

4 研究者主導未承認薬開発試験の実施および規制上の諸問題

-1 アカデミアの立場から

佐藤 暁洋

国立がん研究センター早期・探索臨床研究センター 臨床試験支援室

国立がん研究センター早期・探索臨床研究センターは、厚生労働省の早期・探索的臨床研究拠点整備事業への採択を受けて平成 24 年 9 月に設立され、平成 25 年 4 月より病院・研究所と並列の独立セグメントとして正式に発足した。臨床試験支援室は、早期・探索臨床研究センターの 3 つのミッションである、「First in human の医師主導治験・企業治験」「First in human 終了後未承認薬での医師主導治験」「付随するトランスレーショナルリサーチ」のなかで、研究者が主導する医師主導治験・臨床試験（Investigator Initiated Trial: IIT）の支援を担っている。平成 25 年度は、医師主導治験 9 試験、未承認・適応外の薬剤・医療機器を用いた臨床試験 5 試験（内 2 試験が先進医療 B）のデータセンター / モニタリング・治験調整事務局 / 監査 / 統計解析 / 薬事などの支援を実施し、年度内にさらに医師主導治験 1 試験、臨床試験 2 試験程度の開始が予定されており、これらを東病院の IIT の CRC 業務を含めて約 35 名のスタッフが支えている。

未承認・適応外の薬剤・医療機器の開発を行う上では、IIT として実施されるとはいえ、製造販売承認・適応拡大・保険収載などの出口戦略を見据えて行うことが必須である。現時点で、

製造販売承認申請資料として臨床試験データを得ることが明確に可能な方法は医師主導治験を実施することであり、臨床試験支援室では GCP 下で医師主導治験が可能な体制の整備を進め実際に実施してきた。これらの経験のなかで、アカデミア施設で医師主導治験を実施していく上ではさまざまな問題点が浮き彫りになってきた。

医師主導治験は一般的に製薬企業が主導する企業治験に比べて少ないリソースで実施されるため効率的な運用が必要となり、それに付随して治験薬提供者から提供される治験薬のラベル表示、同種同効薬の保健上の取扱、リスクベースドモニタリングの導入、参加施設側の負担などが問題点となっている。また、出口戦略を見据える以上は製薬企業・ベンチャー企業などとの共同開発が不可欠であり、民間からの資金受入やそれに伴う COI 管理なども問題となっている。その他、公的資金をどのように活用していくのかや、医師主導治験で試行的に開始されている拡大アクセスプログラムなどが挙げられる。

本演題では、これら我々が直面している問題点を参加者と共有すると共に、解決へ向けてのディスカッションにつながることを期待したい。