

KEYWORD >>>

ファースト・イン・ヒューマン試験

実施体制の整備

世界初の一步を日本から—新薬開発の未来を拓く試験

新薬開発の世界で「ファースト・イン・ヒューマン(First-in-Human :FIH)試験」というキーワードが非常に注目されています。世界で誰も試したことのない新薬候補を、初めて人に投与する重要な試験。その実施体制の整備が、日本の医薬品開発の未来を変える可能性を秘めています。今回は、このキーワードについてご紹介します。



私が解説します



医薬品評価委員会 委員長
中路 茂さん
NAKAJI SHIGERU

医薬品開発の第一歩、 FIH試験とは

日本の医薬品開発において「ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス」は長年の課題として認識されてきました。新薬の承認が欧米に比べて遅れるこの問題は、近年では審査期間の影響ではなく、日本での臨床開発の着手時期が欧米と比べ遅れる「開発ラグ」や、そもそも開発が行われていない「開発ロス」が主要な要因となっています。このような「開発ラグ/ロス」の重要な転換点となるのが、

FIH試験です。医薬品候補を世界で初めてヒトに投与するこの試験が海外で実施されると、その後の国際共同試験において日本の参画が後手に回り、結果として承認の遅れにつながります。実際、現在の日本における臨床試験の大半は、すでに海外で安全性が確認された薬剤を日本人に初めて投与する「First-in-Japanese試験」となっています。

FIH試験は、基礎研究から臨床開発への重要な架け橋です。研究室で生まれた新薬候補について、ヒトでの安全性と忍容

性を慎重に確認し、体内での動き（薬物動態：PK）や薬の作用（薬力学：PD）を詳細に評価します。試験計画の立案には、それまでの非臨床試験から得られた知見、安全性の指標となる毒性所見と無毒性量（NOAEL）の情報が不可欠です。

特に革新的な治療法として期待される抗がん剤の開発では、FIH試験の重要性がよりいっそう高まります。強い副作用や遺伝毒性への配慮から、FIH試験が、健康な志願者ではなくがん患者さんを対象とし、腫瘍への直接投与等、高度な専門

国際水準の臨床試験実施体制

2024年度夏	2024年度末	2025年度	2026-2028年度	KPI(成果指標)
[ファースト・イン・ヒューマン(FIH)試験実施体制の整備]				
GMP準拠の治験薬製造施設、研究施設を併設するFIH試験実施施設の整備の検討	予算要求・予算編成 GMP準拠の治験薬製造施設、研究施設を併設するFIH試験実施施設の整備	治験薬製造施設・研究施設を併設するFIH試験実施施設の整備		整備した施設における国内FIH試験実施件数 10件(R10) 0件(R5)
FIH試験実施施設で従事する人材の育成強化の検討(医師・CRC等)	予算要求・予算編成 国際共同FIH試験を実施する医師、看護師等の他、事務スタッフを含む人材の育成	研修プログラムの策定・実施	研修プログラム実施 FIH試験実施施設を活用した人材育成	研修プログラム受講者の勤務施設数 20施設(R10) 0施設(R5)
FIH試験実施に向けた支援を充実するため、橋渡し研究支援機関の活用・強化		強みを生かした機能強化のための予算要求		過去3年度平均以上の支援シーズ数 1365件(R3~R5平均)

「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より抜粋

性を要する投与方法の検討も実施します。さらに、治療効果が期待できる患者さんについては、慎重なモニタリングのもと、継続的な投与を行います。

世界標準の試験環境を日本でも！ 動き出した国家プロジェクト

日本はこれまでも世界で数少ない新薬を創出できる国であり、医薬品産業は日本の科学技術力を活かせる重要な成長産業です。しかし、希少疾患や小児用医薬品を中心に、革新的な治療薬の開発・承認の遅れや開発が行われないことが生じている現状があります。

この課題を解決するため、2024年7月に創薬エコシステムサミットが開催され、医薬品産業を国の基幹産業として位置付け、創薬力向上に向けた包括的な環境整備に取り組むこととなりました。特に重要なのは、国際水準の臨床試験実施体制の確立です。政府は「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」において、2028年までの具体的な成果指標（KPI）を設定しています。国内でのFIH試験10件実施、国際共同FIH試験の研修受講施設20施設という明確な目標を掲げ、GMP準拠の治験薬製造施設や研究施設を併設したFIH試験実施施設の整備、専門人材の育成強化も進めていきます。

夢の新薬を、 いち早く患者さんのもとへ

これまでは、多くの新規モダリティ等のFIH試験は欧米等の海外で実施されています。そこで、日本での実施を増やすためには、まずは医療機関を中心とした実施体制の整備が必要であり、それらが日本の大きな課題となっています。

具体的には以下が重要です。

- ▶ 新規モダリティ・抗がん剤等の国際的なFIH試験を実施、リードする人材育成(医師、スタッフ等)
- ▶ 細胞・遺伝子治療等の試験実施可能なGMP準拠の治験薬製造施設の併設、研究施設確保
- ▶ FIH試験を実施するうえでのトランスレーショナルサイエンス(非臨床から臨床への外挿、安全性評価等)の強化、より慎重な被験者安全性確保への対応
- ▶ 試験の立ち上げ(Study Initiation)スピードと症例の集積性の向上
- ▶ 国際基準を満たす試験実施プロセス(治験エコシステム)の強化と治験コストの適正化

また国内でFIH試験が実施されるようになることで以下のようなメリットも期待されます。

- ▶ 新薬の初期臨床評価におけるノウハウの蓄積、特に安全性、バイオマーカー、PK/PD評価等
- ▶ 開発最初期から参画することによる、治験各相での日本人データの集積数増加
- ▶ ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス減少による、日本人の新薬アクセシビリティの増大
- ▶ 国内スタートアップ企業等の研究開発活動の活性化

2023年よりさまざまな会議体で、ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス問題を含めて、創薬力の強化に向けた議論が、産学官患で活発に行われてきました。FIH試験は研究段階の創薬シーズから臨床評価段階に入る最初の試験であり、特に新しい機序をもつ新規モダリティでは豊富な医学的知識と経験が必要であると同時に、より慎重な観察が要

求されます。今後、日本での新規モダリティでのFIH試験が増加すれば、その後の国際共同試験も継続参加することになり、ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの改善や創薬力向上につながることを期待できます。

近年、多くの製薬企業では、日本にこだわらず国際的な開発を通して世界の患者さんに新薬を提供することがミッションとなっています。国際的な臨床開発促進に日本のFIH試験が貢献する仕組みとなり、その成果が表れることが期待されています。そのため、継続した産学官患の議論と協働が必要であり、各疾患領域において世界をリードできる、もしくは同等な専門家、専門施設・体制作りが望まれています。

「創薬エコシステムサミット」
についてはこちらを参照

