

第3回がん新薬開発合同シンポジウム
平成25年11月29日

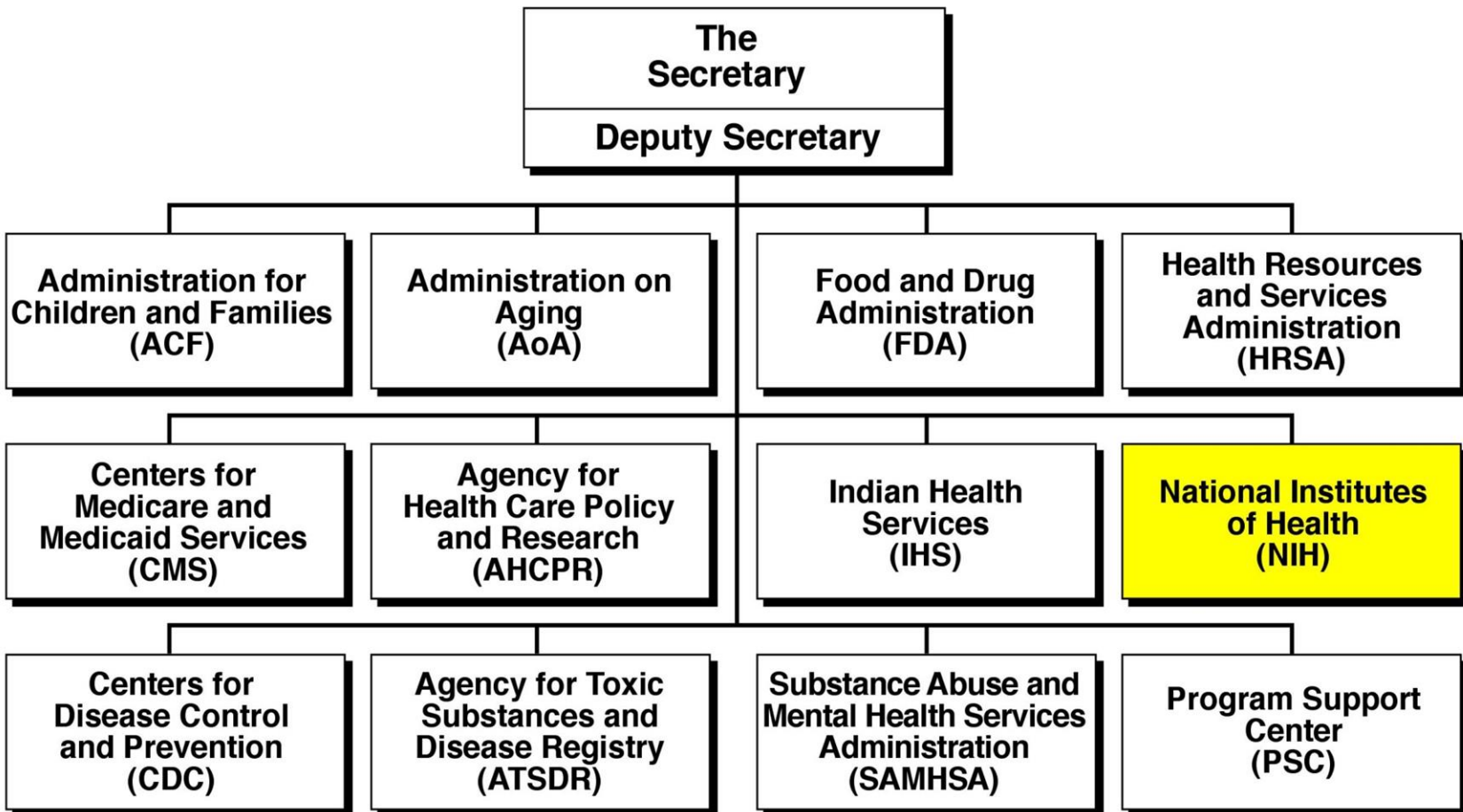
がん新薬開発の新しい潮流：
世界をリードする医療イノベーション実現に向けて

日本版NIHの目指すもの

国立がん研究センター
堀田知光

All Activities for Cancer Patients

U.S. Department of Health and Human Services



NIH Institutes and Centers

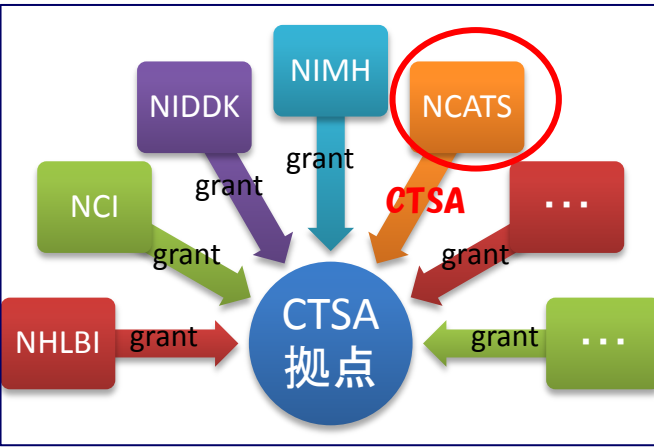


CTSA (Clinical and Translational Science Award)

米国の臨床研究とトランスレーショナルリサーチの実施基盤整備事業(研究の下支え)
2006年より5年間の助成を開始。 CTSA 2.0として2011年から順次更新中

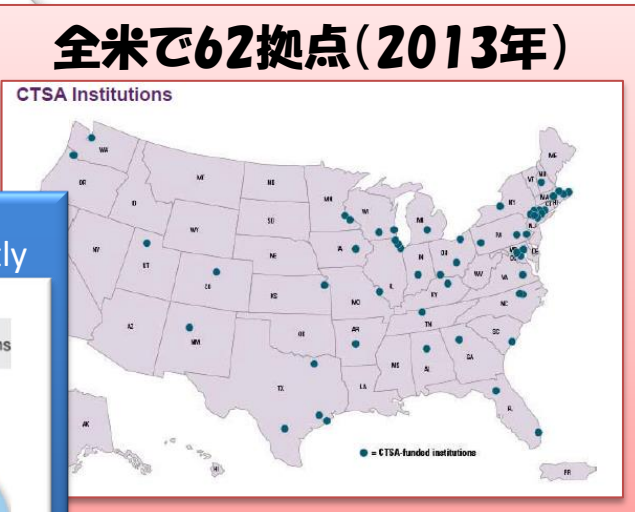
各機関に、当該機関の受けているNIHからの研究費の総額に応じて
1機関あたり5年間(単年度会計ではなく)で10数億円～100億円をインフラ整備費としてNCATS*が交付。また、助成期間終了時に民間資金による自立は求められていない。

* National Center for Advancing Translational Science (NCATS)は米国NIHの27ある研究所のうちの1つ。
National Center for Research Resources (NCRR)が改組され、2011.12に設置されたもの



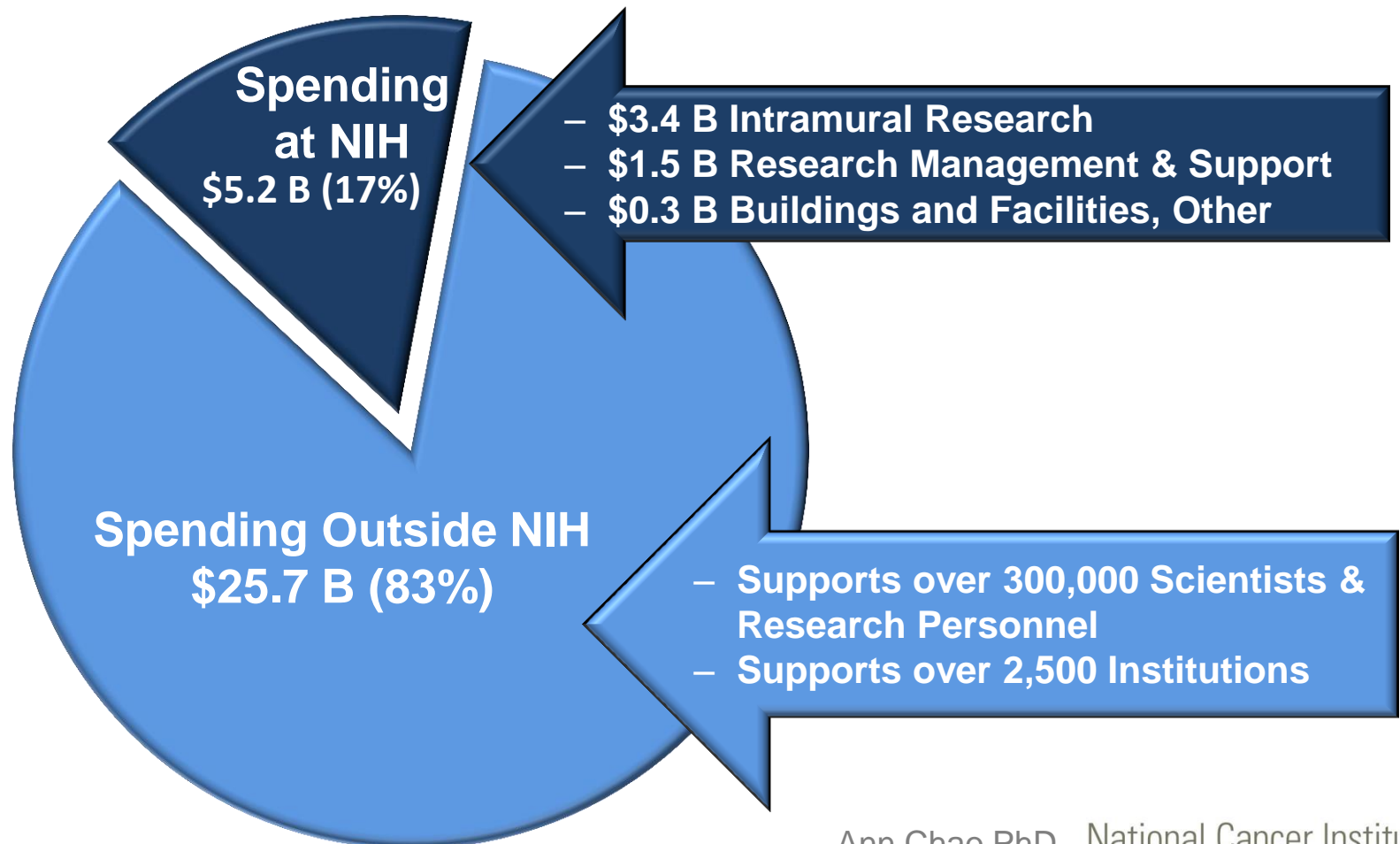
NIHの各研究所のgrantにさらに上乗せしてCTSA(基盤整備費)を補助
競争的資金の件数が多いほど、CTSAの額も大

THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE
NEJM Oct 13, 2005
SOUNDING BOARD
Translational and Clinical Science — Time for a New Vision
Elias A. Zerhouni, M.D.
It is the responsibility of those of us involved in to... paramount among the NIH's immediate responsi...
Translating New Treatments and Prevention Strategies More Efficiently
Training laboratory and clinical investigators in team-based translation
Improving communications with new technologies and information systems
Laboratory discoveries → Patient-centered research → Delivery to patients and communities



臨床研究成果の円環

NIH Extramural & Intramural Funding FY 2012 Enacted: \$30.9 Billion



日本再興戦略 (JAPAN is BACK)

生成25年6月14日 閣議決定

国民の「健康寿命」の延伸

- ① 効果的な予防サービスや健康管理の充実により、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
 - 医療分野の研究開発の司令塔機能(「日本版NIH」)の創設
 - 先進医療の大幅拡大
 - 医薬品・医療機器開発、再生医療研究を加速させる規制・制度改革
 - 革新的な研究開発の推進
 - 医薬品医療機器総合機構(PMDA)の強化
 - 難病患者等の全国規模のデータベースの構築
 - 医療の国際展開
- ③ 病気やけがをしても、良質な医療・介護へのアクセスにより、早く社会に復帰できる社会

医療分野の研究開発の司令塔機能の創設（「日本版NIH」の骨子）

次の取組により、医療分野の研究開発の司令塔機能（「日本版NIH」）を創設

司令塔の本部として、内閣に、総理・担当大臣・関係閣僚からなる推進本部を設置

- 医療分野の研究開発に関する総合戦略を策定し、重点化すべき研究分野とその目標を決定する。
- 同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し（調整費など）、戦略的・重点的な予算配分を行う。

一元的な研究管理の実務を担う中核組織を創設

- 総合戦略に基づき、個別の研究テーマの選定、研究の進捗管理、事後評価など、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一気通貫で管理し、実務レベルの中核機能を果たす独立行政法人を設置する。
- ※独立行政法人の設置は、スクラップアンドビルド原則に基づき行うこととし、公的部門の肥大化は行わない。

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仕組みを構築

- 臨床研究中核病院及び早期・探索的臨床試験拠点において、企業の要求水準を満たすような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、所要の措置を講ずる。
- 臨床研究・治験の実施状況（対象疾患、実施内容、進捗状況等）を適切に把握するため、知的財産の保護等に十分に留意しつつ、こうした状況を網羅的に俯瞰できるデータベースを構築する。
- 民間資金も積極的に活用し、臨床研究・治験機能を高める。

（参考）米国のNIH(National Institutes of Health:国立衛生研究所)

- 米国健康福祉省に属する連邦政府機関で医療分野の一大研究拠点。
- コレラ等の感染症の研究のために、1887年に、ニューヨークの船員病院に作られた1部屋の研究室にそのルーツがあり、現在では、世界トップレベルの研究所の一つとして、先進的な医療や革新的医薬品等の開発で重要な役割を果たしている。
- 現所長は、ゲノム研究者のフランシス・コリンズ(Francis Collins)博士。

健康・医療戦略推進本部の設置について

健康・医療戦略推進本部

本部長：内閣総理大臣
副本部長：内閣官房長官
本部員：その他国務大臣

- ・健康・医療分野の成長戦略(健康・医療戦略)の推進
- ・医療分野の研究開発の司令塔機能(日本版NIH)の本部の役割
 - 医療分野の研究開発の総合戦略策定
 - 医療分野の研究開発関連予算の一元的な予算要求配分調整

政策的助言

専門的・技術的助言

健康・医療戦略参与

産業界・医療関係機関等の有識者
・健康・医療分野の成長戦略
・医療分野の研究開発の出口戦略
等に関する専門的助言

医療分野の研究開発に関する専門調査会(仮称)

医療分野の研究開発に関する専門家で構成
・医療分野の研究開発の総合戦略策定に
必要な専門的技術的助言

タスクフォース(仮称)

議長：内閣官房長官
副議長：内閣官房副長官(衆・参)
構成員：本部長が指定する副大臣

健康・医療戦略推進会議

議長：内閣官房長官
議長代行：内閣官房副長官(衆・参)
副議長：健康医療戦略室長
構成員：関係府省局長クラス

医療国際展開タスクフォース

議長：健康医療戦略室長
構成員：関係府省局長クラス
関係機関役員クラス

創薬支援ネットワーク協議会

議長：健康医療戦略室長
構成員：関係府省局長クラス
関係機関役員クラス

内閣官房
健康・医療戦略室
➢ 事務局機能

(参考1) 新たな医療分野の研究開発体制の全体像

推進本部

- 医療分野の研究開発に関する総合戦略を策定
- 医療分野の研究開発の司令塔として一元的な予算要求配分調整を実施
- 調整費の用途を戦略的・重点的な予算配分を行う観点から決定

医療分野の研究開発に関する総合戦略等を踏まえて課題を採択

研究者・研究機関に配分される研究費及び当該研究に係るファンディング機能を新独法に集約し、一元的に管理
※ 研究開発の基盤整備に係る予算についても新独法へ集約

一元的な予算要求配分調整

◎研究者の発意による
ボトムアップの基礎研究
科学研究費助成事業

◎国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究
・ 新独法に約1,000億円を集約・一元化
・ PD、POによるマネジメント

◎インハウス研究
国の研究機関

研究開発に係る基盤整備

個別の研究費のファンディング

各研究機関への財源措置

発掘したシーズをシームレスに移行

臨床研究
中核病院等

※ 大学、研究所等及び研究者

※ 国立高度専門医療研究センター (NC)、理化学研究所、産業技術総合研究所、国立感染症研究所等

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・治験の確実な実施

医療分野の研究開発に関する総合戦略を踏まえた研究の実施

平成26年度 医療分野の研究開発関連予算要求のポイント

資料 1

	26年度			25年度
		要求	要望	
新独法一元化 対象経費	1,382億円 (文650、厚524、経208)	1,065億円 (文500、厚402、経163)	317億円 (文150、厚122、経45)	1,012億円 (文447、厚402、経163)
インハウス研究 機関経費	878億円 (文248、厚545、経84)	708億円 (文157、厚466、経84)	170億円 (文91、厚79、経—)	713億円 (文155、厚476、経81)

※ 上記経費に加え、予算配分を各省をまたいで機動的かつ効率的に行うための調整費を創設(内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費(約500億円)」の一部を活用)

※ 精査により計数に異動が生じる場合がある

主な取組

疾病領域ごとの取組

- ・ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト
211億円<新独法>
- ・脳とこころの健康大国実現プロジェクト
98億円<新独法>
- ・新興・再興感染症制御プロジェクト
60億円<新独法40億円、インハウス20億円>
- ・難病克服プロジェクト 94億円<新独法>

臨床研究・治験への取組

- ・革新的医療技術創出拠点プロジェクト 161億円<新独法>

世界最先端の医療の実現に向けた取組

- ・再生医療の実現化ハイウェイ構想
164億円<新独法>(一部再掲)
- ・疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト
128億円<新独法74億円、インハウス53億円>

医薬品・医療機器開発への取組

- ・医薬品創出の基盤強化
304億円<新独法210億円、インハウス95億円>(一部再掲)
- ・オールジャパンでの医療機器開発
164億円<新独法>(一部再掲)

※ 医療分野の研究開発に関する総合戦略の策定に向けた議論を踏まえ、要求・要望内容が変更される可能性があることに留意

1. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

新独法一元化対象経費要求額:211億円
(要求額:135億円、要望額:76億円)

文科省、厚労省、経産省の有機的連携体制による、がん研究の一体的推進

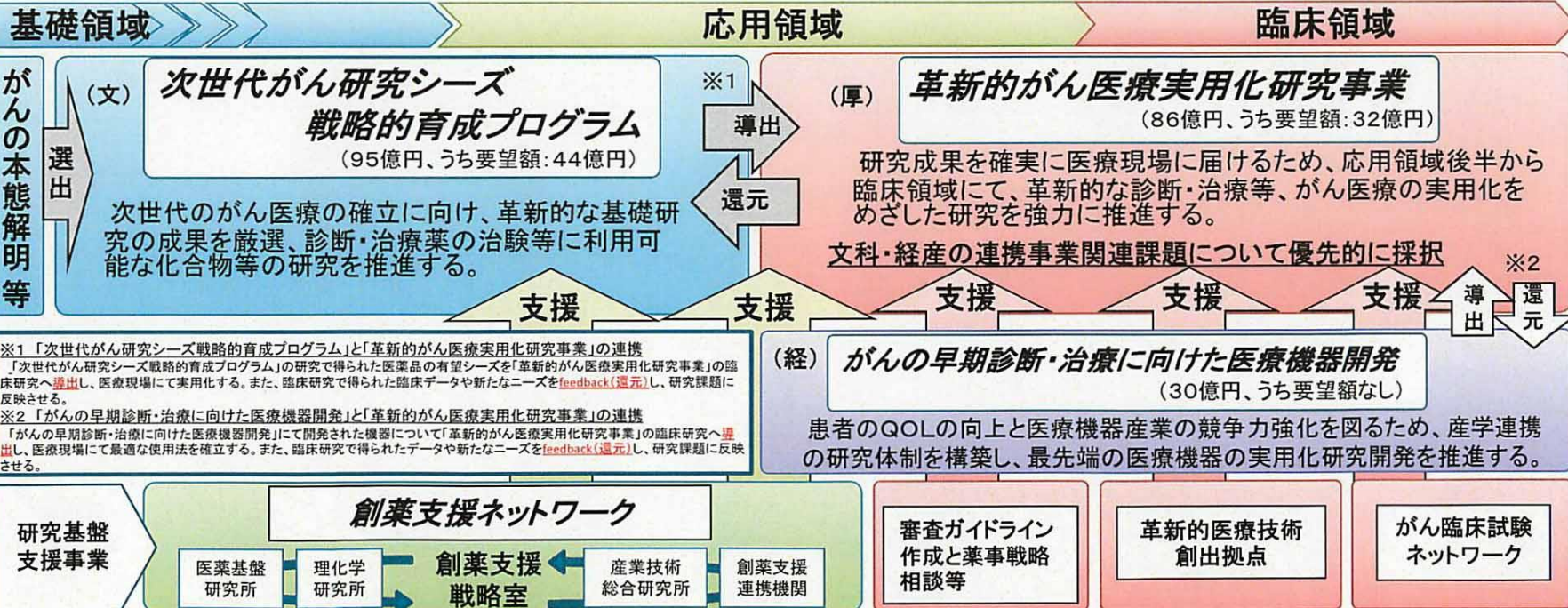
がん対策推進基本計画(平成24年6月閣議決定)に基づき策定される「がん研究10か年戦略(仮称)」に踏まえ、関係省庁の所管する研究関連事業の有機的連携のもと、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。

【2015年度までの達成目標】

- 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%減少させる
(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)

【2020年頃までの達成目標】

- 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)



各領域(基礎～臨床領域)における若手研究者及び技術者の育成(国際交流)等

7. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

新独法一元化対象経費
平成26年度概算要求額: 74億円
(要求額: 58億円 要望額: 16億円)

インハウス研究機関経費
平成26年度概算要求額: 53億円
(要求額: 11億円 要望額: 42億円)

文科省、厚労省の連携による、がんや生活習慣病などの疾患克服に向けたオーダーメイド・ゲノム医療の実現

急速に進むゲノム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共に、特定の疾患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

研究・基盤整備

バーチャル
メガ・バイオバンク
有機的連携による構築

セントラル
ゲノムセンター
設置

メディカル
ゲノムセンター
設置

臨床応用

全世代に貢献する
ゲノム医療の実現

【オーダーメイド医療実現プログラム】
概算要求額32億円(要求16億円 要望16億円)

Bio Bank Japan

BBJ

東大医科学研究所
20万人規模
世界最大級バイオバンク

National Center Biobank Network
概算要求額11億円(要求11億円)<インハウス>

NCBN

国立高度専門医療研究センター
豊富な臨床情報の付随する
10万人以上のバイオバンク

【東北メディカル・メガバンク計画】
概算要求額42億円(要求42億円)

東北Medical megabank

東北MMB

日本最大級
15万人規模(予定)
健康人バイオバンク

Central genome center

CGC

理化学研究所

オーダーメイド医療の
基盤整備の強化
大規模「全ゲノムシーケンス」
解析の基盤強化

連携事務局の設置

- 疾病生体試料・診療情報の取扱調整
- 疾病生体試料・診療情報の質の管理等

東北大学・岩手医科大学による
長期健康調査

日本人標準ゲノムセット

地域住民コホート調査
(8万人規模)

3世代コホート調査
(7万人規模)

大学研究者等

健康人データ
をリファレンス
として活用した
特定の疾患に
関する研究

Medical genome center

概算要求額42億円(要望42億円)<インハウス>

MGC

国立高度専門医療研究センター

高度専門的な病院機能を活用した
臨床研究・治験体制の整備強化

特定の疾患へのゲノム情報
を用いた臨床応用



エビデンスの高い解析結果を基に
→ 医薬品効果予測による治療選択
→ 適切な予測診断の確立
→ 遺伝リスクに応じた予防的医療
に関する臨床応用(臨床研究含)を
目指す。

(例)

小児疾患
てんかん
自閉症
うつ病
生活習慣病
脳卒中
不整脈
心筋梗塞
糖尿病
肺がん
乳がん
前立腺がん 等
パーキンソン病
糖尿病性腎症
医薬品副作用

発症予防・予測診断
適正治療の実現

疾患克服

8. 医薬品創出の基盤強化に向けて

新独法一元化対象経費 要求額 197.7億円(一部再掲)
 平成26年度予算 要望額 12.1億円
 (平成25年度予算額:127.0億円)

インハウス 要求額 36.1億円
 平成26年度予算 要望額 58.5億円
 (平成25年度予算額:35.4億円) ※推計値

文科省、厚労省、経産省が連携して推進

【2015年度までの達成目標】

- 相談・シーズ評価 400件
 - 有望シーズへの創業支援 40件
 - 企業への導出(ライセンスアウト) 1件
- ※件数はいずれも累計

【2020年頃までの達成目標】

- 相談・シーズ評価 1500件
 - 有望シーズへの創業支援 200件
 - 企業への導出(ライセンスアウト) 5件
- ※件数はいずれも累計

＜創業支援ネットワーク等の支援基盤＞

創業支援ネットワーク：創業支援ネットワーク協議会・実務担当者会議による強固な連携・協力体制を形成

※インハウス予算は推計値

【理化学研究所の取組】

インハウス
 平成26年度予算 要求額 12.0億円
 要望額 34.5億円
 (平成25年度予算額:12.0億円)

・SACLA、SPring-8、京コンピュータ等の研究基盤を利用した探索研究及び最適化研究の支援※

※探索研究から最適化研究を経て権利化し、企業へ導出するまでの一貫した創業プロセスを実現

- ・創業テーマの推進
- ・高度な基盤技術の開発等

【医薬基盤研究所の取組】

インハウス 平成26年度予算 要求額 4.4億円
 要望額 24.0億円
 (平成25年度予算額:4.4億円)

創業支援戦略室：
 創業支援ネットワークの本部機能

- ・有望シーズの調査、評価、選定
- ・出口戦略の策定、助言
- ・応用研究等の支援
- ・知財管理支援
- ・企業連携支援等

民間研究機関等の
 創業連携研究機関

【産業技術総合研究所の取組】

インハウス 平成26年度予算 要求額 19.7億円
 (平成25年度予算額:19.0億円)

計測基盤技術・ツールを用いた
 探索研究及び最適化研究の実施

・これまでに構築したインフラとノウハウを活用して、ライブラリーのスクリーニング等を支援

【次世代天然物化学技術研究組合】
 ・世界最大級の天然化合物ライブラリー

創業等ライフサイエンス研究支援基盤事業【創業連携研究機関】

我が国の大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるために、創業等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する創業・医療技術支援基盤を構築して、大学・研究機関等による創業等の研究を支援する。

平成26年度予算 要求額 38.9億円
 (平成25年度予算額:31.2億円)

＜創業基盤技術開発＞

先端的基盤開発研究(創業基盤推進事業)

平成26年度予算 要求額 58.8億円(平成25年度予算額:61.8億円)

臨床応用基盤研究(医療技術実用化総合研究事業(臨床研究・治験推進研究))

我が国の大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるために、医師主導治験を始め、大学等によるコンパニオン診断薬及び既存薬と難病・希少疾病等を関連付けるためのエビデンス構築(ドラッグ・リポジショニング)に係る研究等を支援。

＜希少疾患治療薬等開発支援＞

先駆的医薬品・医療機器 研究発掘支援事業

平成26年度予算 要求額 28.5億円
 (平成25年度予算額:28.5億円)

難病・希少疾患など企業の主体的な研究開発が進みにくい領域や革新的な技術・手法を用いる先駆的な研究を支援

革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発

平成26年度予算 要求額 6.0億円
 要望額 9.0億円
 (平成25年度予算額:0.0億円)

我が国のバイオ医薬品の国際競争力を強化するため、以下のような「次世代バイオ医薬品技術開発」を実施し、5年以内に世界初の次世代バイオ医薬品のシーズ設計・創出技術を企業等へ移転

細胞内標的を創薬ターゲットとする技術、低分子化、特定の組織、細胞への送達技術、エピジェネティクス制御技術、核酸医薬の高活性化及び安定性向上等、糖鎖構造の制御技術等

次世代治療・診断実現のための 創業基盤技術開発事業

平成26年度予算 要求額 60.0億円
 (平成25年度予算額:0.0億円)

- 高品質かつ低コストバイオ医薬品製造技術
- 低コスト医薬品シーズ探索技術
- 低侵襲サンプリング診断技術



連携協力

実用化

＜その他創業関連＞

審査の迅速化、質の向上と安全対策の強化(再掲)

最先端技術を用いた革新的医薬品について、その適切な評価方法を開発し、実用化への道筋を明確化するなどに資する研究を推進

平成26年度予算 要求額 5.5億円
 要望額 3.1億円
 (平成25年度予算額:5.5億円)

5. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

新独法一元化対象経費
平成26年度概算要求額：161億円
(要求額93億円 要望額68億円)

文部科学省と厚生労働省の連携

- 文科省及び厚労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気通貫に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おこなう。
- 拠点組織や研究費を大幅に拡充・強化し、革新的な医薬品・医療機器が持続的にかつより多く創出される体制を構築する。

2015年度までの達成目標

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

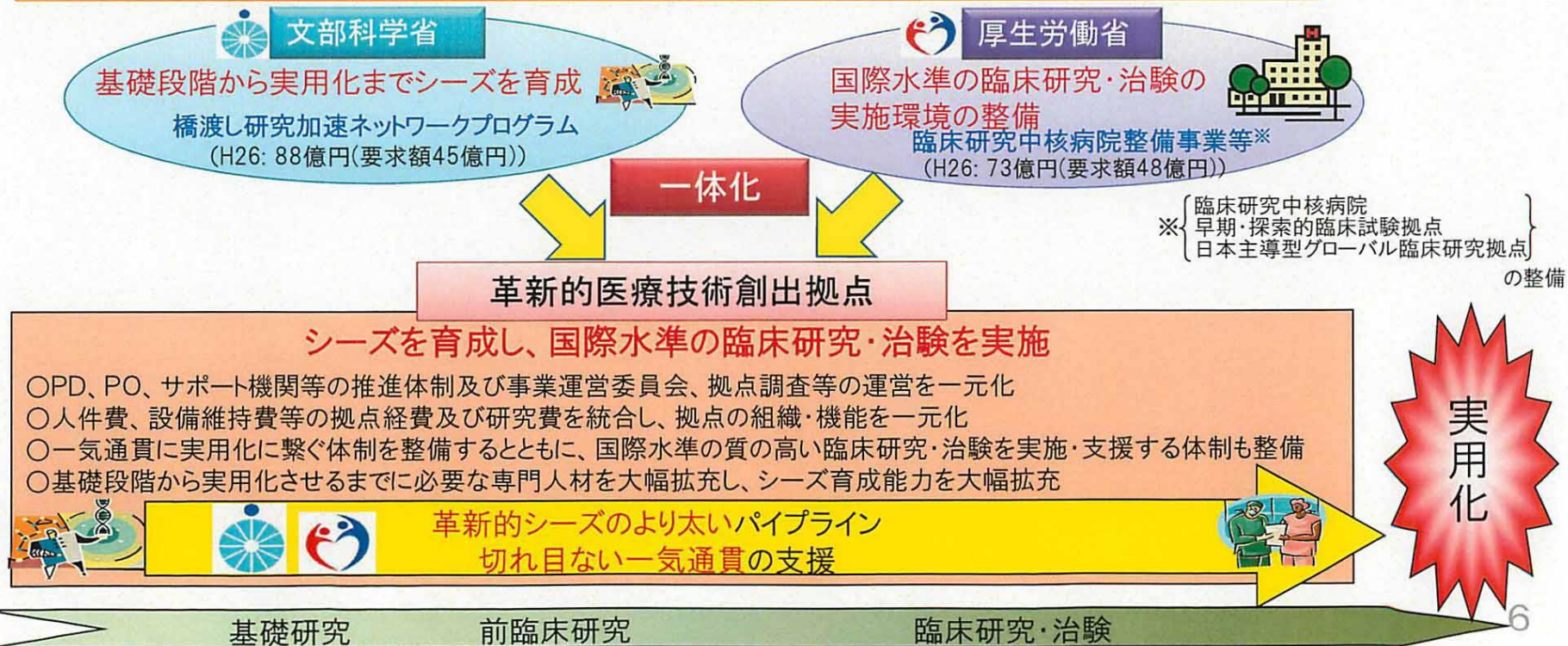
2020年度までの達成目標

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

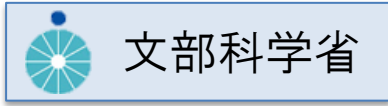
※ FIH(First in Human)試験:ヒトに初めて新規薬物・機器等を投与・使用する臨床試験

【関連指標】

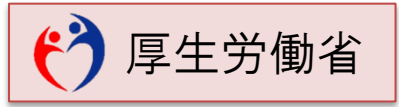
- 臨床研究・医師主導治験の増加
- 我が国発の革新的な医薬品・医療機器の増加



医療技術の実用化を加速する臨床研究基盤整備への提案



文部科学省



厚生労働省

2007

橋渡し研究支援
推進プログラム

<国立高度専門医療研究センター(NC)>

- 国立がん研究センター・
- 国立循環器病研究センター・
- 国立精神・神経医療研究センター・
- 国立国際医療研究センター・
- 国立成育医療研究センター・
- 国立長寿医療研究センター

治験中核病院

治験拠点
医療機関

2012

橋渡し研究加速
ネットワーク
プログラム 10機関

国立高度専門
医療研究センター
(NC) 6機関

- 早期・探索的臨床試験拠点 5機関
- 臨床研究中核病院 10機関
- 日本主導型グローバル
臨床研究拠点 2機関

- <橋渡し加速NW>
- 北海道大学・旭川医大・札幌医大・
 - 東北大学・東京大学・名古屋大学・
 - 京都大学・大阪大学・
 - 九州大学・先端医療振興財団

赤字・下線 は、重複機関
重複を除くと、**22機関**

- <早期・探索> 国立がん研究センター・大阪大学・国立循環器病研究センター・東京大学・慶応大学
- <中核> 北海道大学・千葉大学・名古屋大学・京都大学・九州大学・東北大学・群馬大学・国立成育医療研究センター・NHO名古屋医療センター・岡山大学
- <グローバル> 北里大学・先端医療振興財団

日本版
NIH
始動

「革新的医療技術創出拠点」として一体化
早期・探索，臨床研究中核，NC等により
医療技術の実用化を加速

革新的医療技術創出拠点に求められる機能

1. **実験機能の共用：** CPCやGMP施設を全国の拠点で共用、幹細胞バンク、バイオバンク、ナノ・テクノロジー、エピゲノム解析
2. **生物学系の情報科学分野の強化：**
オミックス解析(バイオインフォマティクス)、疾患登録・診療情報等に基づくビッグデータ解析
3. **若手研究者のパイロット研究・教育の促進：** 産業界やNPOとも連携し、若手研究者・研究者候補の萌芽的研究を支える(修士、博士の取得だけを目指さない)
4. **臨床研究の品質保証・品質管理の徹底：** 監査、モニタリング、利益相反管理、医師への卒前・卒後レギュラトリーサイエンス教育など
5. **生物統計家、疫学専門家の更なる活用：** 臨床試験計画策定の支援、統計相談、ランダム化・盲検化、新しい統計手法の開発、介入を伴う大規模疫学研究(化学予防)の推進
6. **研究倫理支援 & 研究の推進：** 研究倫理相談(ファーストインマン試験など)、生命倫理研究
7. **臨床研究支援：** CRF(症例報告書)やデータシートの設計、多施設臨床試験・国際共同試験支援、PMDAとの折衝窓口、ヒト薬物動態・薬力学解析並びに研究、分子イメージング研究
8. **地域・被験者・患者会等との連携：** 研究課題の優先順位付け、研究課題の掘り起こしを地域行政・住民、患者、患者会(アドボカシー)と共に行う
9. **社会・人文科学の推進：** 医療経済学、費用対効果分析、政策科学

革新的医療技術創出拠点に付与すべき特例措置

1. 事業及び予算額の維持・継続

「早期・探索的臨床試験拠点及び臨床研究中核病院の中長期的な財政基盤整備に関する要望について」
参照

2. 総人件費削減対象からの除外

十分な事務職（法務、知財、国際会計/法務、臨床研究支援事務局、リサーチ・アドミニストレーター etc）及び 臨床研究支援職（CRC、DMなど）の安定雇用とキャリアトラックを整備

3. 診療報酬上の優遇

革新的医療技術創出拠点を中心とする医療機関ネットワークに対して適用する加算を新設

4. 拠点内審査で先進医療を実施承認

5. 医療機器開発の振興

「機器の改良・改善及び低侵襲の診断機器、手術機器、内視鏡、IVR等の開発を目的とする臨床試験（臨床研究）」
については、保険外併用療養費制度を適用