患の病態解明に加え、iPS細胞等の基礎研究、前臨床研究、臨床研究を引き続き重点的に推進するとともに、我が国が得意とする技術を活かし、世界に先駆けて自動大量培養装置や周辺装置等が開発できるよう産学連携が求められる。また、基礎研究から次のフェーズへ進めるため

にも、再生医療に用いる原材料の大量かつ安定的な国内生産及び供給体制が不可欠であり、GMP管理下での製造・品質管理体制を構築する事業を産学連携のもとで推進する必要がある。また、iPS細胞等のバンク化、及び他家細胞移植治療の推進のため、他家細胞移植治療の基礎研究、前臨床研究、臨床研究・治験を加速させる必要がある。

再生医療製品は、非臨床試験から製造販売承認まで長期間がかかることに加え、製造プロセスも多く、衛生管理も極めて高度であり、かつ試験検査にも多額の費用を要するため、PMDAの薬事戦略相談による助言も含め、切れ目ない長期支援、一貫したサポート体制が必要である。また、研究者—企業間の個別の共同研究を公的プロジェクトと同時並行に推進でき、かつ相互に連携して実施できる体制づくりが必要である。すなわち、各省庁一体となり、基礎研究・橋渡し研究・応用研究・実用化支援へとそれぞれの成果をつなぎながらの一貫性のある支援が必要である。

一方、信頼性、国際競争力を維持するためには、製品の生産及び供給体制に応じた規制も必要であり、高い品質を確保するための試験検査実施体制を構築することが必要である。

開発費用、期間が無駄にならないよう、ストック用iPS細胞等の再生医療製品の規格や審査基準やiPS細胞由来分化細胞を用いた医薬品評価法・臨床研究・治験の審査基準を策定することが必要である。日本発のiPS細胞・分化細胞を海外にも普及させるため、ドナーの選択基準や細胞培養に用いる原材料の基準、医薬品評価法の国際標準化、さらには、製造や検査を実施する施設基準など、国際的な調整・交渉と整合化が必要である。

ヒトiPS細胞の臨床応用には、倫理的、法的及び社会的課題があるため、研究者のみならず、社会全体で議論を行い、丁寧な合意形成を経て決めていくことが必要である。また、iPS細胞については、再生医療のみならず、それを活用した創薬研究を強化することが重要である。難病をはじめとした疾患特異的iPS細胞の樹立・ストック、解析方法などの技術開発、それをを用いた疾患研究および創薬研究を、産官学が連携し、基礎研究・橋渡し研究・応用研究を、一貫性を持って推進することが必要である。

(2) ゲノム医療の実現

ゲノム解析技術の著しい進展により、誰もが自分のゲノム情報を利用できる時代が到来しつつあり、抗がん剤の選択に代表されるようにゲノム医療が既に開始されている。我が国においては、バイオバンク事業を展開し、疾患関連遺伝子の同定に成果をあげているが、ゲノム医科学の成果を臨床現場に普及する具体策を講ずべき時期に来ている。具体的には、我が国の強みを活かしたゲノ

ム医療、特に疾患の診断治療だけでなく、重症化や薬剤副作用の予防、発症予防の実現に向けた研究開発の促進及び環境整備などが必要である。

このため、研究基盤（バイオバンク、ゲノム解析、ゲノムコホート研究）の強化が重要であり、基盤整備にあたっては詳細な臨床情報が付帯した良質な生体試料を収集・保存することに留意すべきである。これらの臨床試料を医療・創薬に活用するためには、必要なデータを確実に取得する計測技術や膨大なデータを解析する技術、スーパーコンピューターの整備、データベースを含めたシステム環境の整備・運用が必要である。また、ハードの整備を進めるとともに、バイオインフォマティクス専門家の育成も進める必要がある。

さらに、生体分子ネットワーク解明の体系的研究を通じた疾患発症機構の解明に向け、多角的な情報を融合させることが重要であり、ゲノム解析拠点、オミックス解析拠点、画像解析拠点を整備し、それらをネットワーク化し、集中して解析することが必要である。そのために全体を統括する推進体制の整備が求められる。また、臨床試料・臨床情報及び情報処理システムを外部にも利用可能とし、研究開発をさらに加速化することが求められる。その他、環境と遺伝の相互作用に関するエピゲノム研究を強力に推進することも必要である。

個別化医療等については、コンパニオン診断薬の同時開発及び治験デザインの最適化を推進する必要がある。

ゲノム・エピゲノム情報、あるいはバイオマーカーに基づく個別化医療は、これからの世界の医療において主流になることが見込まれており、産学連携した簡便、安価、高精度な遺伝子診断キット等の開発、新たなバイオマーカーの開発による高度化などの展開も期待される。疾患の本態解明に加え、特定健康診断等の情報とゲノム情報を融合することにより国民の健康寿命延伸に向けた予防への利用も期待される。臨床情報等の取扱いに関しては、倫理的・法的及び社会的課題についての対応や、各種倫理指針を履行するための支援が必要である。また、協力をいただく患者や住民、地域と医療従事者側の協働が求められる。

本領域の取組に当たっては、国際的な連携や協力も忘れてはならない。ゲノム解析技術及び医療ビジネスで世界を先行する米国や大規模コホートで実績のある英国、スウェーデンをはじめとした欧州、類似性の高いゲノム情報を有する近隣アジア諸国との連携などにつき、我が国と世界の研究開発動向を踏まえ、また、国際競争力の観点からも戦略的に行うべきである。

（3）その他の先進的な研究開発への取組

高度な科学技術を有する我が国にとっては、上記以外にも、各疾患の病態解明を進めるとともに、これに基づく遺伝子治療、ウイルス療法、免疫療法、ワ

クチン療法、分子標的治療、核酸医療等の新たな治療法の開発や、高精度かつ安全性の高い診断や治療に資する革新的医療機器、核酸医薬品や次世代バイオ医薬品等の開発等、将来の医薬品、医療機器や医療技術の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成についても、積極的な取組が求められる。なお、特に将来の市場規模の拡大が期待されるバイオ医薬品に関してはより強力な取組が求められる。

さらに、世界最先端の医療を実現するために必須であり、かつ年間2兆円にもおよぶ貿易赤字の解消のためにも、最先端の医科学・医療分野の研究開発と臨床応用を強力に支援する次世代型計測分析評価技術・機器・システム開発の特段の強化・促進が喫緊の課題である。

6. 国際的視点に基づく取組

(1) 国際的視野でのテーマ設定

実用化に向けた研究開発テーマの設定や取組の検討に当たっては、国内のみならず、国際的な研究開発の現状や産業界における競争力等の国際動向や国際的な標準化の現状について正確な把握を行うことが必須である。このため、テーマの設定に当たっては、国際的な視点も検討すべきであり、個別の分野に関する専門家に加え、国際的思考のできる人材の育成と活用が必要である。また課題の選考にあたっては、当該専門領域の科学者の意見を十分に聴取する。

(2) 国際協力・展開及び国際貢献（欧米、アジア等）

医療分野においても国際共同研究の重要性は議論をまたない。最先端ゲノム医科学や次世代診断・治療技術の開発等、先端的分野における欧米との協力、遺伝子レベルでの共通性のあるアジア諸国との連携、交通や物流のグローバル化により国際連携での取組が必須となった感染症対策に関しては、アジア・アフリカを含む二国間及び多国間での協力等、多様な協力への対応が必要である。

また、難病やその他の疾患の患者データの精度を向上させ有効活用を図るためには、国際協力の推進が不可欠である。質の高い臨床研究、研究ネットワークの構築等の国際共同研究を実施するための支援体制の強化も求められる。画像診断分野では、医療機関との強い連携のもと、コア技術を構築し、先進医療技術を開発してきた。これをさらに強化し、医療への貢献、海外展開を加速すべきである。加えて、アジア、アフリカなどとの相手国の実情に適した医療協力を通じ、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業力の強化を目指す必要がある。

(3) 規制の国際整合等

我が国の医薬品、医療機器等がスムーズに世界のマーケットに参入できるよう、規制の国際整合に取り組むとともに、規制業務に係る人材の育成・体制の強化を積極的に行う必要がある。

7. 人材育成

医療分野の研究開発ポテンシャルの向上には、関係するあらゆる分野における人材の育成、確保が重要であることは議論をまたない。

人材育成に関しては、臨床研究の観点からも大学の果たすべき役割が鍵である。特に、卒前教育に臨床研究方法論、臨床疫学、生物統計学を組み込み、学生にも臨床研究に関する教育を実施することが期待される。また、若手研究者を持続的に支援することで、基礎から臨床研究治験まで精通し、かつ、世界をリードする学術的な実績があり、強力な指導力を発揮できる人材を育成することが重要である。

さらに、研究者等の人材の流動性向上のための取組も重要である。加えて、専門家のみならず国民全体の健康や病気に関する理解力（リテラシー）の底上げも重要な課題である。

また、リーダーとなる研究者の育成のみならず、必要な専門人材、具体的には、生物統計家、CRC（治験コーディネーター）、データマネージャー、知財、有効性・安全性の評価、規制、倫理、広報などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家を育成・確保や適正な評価をするとともに、キャリアトラックを確立する必要がある。こうして育成された人材を橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核拠点、早期・探索的臨床試験拠点に複数配置するよう配慮する必要がある。

さらに、革新的な医療技術等をより早く医療現場に届けるため分野横断的な研究を推進し、イノベーションの創出を行いうる人材の育成が重要である。

8. 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備

公正な研究を行う仕組みとして、効率的な臨床研究・治験実施のためのデータベースの構築や、臨床研究・治験の監査やモニタリングの確立を図る必要がある。具体的には、研究計画書（プロトコル）の策定、研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力・集計・解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究開発マネジメントを効率的に実施することが必要である。

また、現在検討されている「臨床研究に関する倫理指針」の見直しを着実に進めるとともに、倫理審査委員会の認定制度を導入することで倫理委員会の質の向上を図る必要がある。また、倫理指針の見直しと並行して、我が国の臨床研究の信頼回復に向け、平成26年秋までを目途に法制度に係る検討を進める

必要がある。その際、臨床研究の質の確保と被験者保護と研究機関及び製薬企業の利益相反の管理等を目的として、倫理教育の強化、不正事案の公開、不正を抑止する環境整備、組織としての責任体制の確立、不正事案に関する管理責任の追及、国の監視機能の強化と充実、国による組織の不正防止対策への支援を行う必要がある。

9. 研究基盤の整備

創薬・医療機器開発につながる基盤技術は、継続的かつ確実にしっかりと支援すべきであり、また様々な専門分野を融合し、イノベーションを起こすような配慮が求められる。

知識の共有は研究開発推進の源であり、ライフサイエンスに関するデータベース、全国規模の難病データベース、ビッグデータベースシステム、良質な試料の収集・保存などをはじめとする情報・試料は可能な限り広く共有されることを目指すべきである。また、地道な疾患研究や疫学的な調査研究がおろそかにならないよう適切な目標を設定し、長期支援が必要な研究開発に対しては配慮が必要である。

さらに、研究基盤（患者由来の試料、モデル動物等のバイオリソース、先進的解析技術・機器等の開発推進及び研究者が円滑に利活用可能な最新の基盤（ライブ・分子イメージング、次世代シーケンサー等）の整備を行い、既存の大規模先端研究基盤（放射光施設、スーパーコンピューター等）や先端的な計測分析器等を備えた小規模施設と連携を取りつつ、科学技術共通の基盤施設をより使いやすくし、医療分野の研究開発の更なる促進に活用すべきである。

10. 知財のマネジメントへの取組

我が国の医療分野の国際競争力を高めるにあたっては、知財に関する法制度の整備や知財教育の充実、知財管理専門家の活用等、知財に関する戦略が不可欠である。

また、ドラッグ・リポジショニングに必要な取組の観点からも、知財の状況を把握し、製薬企業が情報提供しやすい環境を整備する必要がある。

こうした課題に対処するため、知的財産取得に向けた研究機関への支援機能（知財管理・相談窓口、知財取得戦略の立案支援等）の設置が期待される。

Ⅲ. 新たな医療分野の研究開発体制に期待される役割

政府は、革新的な医療技術の実用化を加速するため、以下の取組を決定した。

- 医療分野の研究開発の司令塔の本部として、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる推進本部を設置し、政治のリーダーシップにより、① 医療分野の研究開発に関する本戦略を策定し、② 本戦略の実施のために必要な、各省に計上されている医療分野の研究開発関連予算を一元化することにより、司令塔機能の発揮に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行う。
- 基礎・臨床研究・創薬開発などの豊富な経験を有するプログラムディレクター、プログラムオフィサー等の適切な配置を行い、実用化のための研究を基礎段階から一貫して一元的な管理を行う新たな独立行政法人（日本医療研究開発機構（仮称）：以下「新法人」と表記）を創設する。
- 研究を臨床につなげるため、国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施されるよう所要の措置を講じ、臨床研究・治験の実施状況を網羅的に俯瞰できるデータベースを構築する国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施される仕組みを構築するとともに、民間資金も積極的に活用し、臨床研究・治験機能を高める。

I. 及びII. の現状及び取り組むべき課題についての認識に基づいてこのような新たな医療分野の研究開発を進めるために、国は、以下の各観点を十分に踏まえて施策を履行するべき。なお、その際には、国費のみならず、民間資金や個人寄付、ベンチャー等を積極的に活用する。

1. 新独法に期待される機能

(1) 医療に関する研究開発のマネジメント

各省連携プロジェクト等、新独法において実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。すなわち、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンのもとに計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。このためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床試験への橋渡しや産業界への導出に向けての企画力、規制対応などの周到な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。

具体的には、専門家によるシンクタンク機能等により、国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するとともに個別研究課題の選定にピア・レビュー方式を導入する。PD、PO等がこれを活用して総合戦略に沿った研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適

化研究) や優れた基礎研究成果を臨床研究・産業化へ繋げる一貫したマネジメント(研究の進捗管理・助言、規制対応等) 及び適切な研究実施のための監視・管理機能等、研究開発の開始、推進、監視・管理さらには方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たすことが必要である。

(2) 臨床研究・治験データマネージメント

新独法が推進する研究については、臨床研究計画書(プロトコール)の策定、研究の進捗状況の把握、研究データの管理(データ入力、集計、解析)、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する方策を検討し、できる限り早期にその実行に向けた取り組みを行う。

(3) 実用化へ向けた支援

知財管理・相談窓口、知財取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能や、PMDAと連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言や企業への情報提供・マッチング及びワンストップサービスの提供などといった実用化に向けた企業連携を支援する機能の具備が必要である。また、医療機器開発に関して、関係機関が連携して支援できるようなネットワークを構築し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備することが必要である。

医薬品の実用化支援については、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用研究ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行う。

(4) 研究開発の基盤整備に対する支援

新たなバイオマーカーを探索・解明することで実現する革新的な診断技術・機器及び既知のマーカーを取り扱いやすく、非侵襲、低侵襲で、正確かつ低コストで測定できる等の優位性を持つ診断技術や機器をシームレスに開発するための体制整備、臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、橋渡し研究支援拠点の強化・体制整備やエビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の強化、モデル動物等のバイオリソースの整備等を行う。

(5) 国際戦略の推進

国際的な研究開発動向を踏まえた我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進するとともに、我が国の医療に係る研究開発ポテンシャルを活用した国際貢献を推進する。

2. 基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

優れたシーズを見出し、それを実用化へ一貫して繋ぎ、具体的な成果を目指すため、取組の当初から、臨床研究・治験への橋渡しや産業界への導出に向けた戦略と周到な準備に基づくプロジェクトを実施する。具体的には、各省の関連する研究開発プログラムを統合的に連携し1つのプロジェクトとして一体的な運用を図る。新独法設立後は新独法で一元的に管理するものの、新独法設置前においても、各省行政部局が連携を取るとともに、各省関連プログラムの共同推進委員会設置等、統合的に推進するための体制を整備する。実施に当たっては、個々のプロジェクト毎に成果目標（K P I）を設定し、その達成に向けて個々の研究開発の開始・方針の転換等について権限と裁量をPDに付与し、PDの下に各研究チームが、出口を見据えて、シーズの探索・選択や個々のシーズごとの戦略に基づく開発研究を行うとともに、シーズが頓挫した場合にはそれに替わる新たなシーズを随時選択することで、各チームの下で常に複数のシーズの開発研究が行われるようなマネジメントを構築することが考えられる。

さらに、リスクはあるが、飛躍的な可能性を秘めた課題に対しても、画期的なイノベーションの実現を目指す取組を行うことが期待される。

なお、これらの推進に当たっては、疾患の基礎研究の発展を図りつつ、研究の急激な進捗や、関係する科学技術の画期的な発展などに機動的に対応できるような資源配分やマネジメント、レギュラトリーサイエンスの充実を実現する。

平成26年度に開始する各省連携プロジェクトについては、平成25年8月30日に健康・医療戦略推進本部が既に決定しているが、当該各省連携プロジェクトは、次のようなK P Iの達成を目指すものとする。また、今後開始される各省連携プロジェクト等についてもK P Iを設定し、取り組むものとする。

○医薬品創出

創薬支援ネットワーク等の医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

【2015年度までの達成目標】

- ・相談・シーズ評価 累計400件
- ・有望シーズへの創薬支援 累計40件
- ・企業への導出（ライセンスアウト）1件

【2020年頃までの達成目標】

- ・相談・シーズ評価 累計1500件
- ・有望シーズへの創薬支援 累計200件
- ・企業への導出（ライセンスアウト） 累計5件

○医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

【2015年度までの達成目標】

- ・新たな医療機器の効率的な開発・実用化に資する開発・評価指標を新たに10本策定
- ・国内医療機器市場規模の拡大（平成23年2.4兆円→2.7兆円）

【2020年頃までの達成目標】

- ・医療機器の輸出額を倍増（平成23年約5千億円→約1兆円）
- ・がん等の重要疾患分野において、先端技術による診断・治療機器を5種類以上実用化
- ・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円

○革新的な医療技術創出拠点

文部科学省及び厚生労働省が一体となって新たな事業を創設することにより、両省の強みを生かしながら、アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制の整備も行う。

【2015年度までの達成目標】

- ・医師主導治験届出数 年間20件
- ・First in Human (FIH) 試験（企業治験含む）年間25件

【2020年頃までの達成目標】

- ・医師主導治験届出数 年間40件
- ・FIH 試験（企業治験含む）年間40件

○疾患に対応した研究

関係省庁の有機的連携のもと、病態の解明に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する

【2015年度までの達成目標】

- ・がんについては、

新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカー5種取得
がんによる死亡率を20%減少（平成17年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて平成27年に20%減少させる）。

- ・精神・神経疾患については、
分子イメージングによる超早期認知症診断方法の確立
精神疾患の診断に関連するバイオマーカー候補の発見
- ・新興・再興感染症については、
グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした病原体及びその遺伝情報の収集、並びに、生理学的、及び臨床的な病態の解明
- ・難病については、
薬事承認を目指した新たな治験導出件数5件以上の達成。

【2020年頃までの達成目標】

- ・がんについては、
5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた5種類以上の治験への導出
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
高齢者のがんに対する標準治療の確立（ガイドラインの作成）
- ・精神・神経疾患については、
日本発の認知症、うつ病等の精神疾患の根本治療薬候補の治験開始
精神疾患の客観的診断法の確立
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成
- ・新興・再興感染症については、
得られた病原体等を基にした新たな迅速診断法等の開発
網羅的病原体ゲノム解析法等の抜本的な検査手法やそれを応用した分子疫学的手法の確立
- ・難病については、
新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を10件以上達成
欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

【2030年頃までの達成目標】

- ・新興・再興感染症については、
新たなワクチンの開発
（例：インフルエンザに対する万能ワクチン、マラリアワクチン等）
新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発

WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹等の感染症の根絶・排除の達成（結核については2050年までの達成目標）

○再生医療

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

【2015年度までの達成目標】

- ・ ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数 約10件 (ex. 加齢黄斑変性、角膜疾患、膝半月板損傷、骨・軟骨再建、血液疾患)
- ・ iPS細胞を用いた創薬技術の開発

【2020年頃までの達成目標】

- ・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用
- ・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ・ 臨床研究・治験に移行する対象疾患の拡大
- ・ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化

○ゲノム医療

急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。

【2015年度までの達成目標】

- ・ バーチャル・メガバイオバンクの構築
- ・ セントラル・ゲノムセンター、メディカル・ゲノムセンターの整備
- ・ 疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築
- ・ 日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定
- ・ 抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立

【2020-30年頃までの達成目標】

- ・ 生活習慣病（糖尿病や脳卒中、心筋梗塞等）の劇的な改善
- ・ 発がん予測診断、抗がん剤等の医薬品副作用の予測診断の確立
- ・ うつ、認知症の臨床研究の開始
- ・ 神経難病等の発症原因の解明

3. 共通基盤の整備・利活用

希少疾患や難病をはじめとした疾患データベースの維持・構築や、各種ゲノムバンクやコホートの連携と利活用等のエビデンスに基づく医療の実現に向け

た基盤の確保、ライフサイエンスに関するデータベースの統合を着実に推進する。

創薬支援ネットワークを中心としたオールジャパンでの創薬支援基盤の一層の利活用に加え、先端的な大型研究施設、スーパーコンピューター、先端計測分析機器をはじめとする先端研究基盤を形成する諸施設・設備の産学官の研究者の利用を推進する等、科学技術共通基盤の利活用を進める。また、医療機器の開発・安全性評価のための大型動物実験施設の整備等を行う。

4. 臨床研究中核病院（仮称）の医療法上の位置づけ

日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う病院を臨床研究中核病院（仮称）として医療法上に位置付ける。その際の要件としては、以下が考えられる。

- (1) 臨床研究中核病院（仮称）に必要な機能を病院管理者等のもと病院全体で確保できること。
- (2) 出口戦略を見据えた適切な研究計画を企画・立案し、ICH-GCPに準拠して臨床研究を実施できること。
※医療機器については、ISO14155:2010に準拠する。以下同じ。
- (3) 倫理性、科学性、安全性、信頼性の観点から適切かつ透明性の高い倫理審査ができること。
- (4) ICH-GCPに準拠したデータの信頼性保証を行うことができること。
- (5) シーズに関して知的財産の管理や技術移転ができること。
- (6) 質の高い多施設共同臨床研究を企画・立案し、他の医療機関と共同で実施できること。また、中核病院として、他の医療機関が実施する臨床研究を支援できること。
- (7) 関係者の教育、国民・患者への普及、啓発、広報を行えること。