

どうなる？どうする？ 日本の臨床研究・治験

国立病院機構
名誉理事長

楠岡 英雄

臨床研究・治験の推進

- 1997年 GCP省令
 治験の空洞化
- 2003年4月 全国治験活性化3力年計画
 治験数回復の契機
- 2007年3月 新たな治験活性化5力年計画
 効率性と質の向上を目指す
- 2012年3月 臨床研究・治験活性化5力年計画
 医師主導治験・革新技術基盤の強化
- 2019年12月 臨床研究・治験の推進に関する
 今後の方向性について(2019年版)
- 2025年？月 どうする？

臨床研究・治験の推進に関する 今後の方向性について 2019 年版とりまとめ 令和元年12 月6日

- I . 「新薬・新医療機器等の開発」と「診療の最適化のための研究」のバランス
- II . 人材育成の強化と財政的リソースの効率化
- III . リアルワールドデータの利活用促進
- IV . 小児疾病・難病等の研究開発が進みにくい領域の取組み
- V . 国民・患者の理解や参画促進

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

第36回 厚生科学審議会臨床研究部会

令和6年9月4日

厚生労働省医政局研究開発政策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について 2019年版とりまとめ」 これまでの取組

I . 「新薬・新医療機器等の開発」と「診療の最適化のための研究」のバランス

- 革新的な医薬品、医療機器等の研究開発の推進の観点から、
 - ・ 医療法上に位置づけられた臨床研究中核病院において、臨床研究支援・実施基盤及びネットワーク機能を活用した日本全体の研究開発基盤を強化するとともに、日本発の革新的シーズ等の国内外での実用化に繋げる取組を推進
- 「診療の最適化のための研究」の実施の観点から、
 - ・ 臨床研究中核病院の業務報告の記載事項に、診療ガイドラインに結び付いた論文の実績を追加し、状況を把握
 - ・ 医療者の外科的手技等の無形の医療技術や経験をデータ化して評価分析を行い、作成されたアルゴリズムを用いた革新的な診断法の開発、斬新な治療法などの新たな医療技術や医療システムの実用化を支援

Ⅱ．人材育成の強化と財政的リソースの効率化

- 研究開発を支える人材育成の強化として、
 - ・ 質の高い臨床研究・治験を実施すべく、臨床研究に従事する医師や臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー、各種倫理審査委員会の委員等に対して**養成研修を実施**
 - ・ 優れた生物統計家の人材育成を目的とし、大学院と病院が一体となり生物統計家の育成に取り組む「**生物統計家育成推進事業**」を実施
- 多岐にわたる臨床研究の支援において、限られたリソースを効率的に活用できるよう臨床研究中核病院と支援先機関との役割分担と連携等を模索し、臨床研究中核病院内外の機関における研究実施及び研究支援の質向上に向けた人材開発、連携ネットワークの構築を目的とした「**研究開発推進ネットワーク事業**」を実施

Ⅲ．リアルワールドデータの利活用促進

- 国内のレジストリ情報を提供するためのポータルサイトおよびレジストリ検索システムを運営、レジストリ保有者やレジストリ利活用者からの相談対応、情報提供を実施
- リアルワールドの研究への利活用を目的に、臨床研究中核病院におけるデータ品質管理の体制整備を実施

臨中ネット

「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について 2019年版とりまとめ」 これまでの取組

Ⅳ．小児疾病・難病等の研究開発が進みにくい領域の取組

- 小児疾病や難病等領域における取組の推進の観点から、
 - ・ AMEDを通じた臨床研究・医師主導治験の支援について、小児疾病領域においては別途公募枠を設けた支援、希少疾病領域においては企業治験の支援を実施
 - ・ 小児領域における医薬品開発を促進するため、開発支援リストの作成・更新や、企業への小児用医薬品開発の要望、企業に対する治験実施のサポートを実施
 - ・ 難病等の**レジストリ**保有者と開発企業とのマッチングを実施、企業の要望に応じたアカデミアの疾患登録システムの改修を支援し、レジストリ利活用を促進

V . 国民・患者の理解や参画促進

- 国民・患者への普及啓発の観点から、
 - ・ 臨床研究・治験情報へのアクセス向上に向けて、国内に複数存在していたデータベースについて順次jRCTへの統合を進め、検索機能の改善を実施
 - ・ 患者団体や研究者、業界団体等との意見交換を踏まえ、国内の臨床研究データベースの在り方を見直すべく、ユーザーフレンドリーなデータベースの実現に向けた大規模改修の検討を実施
 - ・ 「臨床研究情報ポータルサイト」において、医療従事者だけでなく国民・患者向けの臨床研究・治験について学ぶ本や教材を公表

「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について2019年版とりまとめ」 これまでの取組

その他の事項

- **認定臨床研究審査委員会（CRB）**の質の平準化等として、
 - ・ CRB毎の審査の均質化や質の向上を目的として、臨床研究中核病院を中心としたCRBを対象に、相互にCRBの審議内容を評価し合う相互評価を順次実施
 - ・ 臨床研究・治験を倫理的及び科学的観点から適正に審査することができる臨床研究・治験の審査委員会**委員及び委員長を養成するための研修**を実施
- **特定臨床研究の結果の薬事活用**として、
 - ・ 特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に活用する場合の要件、留意点等を一例として取りまとめ、事務連絡を発出
- **国際共同臨床試験の体制整備**として、
 - ・ 臨床研究中核病院において、海外対応可能な人材の育成や、国際共同治験を実施する者に対する支援を行うとともに、国際共同治験の推進に資するノウハウ共有を実施
 - ・ 日本とアジア諸外国が連携し、臨床試験実施拠点のネットワークの構築を図るための基盤整備を実施

「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」

令和4年度厚生労働科学特別研究事業

研究代表者: 国立がん研究センター東病院 佐藤暁洋

結果と考察

治験のCost, Speed, Qualityについては、Qualityは従前から問題なく、Speedは改善傾向にあるが、Costについてはいくつかの課題が残っていることが示唆された。

- Central IRBが普及していない、医療機関側の電子化が遅れていることによる治験依頼者側の事務作業量の増加がcostを押し上げている
- ICH-GCPとJ-GCPとの違いに起因する制度上の違い
- FMV/BMCが日本ではまだテスト導入段階

結論

以前のドラックラグ解消には、日本の施設が国際共同治験に参加できるまでにレベルアップさせていくことに重点が置かれ成果を上げたと考えられるが、**ドラックロスではレベルを維持したままより効率性を高めることが国際競争力の観点では重要であると考えられた。**

その方策としては、Central IRBやFMV/BMC※、治験の電子化/DXなどが重要であると考えられる。

※ Fair Market Value に基づく Bench Mark Cost 型費用算定

Fair Market Value (CFR定義) 「適切に情報が開示され、当事者間で独立性や競争性が十分に確保された条件の下、買い手と売り手との間で誠実な交渉の結果としてもたらされた、市場価格に基づく価格」

6. 治験の更なる効率化（エコシステム）について

（3）対応の方向性

① 中央IRBの活用促進

② 治験費用の算定方法の合理化

Fair Market Valueの導入

③ 治験運用の更なる合理化

GCP省令の改正を含め、更なる合理化に向けた取り組みを進めるべき

PMDAの体制強化を進めるべき

- ・IRB審議事項の整理、IRB成立要件の検討
- ・ICF様式の共通化とその普及
- ・治験管理（治験計画・変更届出）の効率化
- ・治験実施において厳格に実施する必要のあること、非効率となっていることの具体的事例の洗い出しと周知
- ・分散型治験等の新たな形態の治験に対応したGCPのあり方

患者や薬害被害者等の意見をよく聴くこと

希少疾病の治験環境を改善すること

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議

中間とりまとめ概要

課題 認識

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロス問題、我が国の医薬品産業の国際競争力の低下、産学官を含めた総合的・全体的な戦略・実行体制の欠如

医薬品産業・医療産業全体を我が国の科学技術力を活かせる重要な成長産業と捉え、政策を力強く推進していくべき

戦略 目標

治療法を求める全ての患者の期待に応えて最新の医薬品を速やかに届ける

- 現在生じているドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消
- 現時点で治療法のない疾患に対する研究開発を官民で推進

我が国が世界有数の創薬の地となる

- 豊かな基礎研究の蓄積と応用研究の進展
- 国内外の投資と人材の積極的な呼び込み

投資とイノベーションの循環が持続する社会システムを構築する

- アカデミアの人材育成や研究開発環境の整備、医薬品産業構造の改革
- スター・サイエンティストの育成、投資環境の整備、イノベーションとセルフケアの推進

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ概要

戦略目標 1. 我が国の創薬力の強化

創薬は基礎から実用化に至るまでの幅広い研究開発能力とともに、社会制度 や規制等の総合力が求められる。創薬エコシステムを構成する人材、関連産業、臨床機能などすべての充実と発展に向け、国際的な視点を踏まえながら、我が国にふさわしい総合的かつ現実的な対策を講じていくことが必要である。

○多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材

○国際水準の臨床試験実施体制

- ファースト・イン・ヒューマン（FIH）試験実施体制の整備
- 臨床研究中核病院の創薬への貢献促進
- 国際共同治験・臨床試験の推進
- 治験業務に従事する人材の育成支援・キャリアトラックの整備
- 海外企業の国内治験実施の支援
- Single IRBの原則化・DCTの推進・情報公開と国民の理解促進

○新規モダリティ医薬品の国内製造体制

○アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成

2. 国民に最新の医薬品を迅速に届ける

3. 投資とイノベーションの循環が持続する社会システムの構築

中長期的に全体戦略を堅持しつつ、常に最新の情報を基に継続的に推進状況をフォローアップしていくことが重要

「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」 中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表 (令和6年7月 内閣官房健康・医療戦略室)

中間とりまとめの3つの戦略目標と目指すべき成果目標

3つの戦略目標

(1)「国民に最新の医薬品を速やかに届ける」

現在生じている**ドラッグ・ロスの解消**(我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等について
2026年度までに開発に着手)

※ さらに、我が国において新たなドラッグ・ロスを可能な限り生じさせないよう、米国・欧州の状況をみつつ、官民協議会における議論・検討内容に基づいて、中期的なドラッグ・ロスの成果目標を設定する。

小児用医薬品の開発計画の策定件数(50件)、希少疾病用医薬品の承認件数(150件)(2024～2028年度累積)

(2)「世界有数の創薬の地となる」

(3)「投資とイノベーションの循環的发展」

- 我が国における国際共同治験の初回治験計画届件数(100件→150件)(2021年→2028年)
- 創薬スタートアップに対する民間投資額(2倍)(2023年→2028年)
- 企業価値100億円以上の創薬スタートアップを新たに10社以上輩出(2028年) ※2033年創薬ユニコーンを輩出
- 我が国の都市が世界有数(世界10位以内)の創薬エコシステムとして評価されている(2028年)

今後5年程度の**工程表**を策定、**アウトプット指標(KPI)**を設定、**進捗状況をフォローアップ**

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について 今後の進め方（案）

- 近年、Decentralized Clinical Trial (DCT) といった新たな治験手法が活用されるようになってきているなど、**最近の臨床研究・治験を取り巻く環境の変化**を踏まえた臨床研究・治験の推進策を検討する必要がある。
- 更に「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」において、**国際水準の臨床研究・治験体制の強化、治験の更なる効率化**等について指摘されている。
- これらを踏まえ、今後の臨床研究・治験の推進に関する方向性についてご議論いただき、臨床研究部会の考え方について取りまとめを行うこととしてはどうか。

検討項目（案）

● 国際共同試験の実施能力の向上

- ・ ファースト・イン・ヒューマン (FIH) 試験実施体制の整備
- ・ 海外企業からの国内治験実施の相談・支援を行うワンストップサービス窓口の設置
- ・ IRBの国際対応能力の強化

● 症例集積性の向上

- ・ DCTの体制整備
- ・ リアルワールドデータの利活用促進
- ・ 国民・患者の理解や参画促進

● 臨床研究・治験手続きの効率化

- ・ 中央IRBの推進
- ・ 手続きの電子化の推進
- ・ 統一書式（説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレート等）の普及

● 臨床研究・治験コストの透明性の向上

- ・ 臨床研究・治験費用の算定方法の合理化

● 臨床研究・治験に関わる人材の育成

- ・ 人材のキャリアプラン
- ・ 研究に対するインセンティブ

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について 議論のポイント（案）

1. 国際競争力のある臨床研究・治験体制の強化として、どのようなことに取組むべきか。
2. 症例集積性の向上のためには、どのような取組が考えられるか。
3. 臨床研究・治験手続きの効率化のために、どのような取組が考えられるか。
4. 臨床研究・治験コストの透明性の向上のために、どのような取組が考えられるか。
5. 臨床研究・治験に関わる医師や研究支援人材の育成・研究に対するインセンティブについて、どのような取組が考えられるか。
6. このほか、今後の臨床研究・治験環境を変化を見据え、臨床研究・治験の推進のために必要な方策として、どのような取組が考えられるか。

厚生科学審議会臨床研究部会 臨床研究・治験推進に係る方向性 ヒアリング

- 欧州製薬団体連合会・米国研究製薬工業協会・
日本製薬工業協会
- 日本医療機器産業連合会
- 日本CRO協会
- 日本SMO協会
- 臨床研究中核病院連携協議会
- 浜松医科大学 渡邊裕司（非臨床研究中核病院
の立場から）
- to be announced

ヒアリングで提出された意見(1)

- 国際競争力の強化
- FIH試験実施体制の整備
- 臨床研究・治験手続きの効率化
- 研究結果の利用目的や試験の種類に応じて利活用しやすい法体系
- 医療現場における臨床試験実施体制や手続き等に関する規制のシンプル化
- Single IRBの原則化
- (DCT の推進)

ヒアリングで提出された意見(2)

- 症例集積性の向上
- 臨床研究DXの活用
- RWDの利活用: 特に改良改善を主とする医療機器開発において
- 臨床研究・治験コストの透明性の向上 FMV
- 研究人材の育成・インセンティブ:
 - 研究支援人材: キャリアパスにつながるシステムの導入
 - 国際化に向けたPhD としての育成
- ドラッグロスへの対応
- 臨床研究中核病院の意義

製薬協からの意見

- ✓ **グローバルに通用する高い実施能力**
 - ・ 専門性が発揮できるネットワーク（NW）機能
 - ・ 研究者等の人材育成、研究人材へのインセンティブ・キャリアパス
 - ・ **英語資料の受け入れ・共通言語化**
- ✓ **症例集積向上、合理的な実施体制、多様なデータの活用**
 - ・ 国内NWを束ね、海外NW連携のワンストップ機能
 - ・ **ICH E6(R3)を踏まえた取組**
 - ・ **国内で広く活用できるDCT（特にパートナー機関）**
 - ・ **カルテ情報の電子化と治験データへの効率的な連携**
 - ・ RWD/RWEの活用
 - ・ 国民・患者の理解や参画促進
- ✓ **手続きの簡略化/国内標準化**
 - ・ シングルIRB促進
 - ・ 手続きのデジタル化の推進
 - ・ 透明性が高く、変化に柔軟に対応できるコスト形態の検討
 - ・ ICF・契約書等の標準化
- ✓ **生産性最大化を目指した成果視点の技術進化対応**
 - ・ **AI/マシーンラーニングの活用・応用**

どうなる？

どうする？

- どうする？ — その1

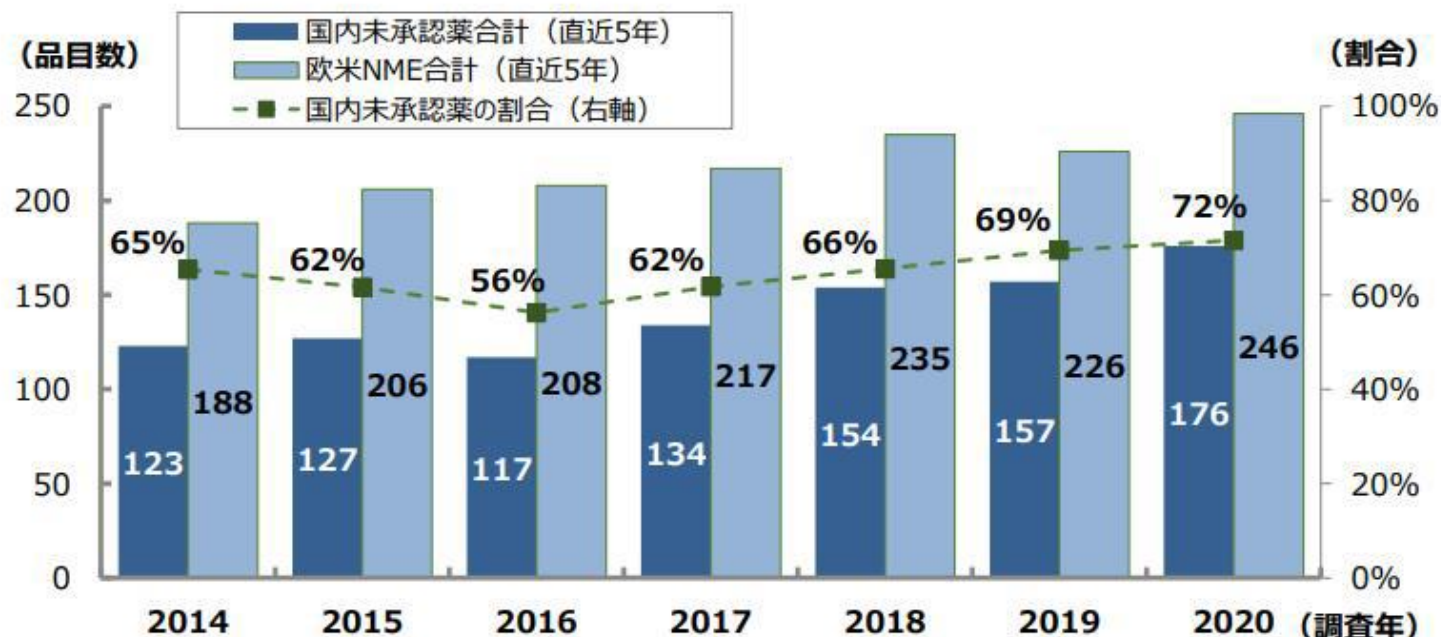
- 現状の問題点の把握と対策
- ドラッグラグ、ドラッグロスの解消

- どうなる？

現状の問題点

- ✓ **グローバルに通用する高い実施能力**
 - ・ 専門性が発揮できるネットワーク（NW）機能
 - ・ 研究者等の人材育成、研究人材へのインセンティブ・キャリアパス
 - ・ **英語資料の受け入れ・共通言語化**
- ✓ **症例集積向上、合理的な実施体制、多様なデータの活用**
 - ・ 国内NWを束ね、海外NW連携のワンストップ機能
 - ・ **ICH E6(R3)を踏まえた取組**
 - ・ **国内で広く活用できるDCT（特にパートナー機関）**
 - ・ **カルテ情報の電子化と治験データへの効率的な連携**
 - ・ RWD/RWEの活用
 - ・ 国民・患者の理解や参画促進
- ✓ **手続きの簡略化/国内標準化**
 - ・ シングルIRB促進
 - ・ 手続きのデジタル化の推進
 - ・ 透明性が高く、変化に柔軟に対応できるコスト形態の検討
 - ・ ICF・契約書等の標準化
- ✓ **生産性最大化を目指した成果視点の技術進化対応**
 - ・ **AI/マシーンラーニングの活用・応用**

国内未承認薬の増加



	2016年		2020年
国内未承認薬合計	117品目	➡	176品目
国内未承認薬の割合	56%		72%

注1：各年の品目数は調査時点における直近5年の国内未承認薬数

注2：国内未承認薬の割合 = 国内未承認薬合計（直近5年）／欧米NME合計（直近5年）

出所：PMDA, FDA, EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

出典：医薬産業政策研究所「ドラッグ・ラグ：国内未承認薬の状況とその特徴」政策研ニュース No.63（2021年07月）

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

2023年6月9日 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた
総合対策に関する有識者検討会 報告書 参考資料

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（60.1%）**あり、そもそも**承認申請がなされない（＝企業が開発しない）**という**ドラッグラグ・ロスが発生している**と指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、**ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きい**ことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86 (品目)

内訳→

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
56 % (48品目)	47 % (40品目)	37 % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までには受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

ドラッグロス解消に向けた取組について

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。

学会・患者会等からの
未承認薬・適応外薬の要望

国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

従来のルート

新規ルート

※厚生労働科学特別研究事業において、医薬品のデータ整理、
関連学会へヒアリング調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施予定

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（医療上の必要性を判断）

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、
PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請

国内未承認薬(ドラッグロス品目)の詳細について

- 2023年3月時点のドラッグロス品目(国内開発情報無し)※に関する薬効分類(ATC分類)と適応症
- 各品目の詳細情報は次頁以降参照

ATC分類	適応症	ATC分類	適応症
全身性抗感染薬 (18品目)	尿路感染症, CABP, ABSSSI, 腹腔内感染症, 多剤耐性結核, 尋常性ざ瘡 ザイルエボウイルス, HCV, 代償性肝硬変 天然痘, HIV-1, 炭疽	血液及び 造血器官用剤 (5品目)	鎌状赤血球症, 血管閉塞軽減, 鉄欠乏症 非経口栄養関連胆汁うっ滞, 静脈血栓塞栓症
消化管及び代謝用 剤 (11品目)	糖尿病(1型, 2型), POMCによる肥満症 α-マンノシドーシス, 慢性特発性便秘, IBS 原発性高シュウ酸尿症1型 長鎖脂肪酸酸化障害 旅行者下痢, カルチノイド症候群下痢	筋骨格筋用剤 (3品目)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー, 高尿酸血症,
神経系用剤 (10品目)	統合失調症, 片頭痛, 急性疼痛 悪心・嘔吐, 産後うつ病 (PPD) 閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSA) レノックス・ガトー症候群, Dravet症候 群 オピオイド離脱症状緩和薬, パーキンソン病 ハンチントン病, 遅発性ジスキネジア	皮膚科用剤 (2品目)	尋常性ざ瘡
抗悪性腫瘍剤 (8品目)	乳がん(HER2+, TN), ALL, GIST 前立腺がん, 有毛細胞白血 病神経芽細胞腫	呼吸器用剤 (3品目)	嚢胞性線維症, COPD
抗寄生虫薬、殺 虫剤及び防虫 剤 (8品目)	シャーガス病, マラリア, オンコセルカ症 トキモリ内臓炎情報無し6品目	免疫調節剤 (2品目)	多発性硬化症, 腎臓移植に伴う脱感作
	2023年3月時点の国内開発情報無し6品目のうち、診断薬等1品目を除く75品目	循環器用剤 (2品目)	家族性高カイロミクロン血症症候群 (FCS)敗血症患者への血管収縮剤
		全身性ホルモ ン剤；性ホル モン剤除く (2 品 目)	子宮内膜症性疼痛, デュシェンヌ型筋ジストロフィー
		感覚器用剤 (1品目)	ドライアイ

全身性抗感染症薬(18品目: 1/2)

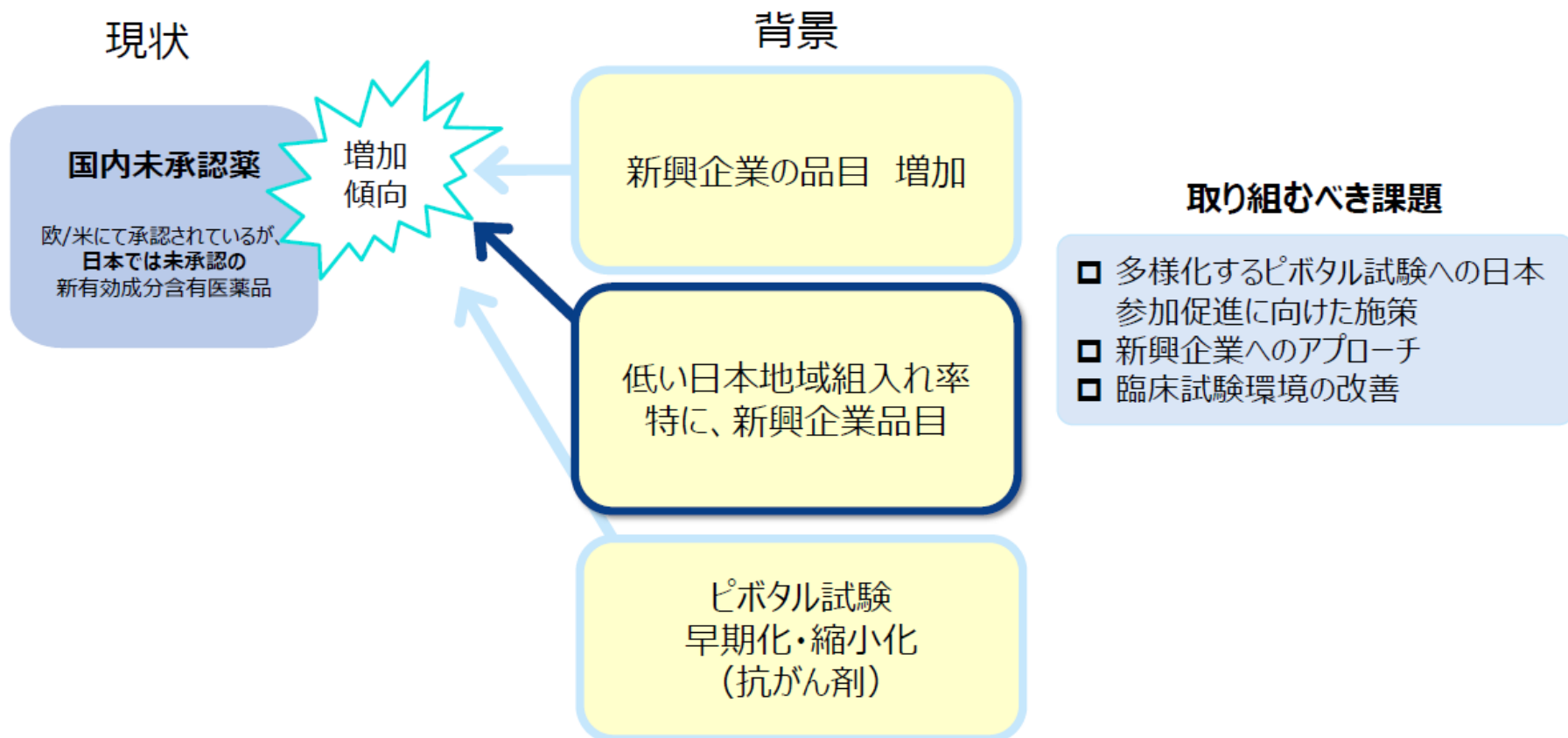
米 国 製 品 名	米 国 FDA 又 は EMA 申 請 企 業	ベン チャー	米 国 承 認 年	米 国 又 は 欧 州 で の 適 応 疾 患	米 国 の 薬 事 特 例 指 定 *	欧 州 承 認 年	欧 州 の 薬 事 特 例 指 定 *	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
EBANGA	RIDGEBACK BIOTHERAPEU TICS	○	2020	ザイルエボラウイルスによる感染	BT、OR	情報無し	—	ザイルエボラウイルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に本剤の強力に推奨
INMAZEB	REGENERON PHARMACEUTICALS		2020	ザイルエボラウイルスによる感染	BT、OR	情報無し	—	ザイルエボラウイルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に本剤の強力に推奨
HEPCLUDEX	MYR GmbH	○	申請中	慢性D型肝炎ウイルス(HDV)感染	—	2021	AA、PR、OR	ウイルスタンパク質阻害剤	無	無		○	
RUKOBIA	VIIV HLTHCARE	○	2020	HIV-1 感染症	FT、BT	2021	—	T細胞表面抗原CD4阻害剤	有(但し核酸系逆転写酵素阻害剤、非核酸系逆転写酵素阻害剤、プロテアーゼ阻害剤等を組み合わせた治療が標準)	無			海外GLでは新薬であり、現時点では初期治療に推奨されていない
XENLETA	NABRIVA	○	2019	細菌性肺炎	FT	2020	—	タンパク合成阻害作用	無	無			国内GLでは市中肺炎に対して他薬剤有
PRETOMANID	MYLAN IRELAND		2019	多剤耐性結核	FT	2020	—	ミコール酸合成阻害作用	有	無		○	米国CDC、WHOのGLでは推奨
NUZYRA	PARATEK PHARMS	○	2018	急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症(ABSSSI)	FT	Phase III	—	細菌30Sリボソーム蛋白阻害剤	無	無			国内GLでは市中肺炎に対して他薬剤有
SEYSARA	ALLERGAN		2018	尋常性ざ瘡	—	情報無し	—	細菌70Sリボソーム阻害剤	有	有	○		米国GLでは第一選択薬の1つ
DELSTRIGO	MERCK SHARP AND DOHME		2018	HIV-1 感染症	—	2018	—	非ヌクレオシド系HIV逆転写酵素阻害作用/ヌクレオシド系HIV逆転写酵素阻害作用(2剤)	有	有	○		

注記(各資料共通)

**

*** BT: Breakthrough Therapy、FT: Fast Track、PR: PRIME、AA: Accelerated Assessment、OR: オーフアン類似薬選定のための薬剤分類(改訂第13版)に基づき、薬剤分類や承認済適応症を考慮し判断(日薬連薬価研、製薬協調会) Evaluateの薬理分類に基づく

未承認薬の解析からみた現状と課題認識



ドラッグラグからドラッグロスへ

日本のマーケットとしての魅力低下

日本では治験が
実施されない

Japan Passing

日本への投資優先度低下

ベンチャー企業による医薬品開発が先行

大手製薬企業にバトンタッチされても国際試験には出遅れ

- どうする？

- どうなる？ — その1

- この5年間で出現したもの
遠隔診療・DCT
医療DX、臨床研究DX、治験DX
Quality Management, RBA
- これから
ICH E6(R3)
- ?

どうなる？ — その2

- モダリティーの多様化
 - 医薬品、医療機器、再生医療製品
 - 遺伝子治療、SaMD（プログラム、AI）
 - 統合医療、マインドフルネス

DDS

- 創薬手法の多様化
 - ゲノム創薬
 - in-silico創薬、AI創薬
 - ベンチャー企業、ガレッジビジネス、

どうする？ — その2

新しい診断・治療・予防手段の開発

- シーズの探索：モダリティーの多様化
- 患者の把握：レジストリー、パネル、RWD
- 臨床試験の実施
 - PI、Physician Scientist
 - 資金
 - 臨床研究実施体制
 - 支援人材
 - 事務局
 - IRB
 - 規制

日本国内で一定の需要が見込まれる医薬品

- 患者数が一定数以上存在する疾患を対象とした薬剤
 - 慢性疾患や特定の希少疾患でも患者数が安定している
- 現状の治療法に満足できない患者が多い疾患
- 治療の選択肢が限られている、または既存治療が十分な効果を上げられない疾患
- 海外で効果が証明されている画期的な治療薬



ご清聴ありがとうございました