

# 臨床研究・治験推進研究事業

## 事業の概要

国民により安全で有効な医療技術を早期に提供することを目的とし、日本で生み出された基礎研究の成果を革新的な医薬品等の薬事承認に繋げる研究や、実用化への見込みが高く、科学性および倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究等を支援します。

具体的には、産学連携による薬事承認申請を目指した医薬品シーズの実用化を推進する研究、疾患登録システム（患者レジストリ）を有効活用した臨床研究・医師主導治験、患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・医師主導治験、臨床研究の質を確保するための基盤整備に関する研究等を推進します。

事業期間：2015年4月～  
 予算規模：32.4億円（2018年度）

## これまでの主な成果・取組

これまでの支援課題総数：85課題



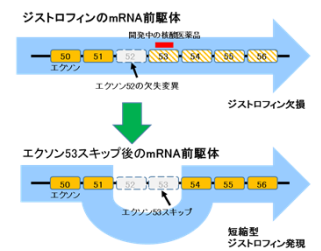
### ◇ 主な支援テーマと実施年度 ※平成26年度以前は厚生労働科学研究費として実施

年度別支援課題数	～H26	H27	H28	H29	H30	H31
1. 「患者ニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進」	—	38	50	44	44	—
先進医療Bとして実施が認められた医薬品に関する臨床研究						
既に作成済みの臨床試験計画(プロトコル)に基づいて実施する臨床研究						
医薬品又は医療機器としての薬事承認申請を目指した医師主導治験						
医薬品としての薬事承認申請を目指した治験に橋渡しするための非臨床試験						
小児領域における臨床研究・医師主導治験の推進						
疾患登録システム(患者レジストリ)を活用した臨床研究・医師主導治験の推進						
医薬品開発に利活用する疾患登録システム(患者レジストリ)の研究開発						
産学連携による薬事承認を目指した医薬品シーズの実用化を推進する研究						
医療費適正化に資する医薬品開発を目指す臨床研究・医師主導治験の推進						
疾患登録システムを活用した医薬品開発を目指す臨床研究・医師主導治験の推進						
その他						
2. 「臨床研究の質の確保のための基盤整備に関する研究」						

主な成果事例：

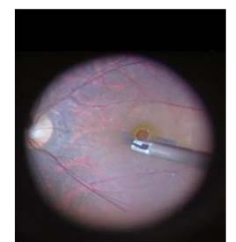
### 1. 筋ジストロフィーに対する核酸医薬品の開発

国立精神・神経医療研究センターおよび日本新薬(株)の共同研究チームは、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の進行抑制を目標に、ジストロフィン遺伝子を標的としたエクソン53スキップ薬の開発を進めています。本薬剤は厚生労働省の先駆け審査指定制度の対象品目に指定され、平成28年1月から国内第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験が開始されています。本成果は、DMDに対する革新的医薬品の実用化のみならず、核酸医薬品や希少疾病医薬品の開発の加速につながると期待されます。



### 2. 大学発の眼科手術用染色剤の開発

九州大学病院を中心とする研究グループは、九州大学眼科のグループが発見したBBG250（Brilliant Blue G-250）という染色性の高い色素を主成分とした眼科手術補助剤の開発を進めています。すでに欧州等世界74カ国で販売されており、本邦では硝子体手術時の網膜内境界膜可視化（右図）および白内障手術時の水晶体前囊可視化の臨床効果の判定と安全性を評価する第Ⅲ相多施設共同医師主導治験を完了し、平成31年中にわかもと製薬(株)より製造販売承認申請が予定されています。本成果は、安全性の高い眼科手術の実施につながると期待されます。



### 3. 小児低亜鉛血症に対する酢酸亜鉛顆粒剤の開発

国立成育医療研究センターの研究グループは、小児低亜鉛血症患者への有効で安全な治療を目標に、酢酸亜鉛「顆粒剤」の開発を進めています。医師主導治験（第Ⅲ相）の実施を平成30年5月に終了し、平成31年3月までに治験総括報告書作成を完了、平成31年第3四半期にノーベルファーマ(株)より製造販売承認申請が予定されています。本成果は、小児低亜鉛血症患者への有効で安全な治療につながるのみならず、アカデミア発での小児用剤形開発の加速にも貢献すると期待されます。

