

日本医療研究開発機構 臨床研究・治験推進研究事業 事後評価報告書



I 基本情報

研究開発課題名: (日本語) 治験・臨床試験を機動的かつ円滑に実施するためのサポート機能に関する研究
(英語) Research on support functions for conducting clinical trials and clinical study flexibly and smoothly

研究開発実施期間: 令和2年4月1日～令和4年3月31日

研究開発代表者 氏名: (日本語) 猪口雄二
(英語) Yuji Inokuchi

研究開発代表者 所属機関・部署・役職:
(日本語) 公益社団法人 日本医師会 副会長
(英語) Vice-president, Japan Medical Association

II 研究開発の概要

治験・臨床試験を機動的かつ円滑に実施するためのサポート機能に関する研究

これまで日本医師会は、希少疾患や難病領域を中心に、日本医学会と連携しながら治験候補薬等の選定及び医師主導治験実施の包括的支援を実施してきた。疾病の重篤性、医療上の有用性に加え、推定対象患者数に基づいて治験候補薬等の選定を行い、医療現場で必要とされる医薬品等の承認取得を目的とする医師主導治験の実施の支援、医師主導治験等の課題解決に資する研究支援ツールについても逐次的に開発してきた。

本研究では、医療ニーズは高いものの対象患者の特殊性から採算性が低く、開発することが難しい希少疾患や小児領域等を対象とした医薬品開発を行う研究者、製薬業界及びARO (Academic Research Organization) 等をサポートし円滑な医師主導治験・臨床研究 (以下、「治験・臨床研究」) の実施環境を整備する研究を行った。具体的には、研究者、患者団体、製薬業界及び研究支援部門の有識者を構成員とした検討会、並びに製薬業界及び研究支援部門の有識者を構成員とした作業班 (WG) を設置し、研究開発実行可能性等の意見を聞きながら、アンメットメディカルニーズ調査及び開発候補医薬品の推薦依頼を日本医学会分科会に対して実施した。また、治験・臨床研究を実施する上で研究者の障壁や課題を分析し実践的な研究支援ツールの開発を行った。

1. 研究者や患者団体、製薬業界、学会等と連携した開発候補医薬品のリストの開発

(1) アンメットメディカルニーズ調査・分析

新たな治療薬開発のための研究費や人材等の資源配分を効率よく行うことを目的に、「いまだ有効な治療

方法が確立されていない、あるいは既存治療では十分でない疾病に対する医療への要望」をアンメットメディカルニーズと定義し、日本内科学会の評議員等を対象に試行的アンメットメディカルニーズ調査を行った。調査項目は検討会で議論・決定し、新たな治療薬が必要な疾患名、その理由等を調査項目とし、令和3年1月14日から2月7日までweb調査を行った。174人から回答があり、新たな治療薬が必要な疾患数は186件（のべ569件）であった。

試行的調査結果を踏まえ、改めて調査項目を検討会で議論・決定し、日本医学会分科会（臨床部会）の評議員等を対象にアンメットメディカルニーズWeb調査を行った。所属学会、診療科、新たな治療薬が必要な疾患名、その理由、国内承認の有無等を調査項目とし、令和3年7月13日から9月30日までweb調査を行った。1308人から回答があり、新たな治療薬が必要な疾患数は853件（のべ2282件）であった。

令和2年度に日本内科学会に対して実施した調査結果とともに、疾患領域横断的で網羅性の高いアンメットメディカルニーズ調査結果を取りまとめた。

また、調査協力確認ができた18患者団体に対して、患者が必要としている治療薬開発ニーズ調査も行った。新たな治療薬の開発が必要な疾患の有無とその理由、治療薬開発に携わる機関への要望及び連携している学会、研究班等を調査項目とし、令和3年9月21日から10月31日までweb調査を行った。開発を要望する疾患数は37件であった。本調査結果は、開発候補医薬品の推薦につなげるために日本医学会分科会（臨床部会）へ情報提供した。

(2) 開発候補医薬品リストの作成

希少疾患や難病領域において、速やかに開発が必要な医薬品リストを作成するために、これまで日本医学会分科会から医師主導治験による治験候補薬等の推薦項目を基に検討会で議論を行い、推定対象患者数、国内外の承認状況、適応疾病の重篤性、医療上の有用性、患者ニーズ等を推薦項目として、日本医学会分科会（臨床部会）に対して開発候補医薬品の推薦を依頼した。29学会から100品目の推薦があり、特に日本小児血液・癌学会からは腫瘍用薬など41品目推薦があった。推薦項目を整理してリスト化した。

2. 研究実施上の課題整理と研究支援ツールの開発

(1) 研究実施上の課題整理

これまで日本医師会が開発した研究支援ツールも含め治験・臨床研究を実施するための研究支援ツールがWeb等で公開されている。新たな研究支援ツールの開発の必要性を確認するために治験・臨床研究を実施する上での障壁や課題を抽出するためのWeb調査を行った。

調査概要としては、計画・立案または実施（支援・協力を含む）してきた中で発生した障壁や課題、使用している研究支援ツール等を調査項目として、治験・臨床研究を実施している医師及び治験・臨床研究従事者を調査対象とし、令和3年1月6日から2月7日までweb調査を行った。調査結果としては、80人から回答があり、障壁や課題は286件、使用している研究支援ツールは70件の回答があった。障壁や課題をカテゴリー分けすると、研究資金、人的リソース及び人材教育に関する回答が多かった。また、日本医師会が開発した研究支援ツールを利用している回答が多かった。

(2) 研究支援ツールの開発

治験・臨床研究を実施する過程を研究準備、研究実施、企業導等の段階に分けて、現在公開（一般化）されている研究支援ツールを整理した結果と研究実施上の障壁や課題等の調査結果を基に、開発が必要な研究支援ツール候補の有無等を検討会で議論した。研究準備段階の研究支援ツールの開発の必要性があると判断されたため、具体的な研究支援ツールの検討を行った。

障壁や課題等の調査結果では、人材不足及び人材育成困難等が治験・臨床研究を実施する上での障壁や課題になっている回答が多くあった。これまでこれら課題を解決するため国等により対策がおこなわれているが解

決するのは容易ではないと考えられる。そのため人材不足及び人材育成困難等を少しでも解消できるより実用的な治験・臨床研究を実施するための研究支援ツールを作成するために、有識者によるワーキンググループ (WG) を立ち上げ、定期的に会合を重ね以下の研究支援ツールを作成した。作成した研究支援ツールは日本医師会治験促進センターのWebページ (<http://www.jmacct.med.or.jp/information/notice.html>) にて公開し、治験・臨床研究従事者に改善要望等の意見を求めたが大きな修正が必要な意見はなかった。

1) 医師主導治験スタディマネジャーのためのオペレーション支援ツールの作成

(<http://www.jmacct.med.or.jp/information/stm.html>)

医師が治験を実施しようとする場合、治験準備及び実施の業務を円滑に進めているために、運営管理する支援者 (スタディマネジャー) が重要な役割を担うが、医師主導治験の数も少なくスタディマネジャーの育成には時間を要するため、これまで得られたスタディマネジャー業務のノウハウや既存支援ツールを集約し、標準化した支援ツールを作成した。今後、治験・臨床研究等に関係する学会にて本研究支援ツールの周知活動を実施することを検討する。

2) 医師主導治験の標準業務手順書 (SOP) 等の改訂

(<http://www.jmacct.med.or.jp/information/sop.html>)

これまで1つの治験薬の安全性・有効性を確認する治験が主流であったが、近年、腫瘍用薬の開発において1つのがん種に対して、複数の治験薬の有効性・安全性を確認するアンブレラ治験が増えてきていることより関連する規制が改正された。それに対応するために公開しているSOPひな形を改訂した。

アカデミア向けに新たに「治験使用薬」が定義されたことに伴う、改定の趣旨についてWeb開催による説明会を3月24日に開催した。さらに治験薬の管理に関する説明会を4月28日に開催、安全性情報の取扱いに関する説明会を5月25日と6月8日に開催する予定である。

3) 医師主導治験に係るデータマネジメント手順書等の作成

(<http://www.jmacct.med.or.jp/information/dmp.html>)

治験を実施して得たデータを収集するためのデータベースを作り、そのデータを整理・確認し、統計解析に耐えうる正確なデータを導くデータマネジメント業務は、医師主導治験においてアカデミア自身が実施する機会が増加している。そこで、医師主導治験におけるデータマネジメント業務を標準化した支援ツールを作成した。今後、治験・臨床研究等に関係する学会にて本研究支援ツールの周知活動を実施することを検討する。

英文

Smooth support for researchers, the pharmaceutical industry, ARO (Academic Research Organization), etc. that develop drugs for rare diseases and pediatric fields that are difficult to develop due to the high medical needs but low profitability due to the peculiarities of the target patients. We conducted research to improve the environment for conducting clinical trials and clinical studies. Specifically, we have set up a study group consisting of researchers, patient groups, experts in the pharmaceutical industry and research support department, and a working group (WG) consisting of experts in the pharmaceutical industry and research support department. While listening to opinions on the feasibility of research and development, we conducted an unmet medical needs survey and requested the recommendation of candidate drugs for development to the subcommittee of the Japanese Society of Medicine and summarized them. In addition, we analyze the barriers and issues of researchers in conducting clinical research and clinical trials, develop p

ractical research support tools, and develop a practical research support tool on the website of the Japan Medical Association Center for Clinical Trials (<http://www.jmacct.med.or.jp/information/notice.html>).