

希少難治性疾患における国内外の規制対応、開発企業及び周辺環境の現状及び動向調査

調査結果概要 ー動向分析・課題整理と方策案ー

目次

- 調査の背景・目的・方法 3
- 希少疾病用医薬品等に関する動向分析 8
- 希少疾病用医薬品等の開発及び承認申請を促進するための課題 15
- 方策案 25

調査の背景・目的・方法

- 調査の背景・目的
- 調査の方法

調査の背景・目的

調査の背景

- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)創薬事業部の難治性疾患実用化研究事業(以下「難治事業」という。)では、「希少性」「原因不明」「効果的な治療方法未確立」「生活面への長期にわたる支障」の4要件を満たす希少難治性疾患を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指している。
- 難治事業は実用化研究事業のため患者に新しい治療等を研究成果として届けることを目標としていることから、研究手法や取り組みの適切性だけでなく、妥当かつ最新の科学技術に基づく提案なのか、実用化を担う企業動向やニーズに合致したものか、申請予定の規制科学に合致したものなのか、患者会動向を含めた周辺環境は適切なのか等についても重要となる。また、希少性から開発研究の実施や市場性の観点で海外状況も留意する必要がある。

調査の目的

- 希少難治性疾患の企業動向、規制科学、科学技術、周辺環境の実態や動向を調査し、希少難治性疾患の医薬品等の開発において、日本と海外での薬事規制及び開発方法の差異を多角的に検証し、国内で希少難治性疾患の開発及び承認申請が円滑に進められる様に、今後の事業設計等の高度化に活用するとともに厚生労働省等の関係組織とも共有し希少難病領域における政策立案にも資する情報を収集する。
- 本調査対象の希少疾病とは「希少性」「原因不明」「効果的な治療方法未確立」「生活面への長期にわたる支障」の4要件を基本に考慮することとし希少癌は対象に含めない。

調査の方法 | 調査フロー

- 課題・解決策案をもとに、“マクロ調査”、“ミクロ調査”、“インタビュー調査”を並行して進め、動向分析・課題整理を行い、方策案を検討

先行インタビュー アカデミアへの課題・解決策案のブラッシュアップインタビュー

デスクトップ調査

マクロ調査

規制当局公開文書、文献DB、各種レポート、患者会支援団体HP 等

ミクロ調査

審査報告書調査、希少疾病用医薬品指定品目一覧、薬価リスト、文献DB 等

インタビュー調査

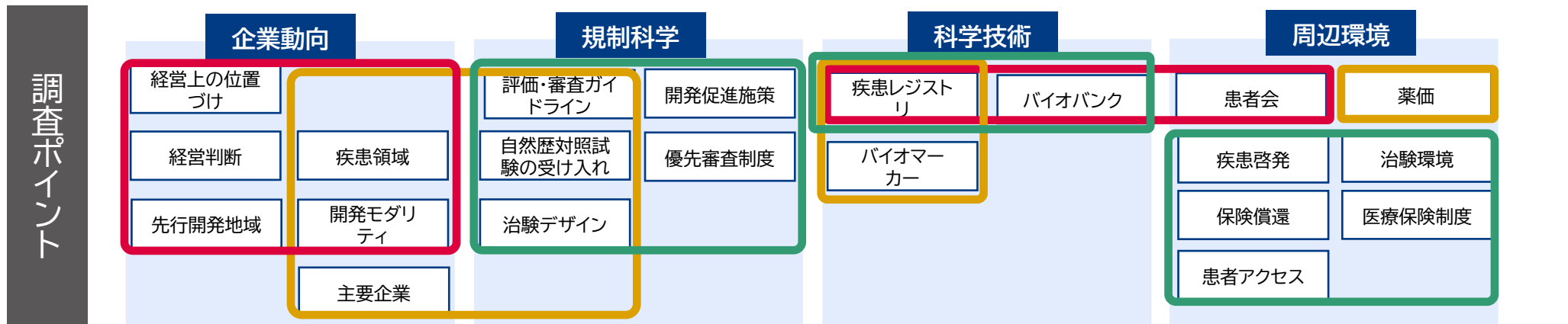
大手企業、ベンチャー企業、患者会 等

動向分析・課題整理 国内で希少難治性疾患の開発及び承認申請が円滑に進められるための課題は何か

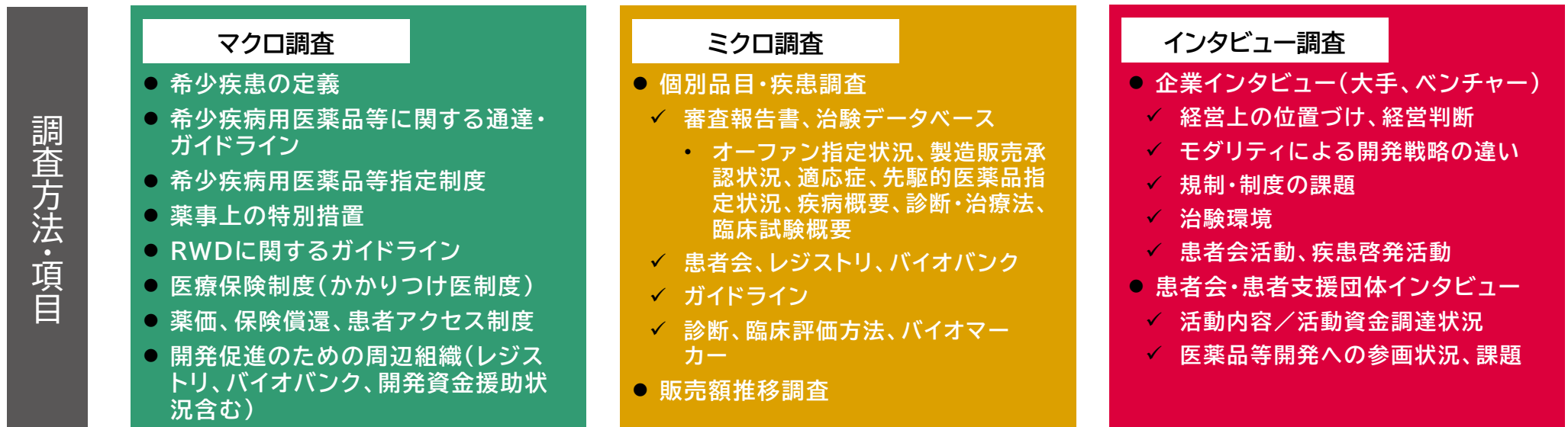
方策案検討 重要な課題に対して、考えられる方策案は何か

調査の方法 | 調査ポイントと調査方法・項目

企業動向・規制科学・科学技術・周辺環境の観点から、マクロ調査・ミクロ調査・インタビュー調査を実施



※上記の枠の色と下記の調査方法の色が対応



調査結果

各調査の結果は本資料では省略。報告書を参考のこと。

動向分析・課題整理

- 希少疾病用医薬品等に関する動向分析
- 希少疾病用医薬品等の開発及び承認申請を促進するための課題

希少疾病用医薬品等に関する動向分析

各調査の結果から、希少疾病用医薬品等に関する以下の5点について動向分析を行った

- 希少難治性疾患領域の医薬品等の開発に参入した企業が増加している背景（→10頁）
- 開発モダリティによる企業の開発判断（→11頁）
- 企業が開発・製造・販売する上での日本市場の特徴（→12頁）
- 欧米と日本の治験環境の比較（→13頁）
- 欧米と日本の患者会活動の比較（→14頁）

希少難治性疾患領域の医薬品等の開発に参入した企業が増加している背景

希少難治性疾患領域は、アンメットニーズがあり、新規モダリティ導入に適した領域であることから、希少疾病用医薬品等開発に参入する企業が増加している。

市場環境の変化

- 生活習慣病等、従来の重点領域での新薬開発余地がなくなった。^{*3}
- 国際共同開発が浸透し、市場をグローバルで考えられるようになった。^{*2,*3}



科学技術の変化

- 遺伝子解析技術が進歩し、病因解明が進み、希少疾患にアプローチできるようになった。^{*3}
- 革新的医薬品開発には新規モダリティへの導入が必要。^{*3}

希少難治性疾患領域は、アンメットニーズがあり、新規モダリティを用いることで革新的な治療法を提供可能であり、またグローバルでの市場規模は十分にあるため、事業性はあると判断できる。

開発モダリティによる企業の開発判断

日本において、再生医療等製品に係る承認申請プロセスは企業から好意的にとられている。一方遺伝子治療に関しては、カルタヘナ法等への対応が日本における開発に影響している。

基本的な考え方

医療従事者に特殊なスキルが求められないモダリティの場合、以下の視点から開発国を選定*3

- 患者リクルートの早さ
- 開発に係るコスト
- 当該国における承認の早さ

遺伝子治療

- 新生児スクリーニングが普及している地域では早くリクルートできる*3
- 各国のカルタヘナ法における要求事項によって被験者の管理が異なる*3
- 使用する医療従事者に高いスキルが求められる*3

日本の状況と企業の判断

【再生医療等製品】

日本では使用成績調査を条件に早期の条件付き承認が可能*3

初期から治験サイトとして日本を候補に入れる

【遺伝子治療】

日本は治験の最初の患者の組み入れまでに、カルタヘナ法に基づくヒトによる環境評価求められるため、第 I 相試験を行う場合厳格な被験者管理が必要*3

日本を第 I 相試験に加えられない*2

※ただし、カルタヘナ法は改善が図られていることから、周知が必要と考えられる。

欧米と日本の治験環境の比較

日本は、「遺伝子治療」というモダリティのトレンドや、「DCT」という治験形態のトレンドに対応しにくい状況にあり、治験環境が整っているとは言えない。

治験環境

リクルートの早さ

- (欧米)疾患レジストリが構築されており、企業利用もしやすいため、患者リクルートに活用可能*1,*3
- (欧米)患者会の活動が活発で患者会を通したリクルートが可能*3
- (日本)基本的な疫学データがない疾患が多く、患者がどれだけいるのか把握できない。患者数等を把握する際に研究班や特定の医師の情報に頼らざるを得ない*3
- (日本)疾患レジストリが公開されていない、企業利用できない、というケースが多くリクルートに活用できない*3

新規モダリティの導入しやすさ

- (米国)カルタヘナ議定書を批准しておらず、遺伝子治療等の開発がしやすい*3
- (日本)カルタヘナ法等への対応が遺伝子治療の開発判断に影響していると企業は認識。一方、カルタヘナ法は改善が図られている*3

DCTへの対応可否(国際的な治験のトレンドへの対応)

- (欧米)DCT(分散型臨床試験)に関するガイダンスもあり、実施体制ができつつある*1
- (日本)医療機関のIT導入やデータ連携、ガイダンス整備が未実施ですぐには対応できない*1,*3

事務的な負荷の大きさ

- (米国)医療機関と治験依頼者の契約ではなく、医師個人を治験責任医師等として登録する形態で契約負荷が少ない*1
- (日本)医療機関と治験契約を結ぶため、個別のIRB対応等契約負荷が高い*3

欧米と日本の患者会活動の比較

日本の患者会の活動可能な内容・規模には限界がある。

- 欧米では患者会や患者会とりまとめ組織が、規制当局との共同プロジェクトの実施や、研究支援、患者や社会に対する支援、啓発・教育活動を活発に行っている。^{*1,*3}
- 欧米の患者会は運営資金も多く、医薬品開発等の専門家が運営メンバーとして参画していることから、医薬品開発に向けた活動等を含む様々な活動が可能になっていると考えられる。^{*1,*3}

組織・運営^{*1,*3}

- 患者会とりまとめ組織の運営資金が日本よりも圧倒的に多い(米国、欧州)
- 規制当局との共同プロジェクト実施等連携した運営を実施(米国)
- 医薬品開発、公衆衛生、社会科学等の専門家が参画(欧州)

医薬品開発に向けた活動^{*1,*3}

- アカデミアに対して研究助成を実施(米国)
- 自然史研究の推進や、患者会が保有するDBカタログ等を自ら構築(米国)
- 疾患レジストリ登録やヒストリカルデータ研究への協力を推進(欧州)

患者・社会に対する支援・啓発・教育活動^{*1,*3}

- 患者支援者向けに医療、研究、医薬品開発教育プログラムを提供(欧州)
- 希少疾患に関する様々なコンテンツ発信、支援プログラムを提供(米国、欧州)

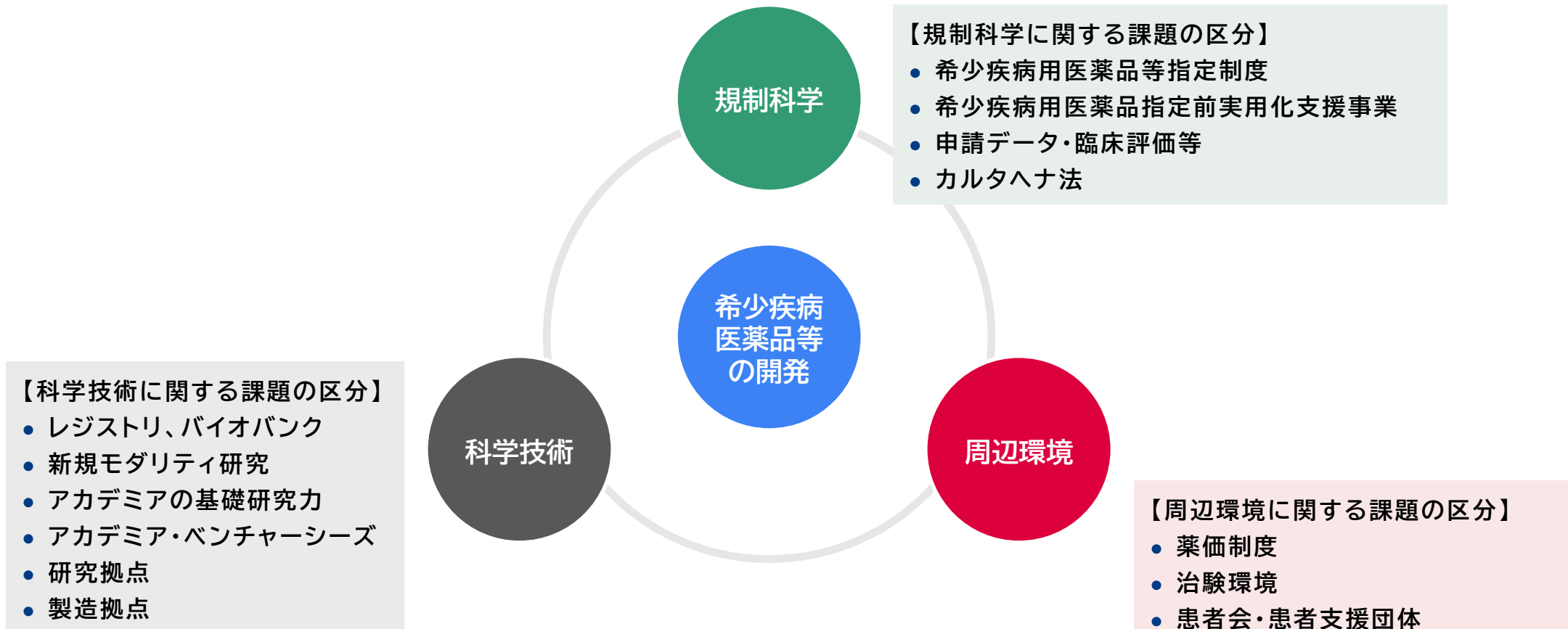
動向分析・課題整理

- 希少疾病用医薬品等に関する動向分析
- 希少疾病用医薬品等の開発及び承認申請を促進するための課題

希少疾病医薬品等の開発及び承認申請を促進するための課題

希少疾病用医薬品等の開発促進には規制科学、科学技術、周辺環境それぞれで課題解決が求められる

- 本調査で、日本における希少疾病用医薬品等開発促進の課題を抽出した。
- 開発促進の課題は多様であり、並行して解決していくことが求められる。



規制科学(1/2)

区分	課題	方策案 検討
希少疾病用 医薬品等指 定制度	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>指定タイミングの早期化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本では「開発の可能性」が要件にあることにより、指定タイミングが欧米と比較して遅い。(マクロ調査、インタビュー調査(内資、外資日本法人、海外ベンチャー)) ✓ 大企業においては、社内での開発優先度が下がる可能性がある。(インタビュー調査(内資)) ✓ ベンチャー企業にとっては、導出交渉に活用できない。(インタビュー調査(内資)) ✓ 製造販売承認直前での指定のため、税制上の優遇や助成金等の活用ができず、本来的に制度が意図する開発促進となっていない。(インタビュー調査(内資、外資日本法人、国内ベンチャー)) ● <u>競合開発品・既存品複数存在下での指定</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本の指定要件に含まれる「既存の医薬品・医療機器・再生医療等製品と比較して」という文言により、3～4剤目の指定が受けられないことがあり、開発が促進されていない。(マクロ調査、インタビュー調査(内資、外資日本法人)) ✓ 患者としては3～4剤目に救われることもある。(インタビュー調査(内資)) ● <u>患者QOL向上等ベネフィットによる指定</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本では既存薬がある場合、既存薬と比較して「著しく高い有効性又は安全性」が求められる。一方、欧米では「ベネフィット」等でも要件を満たすとされるため、製剤の工夫等により患者QOLの向上をもたらす品目も指定を受けられる。(マクロ調査、インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>指定基準の透明化、拒否事由の開示</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 「医療上の必要性」ならびに「開発の可能性」について、基準が不透明であり、拒否事由が共有されていないため、次の開発に活かさない。(インタビュー調査(外資日本法人)) 	—
希少疾病用 医薬品指定 前実用化支 援事業	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>事業規模拡大、1件当たり助成金額の増額</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 新規モダリティの開発には不十分な額となっている。(インタビュー調査(内資、国内ベンチャー)) ● <u>公募・採択タイミングの柔軟化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 年に1度の公募・採択であり、開発タイミングと合わない活用されない。(インタビュー調査(内資)) ● <u>助成金以外の支援</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 資金援助のみならず、PMDA、FDA、EMA等との協議に向けた支援があると良い。(インタビュー調査(内資)) 	—

規制科学(2/2)

区分	課題	方策案 検討
申請データ・ 臨床評価等	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>日本人データの必要性事由の明確化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧米で上市済みの医薬品であっても、使用実績レベルの日本人データが求められ、日本での上市が数年遅れる。(マイクロ調査、インタビュー調査(内資、外資日本法人)) ✓ 求められる試験は、通例プラセボ対照なしの数例程度でデータであり、科学的な意味は不明。(インタビュー調査(内資、外資日本法人)) ✓ 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で挙げられた品目でも求められる。(マイクロ調査、インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>RWDを活用する場合の要件の明確化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ RWDの利用シーンごとに、求められる信頼性の基準が不明確であり、企業が積極的に活用できない。(マクロ調査、インタビュー調査(内資)) ✓ 臨床試験申請データでの利活用として信頼性の話ばかりが目されているが、早期臨床試験のターゲットとする患者集団の設定や、市販後の患者QOLやHTA等「患者集団の性質に基づく研究」での利活用を進める体制構築が重要。(インタビュー調査(外資日本法人)) ✓ ヒストリカルデータを活用し、外部対照としてエビデンスを活用できる旨、PMDAの見解が示されると、活用が促進される。(インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>生物由来原料基準に関する見直し</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本の生物由来原料基準は日本独特かつ厳格である。海外由来のローマテリアルが生物由来原料基準に適合していないとして、国内開発のために多くの調査を要する、もしくはローマテリアルの変更等日本固有の対応が求められる。(インタビュー調査(内資)) 	—
カルタヘナ法	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>カルタヘナ法への理解</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 企業に対するインタビューにおいては、日本では、カルタヘナの運用として治験の最初の患者の組み入れまでに一定の評価を求められ、ヒトデータがないと患者の厳しい管理等が求められるため、試験実施が制限されるとの認識であった。(マイクロ調査、インタビュー調査(内資、外資日本法人)) ✓ 一方、有識者からは、現在カルタヘナ法に関しては改善が図られており、上記インタビューから得られた課題は解決されているとの意見があり、最新のカルタヘナ法について周知が必要である。 	—

科学技術(1/3)

区分	課題	方策案 検討
レジストリ・ バイオバンク	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>レジストリやバイオバンクを統合利用可能なプラットフォームの構築</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧米ではアカデミアが連携してデータを収集し、アカデミアや企業が利活用できるようなプラットフォームが整備されている。(マクロ調査) ✓ 日本では、様々な主体が個別にデータを収集しており、公表されていないため活用できず、アカデミアならびに企業の研究開発に活かされていない。(マクロ調査、ミクロ調査、インタビュー調査(内資、国内ベンチャー)) ● <u>RWDの収集基盤の整備</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧州を中心に国として診療情報を収集し、活用されている。(インタビュー調査(国内ベンチャー)) ✓ 日本では診療情報の収集・解析・公開する取り組みが遅れている。(インタビュー調査(国内ベンチャー)) ● <u>レジストリの持続的な運営方法の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 企業は治験及び製造販売後調査実施後のレジストリメンテナンスの経費を負担できない。(インタビュー調査(国内ベンチャー)) ● <u>RWDを活用した臨床評価指標の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ RWD活用に向けて臨床試験のシミュレーションを行う組織が設立され(例;Critical Path Institute)、RWDを活用した臨床評価指標の検討が海外で進んでいる。(マクロ調査、インタビュー調査(内資)) ✓ 国内では臨床評価指標の検討が十分に進んでおらず、評価に必要なデータが収集されていないため、RWDが活用できない事態が生じる。(インタビュー調査(内資、国内ベンチャー)) 	○ (研究)

科学技術(2/3)

区分	課題	方策案 検討
アカデミア・ベンチャーシーズの実用化	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>アカデミアにおける実用化研究への意識の醸成</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 希少疾患領域でのアカデミアにおいては、実用化に向けた研究に対する意識が他領域より希薄。(インタビュー調査(アカデミア)) ✓ ベンチャー設立または企業導出を目的とした研究の活性化が求められる。(インタビュー調査(アカデミア)) ✓ 日本では、医師として臨床現場を離れ、医薬品等の開発業務に従事するキャリアパスが描きづらい。(インタビュー調査(アカデミア)) ● <u>アカデミアにおける体系的な研究</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本の研究、特に希少難治性領域では、研究体制が体系化されておらず、属人的である。(インタビュー調査(外資日本法人)) ✓ 体系化されていないため、アイデアがよくてもデータに不足があり海外の研究より見劣りする。(インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>ベンチャーエコシステムの構築</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧米、特に米国ではベンチャーを取り巻くネットワークが充実しており、起業から企業導出までスムーズであり、イノベティブな製品創出環境が整っている。(インタビュー調査(内資)) ✓ 日本では投資資金、ノウハウ等が劣っており、アカデミ・ベンチャーシーズの実用化が困難。(インタビュー調査(内資)) 	○ (研究)

科学技術(3/3)

区分	課題	方策案 検討
新規モダリティ研究	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>競争優位性とトレンドを意識した競争領域への投資</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 有望な新規モダリティ研究で日本が優位性を示すために、投資領域の検討において、日本のアカデミアの競争優位性と、グローバルな最新モダリティのトレンドを調査したうえで、国としての戦略を立てることが望まれる。(インタビュー調査(内資)) ● <u>科学的観点からの支援期間の設定</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 国のファンディングが科学的な観点を踏まえた支援期間になっておらず、事業年度で打ち切られる。(インタビュー調査(内資)) ● <u>ランニングコストの支援</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 新規モダリティを活用する場合、希少疾患領域では製造におけるランニングコストを回収できない。(インタビュー調査(内資)) ✓ ランニングコストが赤字では事業として成り立たないため支援が望まれる。(インタビュー調査(内資)) 	—
研究拠点	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>新規モダリティに関するノウハウや製造能力を持ったプレイヤーの充実化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本にはノウハウや製造能力が不足しているため、欧米に比較し、研究拠点としての魅力が劣っている。(インタビュー調査(内資)) ✓ 国内からの企業の研究拠点流出は、国内のアカデミアシーズの実用化に影響を与えかねない。(インタビュー調査(内資)) 	—
製造拠点	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>抗体医薬品、ウイルス製剤、mRNAの製造体制の充実化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本では抗体医薬品、ウイルス製剤、mRNAの製造拠点が不足。(インタビュー調査(内資、国内ベンチャー)) ✓ 米国ではCDMOに対する国、VC、製薬企業等からの投資が充実(インタビュー調査(内資)) ✓ 空輸に耐えられないモダリティの場合には、製造拠点がなければ開発国にならない。(インタビュー調査(内資)) 	—

周辺環境(1/3)

区分	課題	方策案 検討
薬価制度	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>薬価面での開発促進策の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ (希少疾病用医薬品に限った話ではないが)自由薬価方式を採用している国に比較し、開発優先度は下がる。(インタビュー調査(内資、外資日本法人、国内ベンチャー)) ✓ 希少疾患領域でのドラッグラグを是正するには、開発資金援助・早期審査等のみならず薬価面でも開発促進策が必要。(インタビュー調査(内資、外資日本法人、国内ベンチャー)) ✓ 特にドラッグ・リポジショニングによる開発品に対する薬価の手当てが必要。(インタビュー調査(国内ベンチャー)) ● <u>事前予見性の向上</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 希少疾病用医薬品では、悲観的な想定薬価では赤字になることもあり、事業性評価により開発が断念されることがあるため、薬価の事前予見性が重要。(インタビュー調査(内資)) ✓ 採用される薬価算定方式の見込みが早期に示される等、薬価の事前予見性向上が求められる。(インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>ウルトラオーファンドラッグの薬価算定方法の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 特に国内患者数1,000人未満のウルトラオーファンドラッグでは、原価計算方式による積み上げでは採算性確保は難しく、事業が成り立たない。(インタビュー調査(内資)) ● <u>小児用医薬品の薬価算定方法の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 小児用に製造ラインが必要になりコストがかかることもあるため、成人と比較した投与量からの算定では採算性確保が困難なことがある。(インタビュー調査(内資)) 	—

周辺環境(2/3)

区分	課題	方策案 検討
治験環境	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>患者情報の集約・情報共有</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 指定難病以外の場合、日本にどれだけ患者がいるか情報がない。(インタビュー調査(内資、外資日本人)) ✓ 希少疾患領域ではKOLを通じた属人的な治験サイト選定が一般的であり、網羅的でない。(インタビュー調査(外資日本人)) ✓ 診療情報の集約、レジストリ構築・情報共有、医師間ネットワークの強化が求められる。(インタビュー調査(内資、外資日本人、国内ベンチャー)) ● <u>新たな患者リクルート方法の検討</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 米国ではソーシャルメディア等を用いた患者リクルートが可能だが、日本では未承認薬の広告規制の関係から活用が困難。(インタビュー調査(外資日本人)) ● <u>医療機関におけるITツールの活用</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本の医療機関は、ポリシー面でITツール導入に躊躇しているケースが多く、ITツールを活用したデータの質の担保への転換ができない。(インタビュー調査(外資日本人)) ● <u>DCT実施環境の整備</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 規制面、運用面、技術面でDCT実施の環境が整っておらず、世界的な潮流であるDCTを用いた国際共同治験に日本が参加実施できない事態になりかねない。(インタビュー調査(外資日本人)) ● <u>中央IRBの活用促進</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 中央IRBでの審議結果の受け入れが進んでおらず、各医療機関に合わせたドキュメント整備が求められ、治験準備業務の負荷が高い。(インタビュー調査(内資)) 	○ (開発)

周辺環境(3/3)

区分	課題	方策案 検討
患者会・患者 支援団体	<ul style="list-style-type: none"> ● <u>運営体制の強化</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧米の患者会ではアカデミアや製薬企業OB等が運営に携わっていることが多い一方、日本の希少難治性疾患領域の患者会は、患者や患者家族で運営しているケースが多く、属人的な活動となっている。(インタビュー調査(内資、外資日本法人、国内患者会)) ✓ 属人的な運営のため、一部、ガバナンス・コンプライアンスが不十分な患者会も存在。(インタビュー調査(外資日本法人、国内患者会)) ● <u>予算の確保</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本の患者会は、欧米と比較し、予算規模に大きな差がある。(マクロ調査、インタビュー調査(内資、国内患者会)) ● <u>患者会情報の把握・共有</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 希少難治性疾患領域の患者会は規模が小さく、疾患・地域ごとにどのような患者会が存在するか不明。(インタビュー調査(国内患者会)) ✓ 各患者会の設立経緯・目的が不明であることが多く、医薬品開発への協力可能性を判断できない。(インタビュー調査(国内患者会)) ● <u>医薬品開発に関する意識の醸成と知識習得</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 患者会により、設立経緯・目的が異なるため、医薬品開発に対する意識や知識にばらつきがある。(インタビュー調査(国内患者会、内資、外資日本法人)) ✓ 医薬品開発に前向きであっても知識レベル・ルールへの理解度は多様であり、教育を受ける機会も少ない。(インタビュー調査(外資日本法人)) ● <u>アカデミア・製薬企業におけるPPIに関する認知度・理解度向上</u> <ul style="list-style-type: none"> ✓ アカデミアが、研究早期から患者視点を取り入れることへの理解が進んでいない。(インタビュー調査(国内患者会)) ✓ 製薬企業が患者の言質を取り目的で意見収集し、PPIの本質を理解していないケースがある。(インタビュー調査(国内患者会)) 	○ (患者 会)

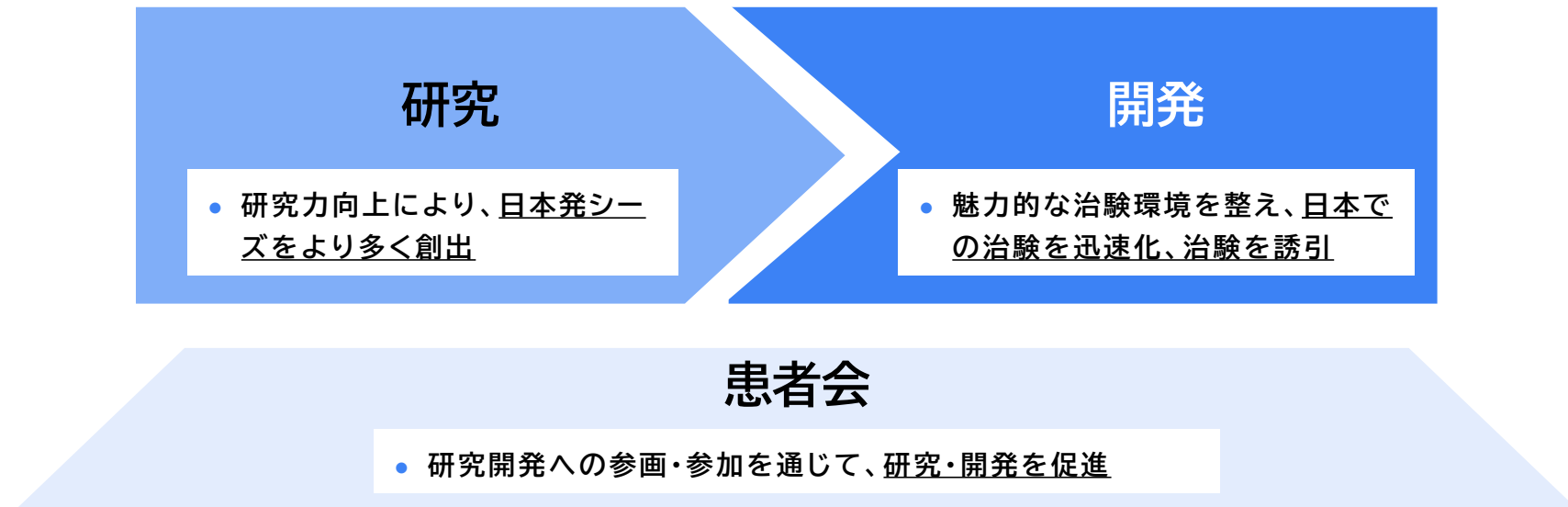
方策案

- 方策案の検討

希少疾病用医薬品等の開発・承認申請促進のための方策案検討

「研究」「開発」「患者会」の3点について特に重要であると考えられ、かつ解決には国が様々なステークホルダーと連携して取り組むべきと思われる課題について、方策案を検討

- 希少難治性疾患の医薬品等の開発・承認申請の促進には、シーズを創出する「研究」、シーズを実用化する「開発」の双方の促進が求められる。
- さらに、研究・開発に欠かせない試料や情報・データの提供や、患者インサイトの提供、治験への参加等、「患者会」の活動・機能の拡充も重要。
- 課題解決には多くのステークホルダーが関係するもの、規制当局による検討が必要なもの等、様々である。



該当する調査は次のとおり。

*1 マクロ調査, *2 ミクロ調査, *3 インタビュー調査, *4 中国調査

【研究】データ・試料・ナレッジのシェアリング推進

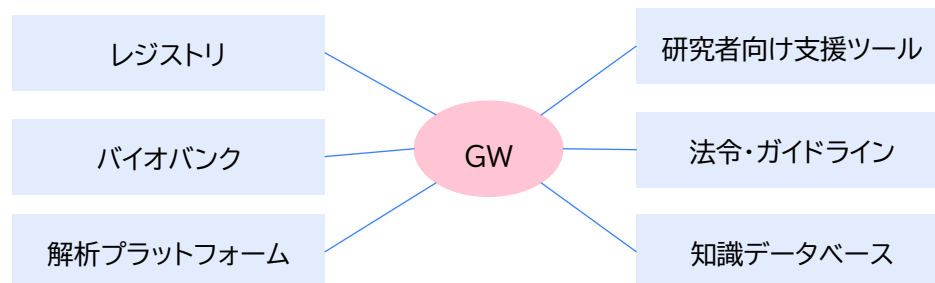
ゲノム・RWD・試料等のシェアリングや、アカデミア及び企業間の情報共有を促進し、実用化に向けた研究環境を改善させる

- アカデミア個別にデータを収集しており、リソースが散在している。リソースの具体的な内容が公開されていない。*1,*3
- アカデミアのリソースのシェアリングに対する意識が未成熟。*3
- アカデミアの実用化研究への意識や知識にばらつきがある。*3
- そのため個々のリソースがアカデミアや開発企業の研究開発に十分に活かされていない。*1,*2,*3

そのために必要なこと

- ✓ ゲノム・RWD・試料等のリソースをシェアリングするプラットフォームと、それらを繋ぐゲートウェイシステムの構築
- ✓ プラットフォームを利活用してもらうための運営体制の構築
- ✓ アカデミアがリソースを共有することに対するインセンティブの付与
- ✓ 実用化研究に関する学-学間および産-学間の情報共有の促進

国内研究リソース共有を促す ゲートウェイ(GW)システムイメージ



ワンストップで研究リソースや様々な情報の所在を把握

企業との情報共有を促す仕組み例 (英国Genomics England Discovery Forum)



出所) Genomics England Discovery Forum
<https://www.genomicsengland.co.uk/discovery-forum-partnership-on-an-industrial-scale/> (閲覧日2022年3月24日)

該当する調査は次のとおり。

*1 マクロ調査, *2 ミクロ調査, *3 インタビュー調査, *4 中国調査

【開発】ITシステムを活用した治験実施体制・ネットワークの構築

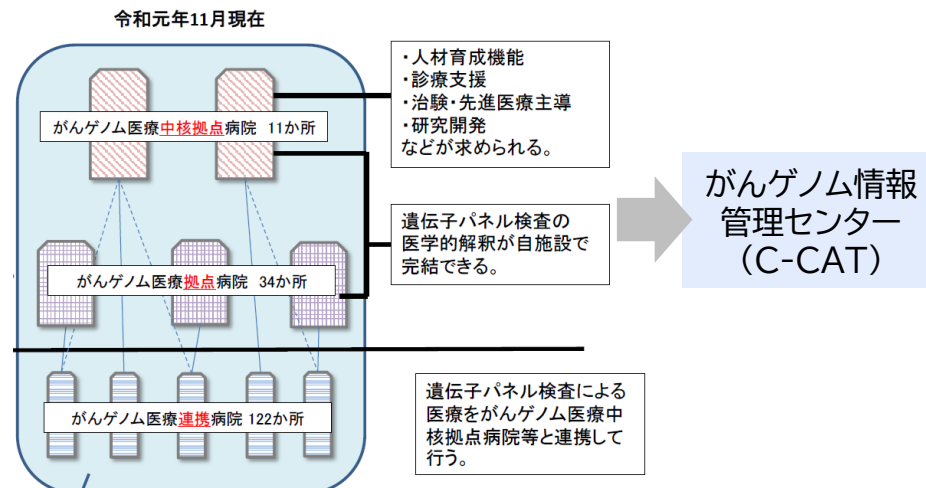
ITによるデータ連携も含めて医療機関を階層的に連携し患者情報を集約、DCTにも活用可能な基盤を整備することで、臨床開発の場としての魅力度を向上させる

- 患者情報が集約されておらず、KOL頼りのリクルートでは非効率。^{*3}
- 特定の研究班等に偏ることなく、全国規模で患者リクルートできることが求められる。^{*3}
- ITシステムの導入が進んでおらず、データの質担保の視点も含め医薬品開発に利用可能なデータ収集がなされていない。^{*3}
- ITシステムのような技術面に加え、規制面、運用面でもDCT実施の環境が整っていない。^{*3}
- 中央IRBの導入が進んでおらず、各医療機関に合わせたドキュメント整備が求められるため、治験準備業務の負荷が高い。^{*1,*3}

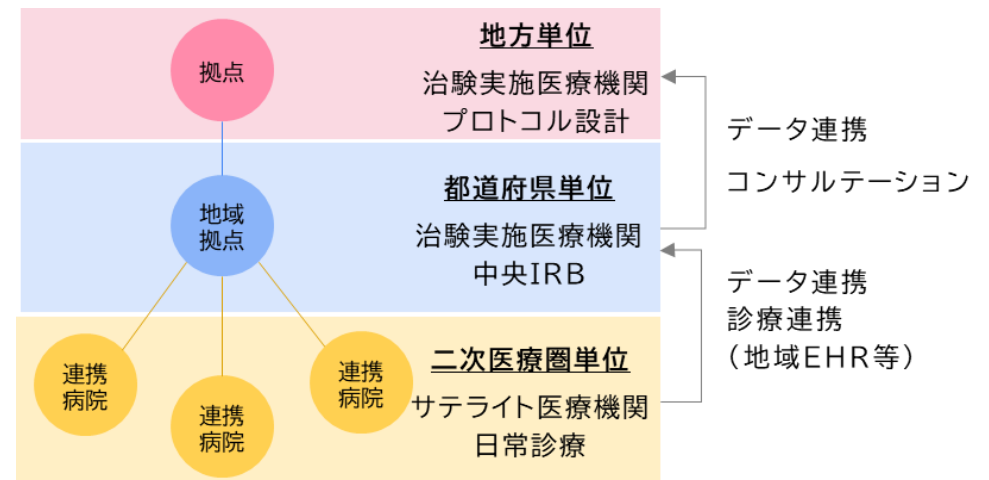
そのために必要なこと

- ✓ ITシステムによる全国規模のデータ連携の推進
- ✓ DCTにも対応可能な医師間のネットワーク(診療連携体制)の構築

参考)がんゲノム医療の提供体制



医療機関ネットワークイメージ



サテライト医療機関: 被験者の近隣医療機関として、実施医療機関に代わって臨床試験等を実施する。

出所) 令和元年12月5日 第3回がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議 資料1-1を

株式会社三菱総合研究所にて改変

Copyright © Mitsubishi Research Institute

該当する調査は次のとおり。

*1 マクロ調査, *2 ミクロ調査, *3 インタビュー調査, *4 中国調査

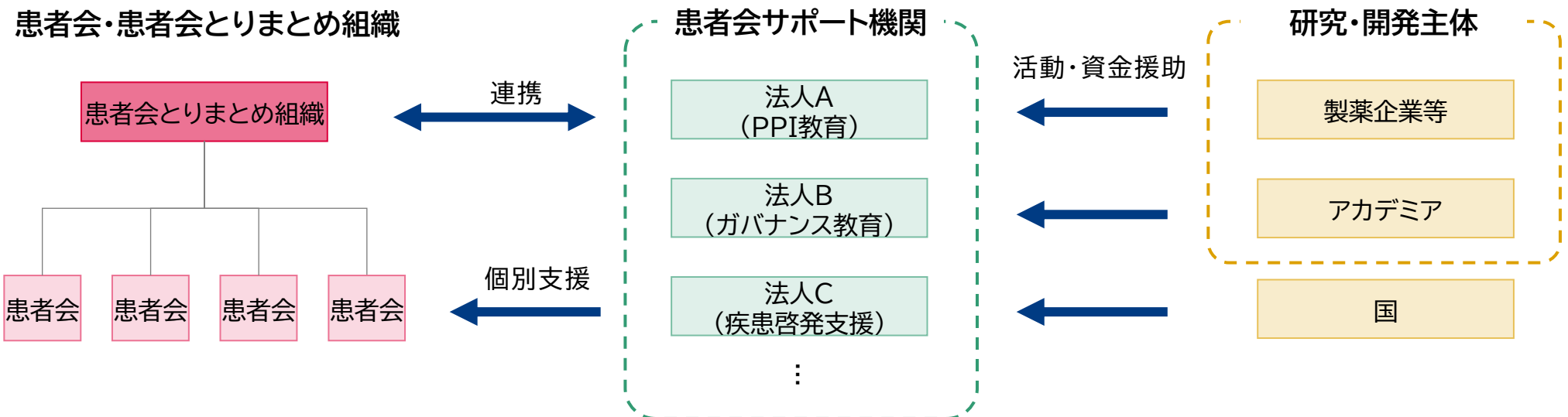
【患者会】患者会サポート機関による患者会活動の促進支援

「患者会のサポートをする機関」を充実させ、支援機関によるサポートを拡充するという「日本に合った形」で患者会の医薬品研究開発に関する活動を促進させる

- 日本の患者会は、欧米と比較し、予算規模に大きな差がある。*1,*3
- 日本の希少難治性疾患領域の患者会は、患者や患者家族で運営しているケースが多く、活動規模は属人的である。*3
- 設立経緯・目的が異なるため、医薬品開発に対する意識や知識にばらつきがある。*3
- 各患者会の設立経緯・目的が不明であることが多く、開発企業が各患者会の医薬品開発への協力可能性を判断できない。*3

そのために必要なこと

- ✓ 患者会をサポートする組織(患者会サポート機関)の充実化
- ✓ 製薬企業等・国による患者会サポート機関への資金援助の枠組み検討
- ✓ 患者会サポート機関と研究・開発主体との意識・情報の共有の場の設置



未来を問い続け、変革を先駆ける

MRI 三菱総合研究所