

次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の 策定に向けた提案

**次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の
策定に向けた提案**

内容

はじめに	1
1 製薬業界を取り巻く環境、業界の課題認識	3
1.1 医薬品市場・事業環境	3
1.2 医薬品研究開発環境	3
1.3 データヘルス時代への対応	4
1.4 製薬企業・その他のライフサイエンス企業における日本の位置付け	5
1.5 日本の政策と産業界の関わり	5
2 業界が目指す方向性・求められる変革	6
2.1 革新的な医薬品創出	6
2.2 最新テクノロジーを活用した創薬・オペレーションの実現	6
2.3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステム構築に向けた体制の構築・推進 （オープンイノベーションの更なる推進）	6
2.4 「治療」×「医薬品」の枠を超えた価値提供	7
2.5 コスト構造の最適化	7
2.6 上記実現に向けた「官」との積極的な協働	7
3 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための提案	8
3.1 「医療分野研究開発推進計画」で強化頂きたい 3 つの課題	8
3.1.1 予防・先制医療ソリューションの早期実現化	9
3.1.2 健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用	14
3.1.3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築	20
3.2 AMED の機能強化に関する提案	27
3.3 薬事、知的財産関連施策等の推進	30

は じ め に

先進国における高齢化の進展や財政の悪化、ゲノム医療や AI をはじめとする新たなテクノロジーの台頭、患者や国民の健康及び医療に対するニーズの多様化、アカデミアから規制当局まで多様なプレーヤーが有機的に連携する「エコシステム型創薬モデル」の普及など、医薬・医療イノベーションを取り巻く環境は大きく変化している。

国内医薬品市場においては、医療費抑制策の実施により市場の成長が抑制されたことで、医薬・医療イノベーション創出地及び事業拠点いずれの観点からも世界における日本の地位が相対的に低下し、エコシステムが高度に形成される世界的バイオクラスタに資本・プレーヤーが集中する傾向が伺われる。

斯かる状況を放置すれば、日本のヘルスケア産業の国際競争力の低下のみならず、国民に対する最新の医療・医薬品提供の遅れや医療の質の低下を招き、それが健康への悪影響、更なる社会保障費増加、経済圧迫をもたらす悪循環に陥ることが懸念される。

製薬協では、2016 年に「製薬協 産業ビジョン 2025」を策定し、創薬イノベーションを世界中の人々に届けるという将来像を描き、それを実現するための方向性を示してきた。その実現に向け、製薬業界としては、これまでの個社ベースでの取り組みを超えて、業界内での積極的な協業を推進し、且つ政府やアカデミアと協力して、医薬・医療イノベーションを継続的に創出したいと考えている。その結果、国民の健康寿命の延伸が実現し、社会保障費の軽減・労働人口の増加につながり、ひいては財政の改善とともに経済成長を可能にし、新たなイノベーションが産み出されサイエンスが発展するという好循環が生まれると期待される。

その端緒とすべく、まずは本資料を通じ、製薬業界が捉えている現状認識の共有、それに対して業界が取り組む自己変革、さらには国を挙げて取り組むべきと考えるテーマを提案したい。

1 製薬業界を取り巻く環境、業界の課題認識

製薬業界が医薬・医療イノベーションの創出を通じ健康寿命の延伸、日本経済・サイエンスの発展に貢献し続けるためには、急速な社会・環境の変化や新しいテクノロジーの進歩に積極的に対応していく必要がある。まずは業界を取り巻く環境及び業界の課題認識について整理した。

1.1 医薬品市場・事業環境

世界の医療用医薬品市場は約 1 兆 1 千億ドルで、直近 5 年間（2013～2017 年）で約 15%増加し、今後も年 6%程度の市場成長が予想されている。一方、日本の医療用医薬品市場は、直近 5 年間（2013～2017 年）で約 7%の増加に留まり、昨年度は薬価改定の無い年で初のマイナス成長となるなど、世界における日本市場のシェアは相対的に低下しており、日本市場に高く依存したままでは持続的に事業を成長させることが厳しい環境となっている。そのような環境下、日本に拠点を置く製薬企業も海外事業を拡大するようになり、海外売上高が国内売上高を超える企業も出てきた。しかし、未だ日本企業の売上高は世界市場の 6～9%とプレゼンスが低い状況にある。

医薬品事業の利益率は他の産業と比較して高い水準で推移してきたが、後発品使用の強力な推進や薬価制度改革により、国内新薬ビジネスの事業性は著しく低下している。人員規模縮小等のコスト削減や海外事業での収益により総合的な利益は確保しているものの、積極的な研究開発投資の継続の結果、国内事業としては赤字が危惧される企業も出始めている。

1.2 医薬品研究開発環境

革新的な医薬品を創出するため、研究開発に多額な投資が必要になっている。Tufts 大学の研究（Journal of Health Economics, 47:20-33（2016））によれば、1 つの医薬品を創出するために必要な研究開発費は、10 年前に比べ約 2.5 倍に増加し、約 25 億ドル以上に膨らんでいると試算されている。この背景には創薬標的の複雑化、科学技術の高度化・多様化、新たなモダリティ開発など、新薬創出の難易度・コストの上昇が挙げられ、医薬品の研究開発競争の厳しさが増している。

近年、バイオ医薬品が世界の医薬品売上の 1/3 を占めるようになってきているが、特に抗体医薬への取り組みにおいて国内製薬企業の多くは完全に出遅れ、世界に水を開けられた。研究開発競争の遅れを埋めるためには、改変抗体、細胞、核酸、遺伝子、中分子等の新しいモダリティに対して、基礎・応用研究と併せて、製造プロセス開発、製造基盤や製造施設の整備、人材育成、知財環境の整備、レギュラトリーサイエンスの発展、ベンチャー活性化など、創薬エコシステムを強化して産学官が一体となって総合的に取り組んでいく必要がある。

1.3 データヘルス時代への対応

現在、ゲノム情報とバイオマーカー等を用いた診断により、患者個々に最適な治療法を設定する個別化医療や先制医療等が進みつつある。ゲノム・オミックス解析の研究と診断技術の発展により、発症した疾患の診断だけでなく、発症前に高い確率で疾患の予測・早期診断ができるようになることが予想される。健康寿命の延伸の観点からも、これまでの治療に向けた医薬品の研究開発に留まらず、予防・先制医療ソリューションの提供といった新たなヘルスケア分野への取り組みが重要である。そのためには、IT企業や医療機器メーカーなど製薬企業以外との連携が欠かせないが、その取り組みは進んでおらず、早急に他業種を巻き込んだ連携が可能な仕組み作りが不可欠である。

技術革新による創薬アプローチの変革も始まっており、低・中分子、バイオ医薬品、再生医療・遺伝子治療の研究開発技術を基盤とした「テクノロジードリブン」に加え、ゲノム・オミックス情報、病態情報、ライフコースデータなどの健康医療ビッグデータ、AI等の利活用による「データドリブン」との融合による革新的な医薬品、製品の開発が期待されている（図1）。日本においてもAIを活用した創薬への取り組みが始まっているが、AI技術への投資は欧米に比べて見劣りしており、活用するデータの整備や製薬企業の取り組みも遅れている。国民皆保険に基づく高度な医療から生み出される質の高いデータの確保及び活用に向けた環境整備と創薬力との融合で、世界に伍していけるよう多面的な取り組みが求められる。

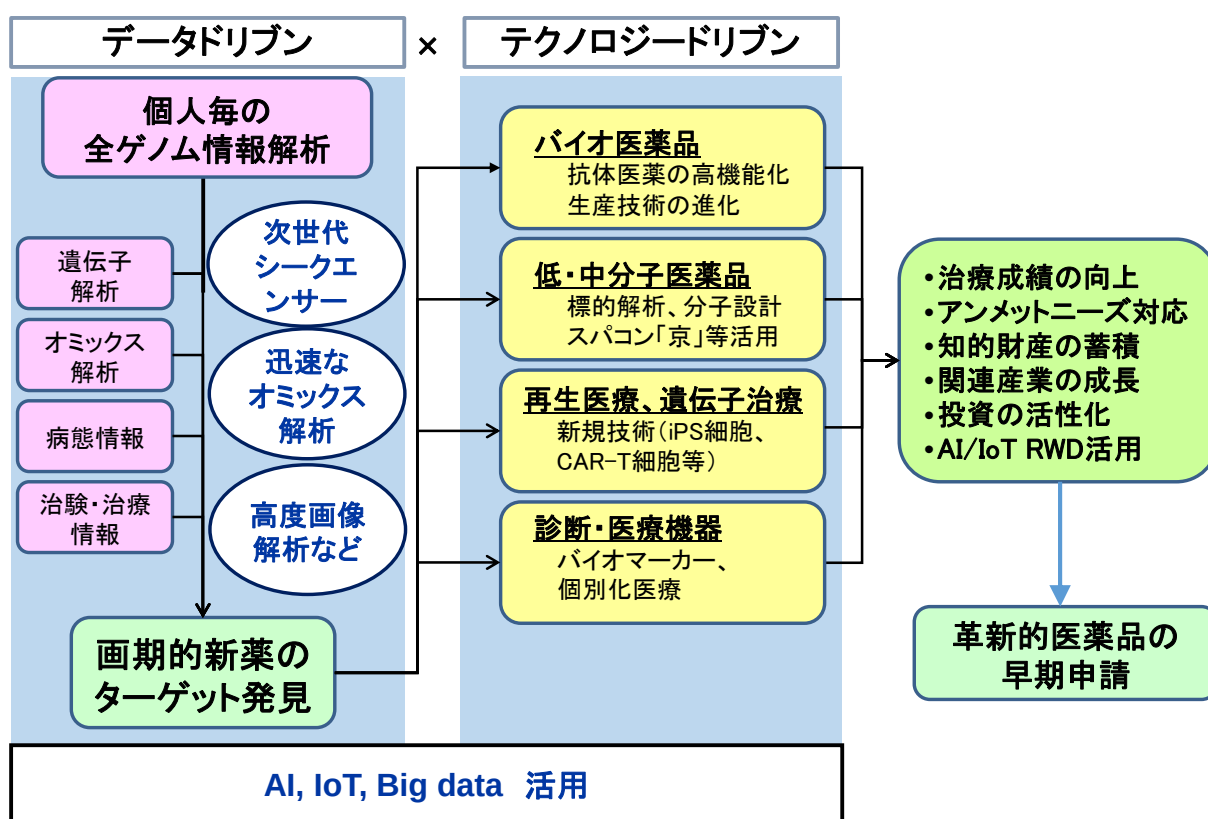


図1 「テクノロジードリブン」 × 「データドリブン」 による創薬のパラダイムシフト

1.4 製薬企業・その他のライフサイエンス企業における日本の位置付け

新薬の上市順位をみると、米国先行上市が主流であり、日本の患者にいち早く新薬を届ける状況には至っていない。その理由の一つとして開発環境の整備状況や、薬価制度を含めた市場環境がある。日本の創薬環境は欧米と比較して相対的に見劣りしており、創薬人材、最先端の科学技術の創出体制及び健康医療情報や患者アクセス等が総合的に整っている欧米に研究拠点を移転する例もある。製薬企業以外のライフサイエンス企業においても、同様に欧米での研究開発・上市を検討している例が多い状況である。

一方で、再生医療ベンチャー等においては、再生医療に関する最先端技術の進展や薬事制度の整備状況を反映し、米国から日本に拠点を移した例もあり、エコシステム構築の重要性を示している。日本のアカデミアから創出される成果に対する期待は一定程度あり、内資のみならず外資の製薬企業でも共同研究や委託研究を公募する取り組みは継続されている。また、国民皆保険に基づく高度な医療から生み出される質の高い健康医療情報に対する期待は大きい。

今後、日本発の革新的な医薬品を世界の人々にいち早く届けるためには、科学技術や知的財産に立脚し、グローバルでの競争力を有する医薬・医療イノベーション創出環境の構築が急務である。

1.5 日本の政策と産業界の関わり

これまでに、政府の主導により AMED が設立され、創薬支援ネットワークの整備、GAPFREE 及び CiCLE 事業の実施、バイオリジクス研究・トレーニングセンター(BCRET)の設立等、企業ニーズに合致した AMED 事業が数多く推進されてきた。特に、アカデミア発の創薬シーズ創出に道を開いた創薬支援ネットワークや、企業ニーズに基づいた産学連携を促進する GAPFREE 事業、長期に亘る産学連携を後押しする CiCLE 事業が開始されたことは、日本の独自性もあり特筆に値する。しかしながら、AMED の予算規模、司令塔機能としての推進力等に関しては課題が残ると認識している。また、産業化を見据えた研究支援を行うために必要な業界との連携については更なる深化が期待される。

一方、製薬業界においては、意見の取り纏め・発信機能が弱く、タイムリーな働きかけや主体的な参画が十分ではなく、この点が AMED との連携不足の要因にもなってきた。また、産産連携が非競争領域の一部の限定的なものに留まっており、多数の企業による産産連携に基づく大規模な産学官連携への取り組みが不足している。今後、業界は、資金・リソース・アセットの供出を含め、自らが積極的に協働を働きかける意識の徹底が必要である。

次期「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」が、産業の競争力強化によりつながるような戦略となることを期待する。

2 業界が目指す方向性・求められる変革

前章で示した状況においても、これまでの個社・業界中心での活動から大きく舵を切り、業界内での積極的な協業に加え、他業界との協業、政府・地方自治体やアカデミアと一体での取り組みにより、国民や社会全体への貢献を大きく高めたい。

そのために、以下に掲げる業界自身の自己変革へ速やかに取り掛かり、次章で示す「日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための提案」に取り組みたい。

2.1 革新的な医薬品創出

これまで患者や医療現場からの要望にきめ細かく対応すべく、既存薬の改善・改良や情報提供にも注力してきたが、研究開発の生産性向上や医療保険財政の改善に寄与すべく、今後は革新的な医薬品創出への注力をより高める。

具体的には、既存の治療が十分でない疾患に対する医療的価値に留まらず、社会的価値などの多面的な観点において高い価値を有する革新的な医薬品、中でも層別化された患者に対して高い奏効率や安全性を示すプレシジョンメディシン（精密医療）型の創薬を推進する。

2.2 最新テクノロジーを活用した創薬・オペレーションの実現

健康医療に関連するビッグデータや AI を、創薬をはじめとする製薬企業の各種業務に適用することで、圧倒的に効率的なオペレーションによる生産性の向上を実現し、世界をリードするデータ駆動型の研究開発体制を構築したい。

そのためにも、これまで十分積極的であったと言い難い、医療情報利活用への提案や、製薬業界間のデータシェアリング、最先端の AI 研究開発に取り組むアカデミアやベンチャーとの協働に取り組みたい。

2.3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステム構築に向けた体制の構築・推進（オープンイノベーションの更なる推進）

近年アカデミアとの連携や企業間の連携によるオープンイノベーションを進めてきたが、前節、前々節で述べた姿を実現すべく、個々のプレイヤー間での限定的なオープンイノベーションではなく、より多様なプレイヤーと有機的、相互補完的、複合的に連携する「エコシステム」を前提とした創薬モデルを推進する。

また、これまでは国内エコシステム不足分は、海外への進出等により補ってきたが、今後は国内エコシステムの強化にも積極的に取り組み、その一環として、製薬企業が資金やファシリティ、人材の提供によりアカデミアやベンチャーの活動を支える「プラットフォーム」となることも目指したい。

2.4 「治療」×「医薬品」の枠を超えた価値提供

多様化する健康医療へのニーズに対し、これまで柱としてきた医療用医薬品の枠を超え、幅広い健康医療ソリューションの開発、提供に取り組む。

特に、健康寿命の延伸や社会コストの低減に直結する予防・先制医療に対しては、ソリューションの開発につながる疾患メカニズムの解明から、規制や給付のあり方まで幅広く関与、貢献したいと考えている。

2.5 コスト構造の最適化

前節までの医薬・医療イノベーション創出に関する取り組みに加え、自身の収益性改善とより低コストでの医薬品・ソリューション提供を目指し、各企業がコスト構造の最適化を図る。

2.6 上記実現に向けた「官」との積極的な協働

製薬業界が自己変革を行いつつ、個別企業や製薬業界だけの力では実現不可能な取り組みについて、これまでやや受け身や単発になりがちであった行政との連携をより強めたい。

そのためには製薬業界自身が協働に値する存在になることが必須であり、特に窓口となる業界団体の機能・連携強化により、製薬業界としてのワンボイスを適時に発信することや、様々な情報・知見を主体的に発信することが必要と考えている。

3 日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするための提案

本章では、前章までの内容を踏まえ、日本を世界最先端のヘルスケアイノベーション創出国とするため、製薬業界として官学と連携しながら進めていきたいこと、及び「健康・医療戦略」や「医療分野研究開発推進計画」を通して政府に主導して頂きたいことについて提案したい。

3.1 「医療分野研究開発推進計画」で強化頂きたい3つの課題

製薬業界が革新的な医薬・医療イノベーション創出に継続的に貢献していくために、「医療分野研究開発推進計画」においてより強化して欲しい3つの課題について提案する。1つ目は製薬企業の従来の柱である治療のための医薬品の枠を超えた幅広い健康医療ソリューションとして「予防・先制医療ソリューションの早期実現化」、2つ目は創薬、予防・先制医療を進展させるための新たな基盤・テクノロジーである「健康医療ビッグデータ及びAIの構築・活用」、3つ目はそれらを実現するための「ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築」である。

健康寿命の延伸を実現するためには、疾患発症後の治療だけでなく、予防・先制医療の取り組みが重要である。それを実現するには、まず疾患の発症や重症化のメカニズムを解明し、予防・先制医療ソリューションの研究開発を行う必要があるが、そのためには健康医療ビッグデータやAIといった革新的基盤や、産学官のステークホルダーが強く連携したヘルスケアイノベーションを創出するエコシステムの構築が重要である。このように、3つの課題は独立したものではなく相互に関連性がある。そのため、後述する提案については3課題で重複する部分がある。

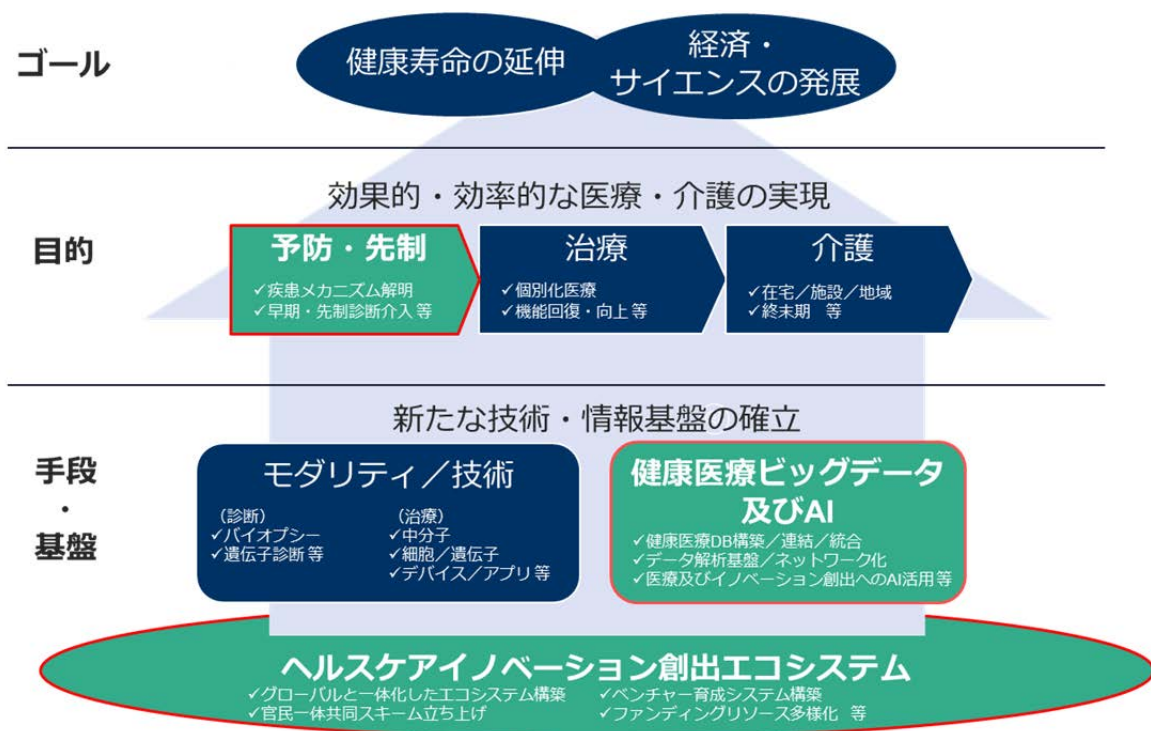


図2 3つの課題の位置づけ

3.1.1 予防・先制医療ソリューションの早期実現化

健康寿命の延伸のため、疾患の発症前あるいは発症早期の段階で、発症予測・早期診断し、予防・早期介入すること（予防・先制医療）が重要である。これまで、予防に対して行政として具体的に介入していることの1つにワクチン事業があるが、地球規模での人の移動に伴うパンデミックや、地球温暖化によるこれまで日本では少なかった感染症への対応等を踏まえた技術開発、定期接種の推奨、国民への啓発やヘルスリテラシーの向上も重要な課題である。

さらに、もう少し広い視点で予防・先制医療を捉えると、認知症や生活習慣病などの疾患の進行抑制や重症化予防についても、今後さらに産学官が一体となって取り組むべきであり、ライフステージに合った医療を提供する体制を整備することが重要である。このような予防・先制医療の社会実装を実現するためには、図3に示すように、①国民のヘルスリテラシー向上のもと、②ライフコースデータを取得する基盤を整備し、③疾患病態・進行メカニズムを解析したうえで、④診断・介入手段を開発する必要がある。そのためには、⑤レギュラトリーサイエンスの推進や海外展開を見据えた国際協調、⑥給付のあり方の検討といった総合的な対策が必要となる。特に②・⑤・⑥については、官主導での検討を期待したい。

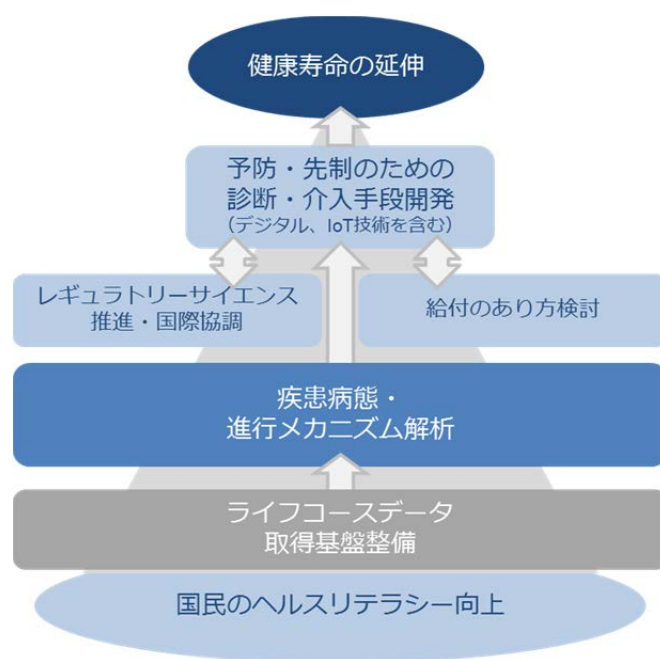


図3 予防・先制医療の実現に向けたアプローチ概念図

上記6つの対策のうち、特に重要となるのは②のライフコースデータ取得基盤整備であり、個々人のライフコースデータを収集・統合して解析することが必要である。しかし、「3.1.2 健康医療ビッグデータ及びAIの開発・活用」でも触れるが、現時点では医療等分野における識別子が導入されておらず、データが整備され、それを第三者が解析・研究（例えば製薬企業がデータを創薬研究に利活用）できるような環境整備には課題が多く、実現にはまだ時間を要する。

一方、予防・先制医療につながる取り組みとして、「東北メディカル・メガバンク（東北MMB）」を代表例とする、一定程度の規模の健常人のコホートを構築し、ゲノム・

健診情報等を取得し、追跡調査する「前向きコホート研究」が進んでいる。また、国立高度専門医療研究センター（NC）や全国の大学においてヒトの臨床検体の利活用を目的としたバイオバンクが存在している。こういったコホート研究やバイオバンクのデータを利活用することを先行して進め、疾患の発症予防や進行予防に資する研究を行うことも重要と考えられる。

ここでは具体的な取り組みとして「コホート研究の推進」、「疾患別情報統合データベースの構築」を提案する。

3.1.1.1 コホート研究の推進

3.1.1.1.1 東北メディカル・メガバンク（東北 MMB）機構と連携した前向きゲノムコホート研究の推進

1) 背景

前向きコホート研究は、複数の遺伝要因と環境要因が引き起こす疾患の発症・重症メカニズムの解明、予防（特に個別化予防）・先制医療の実現には必須であり、特に他国に先んじて高齢化が進む日本において、社会的意義のある取り組みである。健常人を対象とした前向きコホート研究としては、東北 MMB の前向きゲノムコホート研究が代表格である。東北 MMB は、健康な住民（地域住民コホート：約 8 万人、三世代コホート：約 7 万人）から身長・体重・血圧・病歴等の情報や血液データを収集し、ゲノム解析データも含め各種オミックス情報を合わせてデータベース化する「複合バイオバンク」である。長期間に亘り追跡する計画であり、年月を追うごとに個人の疾患の発症、重症化のプロセスを追跡することができる。さらには、収集したデータを製薬業界等の産業界の研究開発に使えるように同意が取得されていることから、予防・先制医療ソリューションの実用化に資する取り組みとして業界の期待は大きい。東北 MMB 等前向きコホート研究は何年にも亘る追跡調査を行うことによって価値が高まるプロジェクトであり、国の長期に亘る継続的な資金の手当てが必要である。産業界も積極的にデータを利活用するとともに、個社あるいは複数社の特定の目的・ニーズに基づいた追加データ取得及び解析等を実施するアドオンコホート研究を東北 MMB と実施することでコホートの価値を向上させ、新たなエビデンス創出につなげることができると考えている。特に健常時からの追跡データを用いた解析により、疾患の予防や発症・重症化を未然に阻止する予防・先制医療ソリューションを開発することが重要である。

2) 目指したい姿

- 疾患の発症や重症化を阻止することによる健康寿命の延伸、医療費削減や社会的価値創出。特に認知症、精神・神経疾患、がん、COPD、生活習慣病などの発症阻止、重症化予防の実現。
- 前向きコホート研究のデータから疾患発症のメカニズムを解析し、バイオマーカーの発見、それを標的とした介入手段（医薬品等）を開発することで、予防・先制医療を実現している。

3) 提案

- 基幹データ整備（基本的に国の予算で整備することを要望）

- メタボローム解析、MRI データ、全ゲノム解析（WGS）の対象人数の拡大。コホート研究対象者全例（15 万人）での実施が望ましいが、特に三世代コホート研究対象者に対して優先的に実施。
 - ✓ 東北 MMB の三世代コホート研究のサンプルは世界的にも類を見ず、疾患発症のメカニズム（遺伝的要因、環境要因）を解析するうえで有効な情報を見出せる可能性がある。
- コホート研究対象者全例に対する追跡調査を継続的に実施。
- 疾患発症例に対する症例追跡調査
 - 東北 MMB の前向きゲノムコホートの 15 万人を対象に、認知症、精神・神経疾患（うつ病等）、がん、COPD、生活習慣病などを発症した方々について、東北大学病院をはじめ地域の基幹病院と連携することにより、10 年以上に亘るより詳細な追跡調査を、アドオンコホート研究として実施する。
 - 緊急回付された重症例を含む上記疾患を発症した方々については、疾患に応じた詳細解析を実施する。
 - 疾患を発症した全例に対して、メタボローム解析、ジャポニカアレイ v3、全ゲノム解析（WGS；重症例のみ）、MRI、口腔内細菌叢解析を実施する。
 - これらの疾患の発症、重症化のメカニズムを解析し、予防・先制医療、個別化医療、創薬標的探索などにつなげる。
 - ✓ 上記疾患の国内の罹患率は各々数％であり、東北 MMB の生体試料から各疾患で少なくとも数百名規模の解析が実施できると考えられる。
 - ✓ 予防・先制医療の実現可能性を高めるためには、なるべく多くの企業の参加が望ましく、参画企業と出資可能額に応じて規模を決定する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 前向きゲノムコホート研究データの積極的な利活用
- アドオンコホート研究（症例追跡調査・解析研究等）の企画・提案・実施、資金の提供
- 専門人材の派遣

(2) 官の役割

- 東北 MMB 前向きゲノムコホート研究への継続的な支援、三世代コホート詳細研究への支援（追跡調査、データ取得・整備への予算措置）
- 構築したデータベースを用いたデータサイエンティストの人材育成への予算措置

(3) アカデミアの役割

- 東北 MMB 前向きゲノムコホート研究、特に三世代コホート詳細研究の実施
- 企業がデータを利活用できよう同意が取得された質の高いデータの整備
- 企業と連携したアドオンコホート研究の企画・実施
- データサイエンティスト等の専門人材の育成

3.1.1.1.2 認知症の予防・先制医療実現に向けたコホート研究の推進

1) 背景

認知症、がん、生活習慣病などの疾患領域においては、早期介入方法の研究開発が進められている。特に認知症については、日本をはじめ急速に高齢化が進む世界各国で今後更なるアルツハイマー病（AD）患者の増加が見込まれ、医療費や介護費、そして介護者の負担の増加などが予想される重要な社会的課題である。例えば、米国アルツハイマー病協会の調査によれば、認知症の進行を5年間遅らせることで、米国において40兆円の経済効果があることが示されている。これまでの研究からAD発症以前からアミロイドやタウなどの原因分子が既に脳内に蓄積し始めていることが明らかになっており、早期介入の必要性が示唆されている。ADの先制医療の実現には、どの原因分子が発症前のどの時期から発現し、またどれくらい蓄積すると認知機能障害を引き起こすのか、すなわち疾患の発症メカニズムを解明する必要がある。そのためには、認知機能は正常であるが脳内における病理変化が始まっている Preclinical AD（ADの発症前段階）を追跡し、臨床的な認知機能低下発現を解析することが重要である。さらには、Preclinical ADを対象とする予防的介入研究による先制医療の実現に向けた取り組みを進めていくことが重要である。

2) 目指したい姿

Preclinical ADを対象としたコホート研究によりAD発症につながるバイオマーカーを発見のうえ、早期診断・先制的介入法が確立されアルツハイマー病の発症を阻止できている。

3) 提案

- Preclinical ADを対象としたコホート研究
 - 「認知症研究開発事業」で取り組んでいるAMED Preclinicalを拡充のうえ、200例規模で認知機能検査に加え脳脊髄液検査やアミロイドPET等の画像検査を経時的に実施し、脳内病理の進行と臨床的な認知機能低下発現の関係を明らかにする。期間は5～10年程度。
- コホート研究対象者（Trial Ready Cohort）を対象とした予防的介入研究
 - 上記コホート研究の被験者登録拡大、さらには軽度認知機能障害を対象としたオレンジレジストリや、認知症予防を目的として認知機能検査を実施する健常者レジストリであるIR00PへのアミロイドPET等画像検査の追加など、検査項目の拡充によりTrial Ready Cohortとして予防的介入試験に向けたレジストリを構築する。そのうえで、1000例程度のPreclinical AD登録例を対象に5年程度の予防的介入研究を実施する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 予防的介入試験のデザイン、薬剤の提供

(2) 官の役割

- レジストリ構築・運営等への継続的な支援
- 産学官連携コンソーシアム設立・運営

- 予防的介入試験への予算措置

(3) アカデミアの役割

- レジストリの構築
- 予防的介入試験のデザイン、施設選定の情報提供、試験の実施

3.1.1.2 疾患別情報統合データベースの構築(バイオバンクの利活用を含む)

1) 背景

グローバルな競争の中で日本から今後も革新的な医薬品を創出し続けるためには、多様化、複雑化する疾患を深く理解し、疾患発症、病態の進行あるいは重症化予防に関連する新規標的やバイオマーカーを見出すことが必要になってくる。

近年の技術進歩によって、生体中に存在する DNA、RNA、蛋白質、代謝分子全体を網羅的に解析することが可能になり、多くの分子の関係性を一度に分析できるようになった。このことは、疾患を全体像として捉えることを可能にし、発症メカニズムあるいは病態の進行メカニズムをより深く理解することにつながる。また、網羅的解析を疾患の発症前後、進行度合いが異なる試料を用いて実施し、比較解析することで新規標的分子やバイオマーカーの発見につながることを期待されていることから、ヒト試料を用いた各種オミックス情報と詳細な臨床情報が連結された統合データベースは、今後の革新的な医薬品創出に必須なインフラであると考えられる。

これまで、同様な考えのもと多層的オミックス解析統合データベースや産学官共同創薬技術活用プロジェクト(GAPFREE)、官民研究開発投資拡大プログラム(PRISM)などの取り組みが進められてきたが、対象疾患や症例数が限定的であったり、患者のリクルートに時間がかかるなどといった課題がある。また、参画できる企業も限られていることから広く産産連携を推進する枠組みとはいえず、大規模な疾患情報統合データベースは構築されていない。

日本の強みの一つである臨床アウトカムや検査データ等を含めた正確な臨床情報と、貴重な臨床検体を用いた各種オミックス情報を連結した疾患別の大規模な情報統合データベースを構築し、企業を含む研究機関が利活用する仕組みを産学官が連携して構築することは、日本の競争力強化の観点からも強く求められている。

2) 目指したい姿

バイオバンクで保管されている臨床検体の活用も含め、ゲノム及び各種オミックス情報と臨床検査の情報や画像情報、アウトカムデータ等の臨床情報が連結された、大規模な疾患別情報統合データベースが構築され、企業を含めた研究機関によるデータベースの二次利用が進んでいる。

また、構築したデータベースを解析することで、疾患病態や進行メカニズムの理解が深化するとともに、研究開発の効率化と同時に創薬活動が加速化し、さらにその先には本データベースがデータサイエンティストの育成や AI 開発の学習データとしても活用され、精密医療に利用できる AI が開発される。

3) 提案

豊富な臨床情報と貴重な生体試料が保管されている国立高度専門医療研究センタ

ー（NC）と連携し、NC が保有している臨床検体及びその患者から新たに採取する検体のゲノムや各種のオミックス解析を行い、臨床情報と連結してデータベース化することで、企業が利活用できる疾患別情報統合データベースを構築する。

まずはパイロットプロジェクトを 2～3 疾患領域で実施し、課題などを洗い出し、解決策を検討し、その後順次規模の拡大を目指す。対象疾患領域は、精神・神経疾患領域、自己免疫疾患領域、がん領域を候補とし、具体的な内容は製薬企業のニーズも踏まえて NC とともに議論しながら決定する。また、健常人と比較解析する場合は、NC の健康診断で収集された試料の使用、あるいは東北 MMB との連携を想定している。

構築したデータベースは、疾患の発症予防、進行抑制、重症化予防などの新規標的やバイオマーカー探索に活用し、予防・先制医療を視野に入れた医学・創薬研究に活用する。また、それぞれのステップにおけるメカニズム解析を通して、疾患の理解を深化させ、医療分野のサイエンスの発展に寄与する。将来的には、構築したデータベースを用い、データサイエンティストの人材育成や、医療や創薬に利用可能な AI を開発する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- ・ パイロットプロジェクトで取り組む疾患や解析したい検体及び解析内容の提案
- ・ 解析費用について官とのマッチングを前提とした資金提供

(2) 官の役割

- ・ 解析費用について産とのマッチングを前提とした予算措置（NC では生体試料の採取・保管は厚労省予算で実施されているが、オミックス解析やオミックス解析情報などのデータベース構築に対しては別途予算が必要）
- ・ オミックス等の解析拠点整備
- ・ 産学官連携コンソーシアム設立・運営と出資した企業に対するインセンティブの付与
- ・ データベースを用いたデータサイエンティストの人材育成への支援
- ・ 東北 MMB 前向きゲノムコホートデータと疾患コホートデータとの統合解析の仕組みの構築

(3) アカデミアの役割

- ・ 疾患の発症、進行、重症化のメカニズムの理解の深化と基礎研究の発展
- ・ データベースを用いたデータサイエンティストあるいは AI 開発人材等の育成

(4) 医療機関（NC 等）

- ・ バイオバンク試料から解析用試料の選択、新たな患者からの試料採取
- ・ 各種臨床情報の提供と各種オミックス解析との連結

3.1.2 健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用

近年の IT 革新による健康医療情報の増大により、従来の仮説駆動型に加え、データ駆動型の医薬品開発への取り組みが国内外で急速に進んでいる。個人の健康医療情

報にゲノム・オミックス情報、画像データ、介護情報、行動情報など多様な項目が経時的に取得・集積されたライフコースデータの構築、さらにこれを AI で解析するデータ駆動型アプローチは、革新的な医薬品の創出、早期治療・予防法の開発、医薬品研究開発の効率化、医療の精密化に貢献すると期待されている。一方で、医療情報に少なくともゲノム・オミックス情報、画像データを連結することで、疾患病態の理解・進行メカニズム解析、創薬標的・バイオマーカー探索等の創薬研究に健康医療情報を利用することが可能となり、医薬品開発の成功確度向上に貢献することが期待される。また、クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）等の疾患レジストリの整備・拡充や、MID-NET 等の既存のリアルワールドデータ（RWD）の拡充により、治験の迅速化や開発コストの低減が期待される。

2017 年の医療 IT に関する OECD の報告書によれば、日本は「EHR (Electronic Health Record) のデータガバナンス、技術・実用性の両方で最低」と評価されており、医療ビッグデータの基盤構築の段階で既に大きく出遅れている。しかしながら、日本の強みは、質の高い医療へのアクセシビリティ、データの源泉となる医療機器・診断機器の技術水準及びデータを医薬品に結び付けられる創薬力の高さにある。日本の良質な個人の医療情報が連結され、そこに健康診断情報、行動情報、ゲノム・オミックス情報が連結されれば、世界的にも貴重な健康医療ビッグデータとなる。このビッグデータは、予防・先制医療のソリューション開発、新規創薬標的及びバイオマーカー探索、臨床開発の精緻化・効率化、安全監視活動等への活用が期待されており、製薬産業をはじめとした諸産業での利用価値は非常に高いと考えられる。政府においても現在、「未来投資戦略 2018」及び「健康・医療戦略」等に基づき、健康医療情報の活用推進に向けた整備が進められている。そこでは、医療等分野における識別子の導入も盛り込まれており、2020 年度までに個人の健康医療情報が連結された健康医療ビッグデータのイニシャルシステム構築が計画されている。また、厚労省の「データヘルス改革」では、健康・医療・介護データを有機的に連結した健康医療ビッグデータが構想されており、“予防医療の促進、新たな治療法の開発や創薬”への活用も視野に入れられている。しかし、その実現には、以下の質、量及び二次利用に関する課題を解決する必要がある。

<医薬品の研究開発への利活用に向けた健康医療ビッグデータ構築上の課題>

- 質の課題：医療ビッグデータ解析から信頼性の高い結果を得るには、集積される情報が標準化及び構造化され、疾患・症状と原因、治療とその結果を対応付けられ、バイアスの少ないデータである必要があるが、現状では整備されていない。また創薬研究では、患者の医療情報、介護情報及び健常人の健康情報に加え、ゲノム・オミックス情報、AI 処理が可能な画像データ、行動情報など多様な項目の経時変化情報が連結されている必要があるが、そのような統合的なデータはほとんど整備されていない。
- 量の課題：次世代医療基盤法では二次利用可能な医療情報の収集が可能とされているが、国民・患者・医療機関等の情報提供者へのインセンティブが十分でないため規模が小さくなる懸念がある。
- 二次利用に関する課題：現在、国やアカデミアが構築している多くのデータベースは民間利用が制限され、改正個人情報保護法の下で第三者提供が可能な同意を取得されていないケースが多い。次世代医療基盤法により医療分野の研究

開発に利用可能となるが、個人識別符号に該当するゲノムデータは利活用者に提供されないため、創薬研究への活用の観点では不十分である。また、厚労省の「データヘルス改革」にデータの二次利用による産業振興の観点は十分に盛り込まれておらず、連結された健康医療ビッグデータを医薬品の研究開発に活用できない懸念がある。

これらの課題を克服するには、政府、地方自治体、アカデミア、医療機関、国民、企業が、以下の状態を目指して一体となって取り組み、急速に高齢化を迎える日本が健康長寿国として世界に解決策を示したい。

- 日本の健康医療サービスの基礎として個人の健康医療情報（健康診断/EHR）基盤が構築されるとともに、ゲノム・オミックス情報、画像データ、介護情報、行動情報など多様な項目が経時的に取得・集積された健康医療ビッグデータ（＝ライフコースデータ）が構築され、利用目的に応じて連結でき、医療機関、行政、アカデミアのみならず、本人や産業界でも利活用できる環境が整備されている。
- 健康・医療ビッグデータ利活用によって得られた成果（医療用AI 開発、医療情報の1.5次利用による Learning healthcare system、革新的な医療健康技術等）が社会にフィードバックされ、日本の医療が高度化され、健康寿命の延伸が実現する。日本の健康医療ビッグデータ利活用モデルがグローバルに広がり、製薬産業においては革新的な医薬品創出力が向上している。

上記状態の実現のため、企業が積極的に関与すべき取り組みとして、「医療現場で利用可能な健康医療ビッグデータ・AI 開発推進支援」、「創薬研究促進のための健康医療ビッグデータ構築及び解析の実現」、「臨床開発促進のための健康医療ビッグデータ活用」を以下に提案する。

3.1.2.1 医療現場で利用可能な健康医療ビッグデータ・AI 開発推進支援

1) 背景

「未来投資戦略 2018」及び「健康・医療戦略」等に基づき検討されている“個人・患者本位の新しい健康・医療・介護システム”、“データ駆動型医療（医療情報の1.5次利用）”を目指して、健康医療ビッグデータの整備が進められている。

この構想の実現には、医療等分野における識別子の導入、集積する情報の標準化及び構造化、データ利用の法制度が必須であり、さらにデータ提供者である医療機関及び患者がメリットを享受できる仕組みにする必要がある。

将来的に健康医療ビッグデータを産業界が二次利用するためにも、まずは医療現場で利用可能な健康医療ビッグデータがしっかりと構築される必要がある。

2) 目指したい姿

- 日本の健康医療サービスの基礎として個人の健康医療情報基盤が構築され、“個人・患者本位の新しい健康・医療・介護システム”及び“医療情報の1.5次利用”が実現し、日本の医療がより効率的に高度化されている。
- 健康医療情報が医療機関、患者のみならず産業界にも利活用され、精密医療が

実現し、医療用 AI 及び革新的医薬品が開発されている。

3) 提案

「未来投資戦略 2018」及び「健康・医療戦略」等に基づき“個人・患者本位の新しい健康・医療・介護システム”、“データ駆動型医療（医療情報の 1.5 次利用）”を旨とした健康医療ビッグデータを確実に整備する。

さらに、多忙を極める医療現場で 1.5 次利用に資する医療情報を医療従事者の負担なく集積するためには、例えば電子カルテ情報等を自動で構造化し、治療アウトカムを要約する AI（自動構造化 AI）の開発等が挙げられる。自動構造化 AI はテキストデータだけでなく検査値や画像データも対象とし、日常診療における医療情報の連携・共有の課題を解決し医療従事者の業務を効率化するだけでなく、医療用 AI（診断支援 AI、治療計画立案 AI 等）の開発や医療データの標準化及び構造化により 1.5 次利用による Learning healthcare system の更なる推進に貢献することも期待される。

官及びアカデミアの取り組みに期待する部分が大きいが、産業界としても AI の開発推進支援など、医療情報の 1.5 次利用の早期実現に向けて貢献できるよう、他業界も巻き込み、これまで以上に健康医療情報活用環境整備の検討を進め、企業ニーズや意見を発信する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 1.5 次利用推進のための AI 開発支援（自動構造化 AI 等）、他業界との連携推進
- 医薬品の有効性、安全性評価の観点からの健康医療情報活用に関する提案・提言
- 構築された健康医療情報の積極的な活用による健康寿命延伸への貢献

(2) 官の役割

- 各種データベースを連結するための医療等分野における識別子の整備の導入
- データ標準化推進のための予算等の確保（自動構造化 AI の開発促進予算を含む）
- 医療情報提供者・提供事業者、学会等の協力を得るための制度・インセンティブの整備
- 健康医療情報の二次利用を想定した法制度（探索的な目的の二次利用の許可、医療健康情報利活用法の制定等）
- データポータビリティの実現
- 上記制度整備に向けたステークホルダーの意見集約・議論の場の設定

(3) アカデミア・医療機関の役割

- AI 開発（自然言語処理法等）及び IT 化対応
- データサイエンティストの育成
- 医療情報の 1.5 次利用の推進

3.1.2.2 創薬研究促進のための健康医療ビッグデータ構築及び解析の実現

1) 背景

健康寿命延伸につながる早期治療、予防法の開発、先制医療、精密医療の実現には、

個人の健康医療情報にゲノム・オミックス情報、画像データ、介護情報、行動情報など多様な項目が経時的に取得・集積されたライフコースデータの構築・解析が必要であるが、構築には時間を要する。一方で、医療情報に少なくともゲノム・オミックス情報、画像データを連結することで、健康医療情報を利用した創薬研究（疾患病態の理解・進行メカニズム解析、創薬標的・バイオマーカー探索）が可能になり、医薬品開発の成功確度が向上すると期待される。

このようなデータ駆動型創薬アプローチには医療情報の解析技術が必須であるにもかかわらず、3.1.2項で述べたように国内では医療情報を二次利用する体制が整備されておらず、医療情報とゲノム・オミックス情報が連結したデータベースもほとんど存在しないため、医療情報の解析経験のある研究者は限定されている。

2) 目指したい姿

個人の健康医療情報に、利用目的に応じてゲノム・オミックス情報、画像データが連結でき、医療機関、アカデミアのみならず、産業界でも二次利用が可能な環境が整備され、解析ノウハウを有した研究者により創薬研究等に利活用できている。

3) 具体的な取り組み

医療機関の医療情報を解析できる企業研究者が限定されていることから、まずは特定の医療機関等との協力・連携のもと、パイロット的に小規模で企業研究者が病院情報システムデータを解析できる体制を構築し、解析を実施する。また、上述のとおり、創薬研究には病院情報システムデータ解析に加えてゲノムを含む追加情報の取得が必要であるため、その取得方法やインセンティブの仕組みを検討する。

将来的には、「3.1.1.2. 疾患別情報統合データベースの構築」の結果も踏まえて、解析用途拡大を視野に医療情報の規模（対象者及び連結データ項目）拡大を検討する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 病院情報システムデータを用いるメリット、成果、そのための具体的な利用方法の提示
- 病院情報システムデータ解析及び二次利用の費用負担
- 集積するデータの規模拡大の仕組み検討

(2) 官・アカデミアの役割

- 解析環境整備（企業が匿名化されていない医療情報を医療機関外に持ち出すことなく柔軟に解析できる環境整備）
- 健康医療情報の二次利用に関する国民理解の醸成

(3) 医療機関の役割

- 患者への同意取得及び病院情報システムデータの二次利用に必要な対応

3.1.2.3 臨床開発促進のための健康医療ビッグデータ活用

1) 背景

健康医療ビッグデータは、医薬品・医療機器等の治験の迅速化や開発コストの低減、精密医療を実現するツールとして注目されている。難病・希少疾患などのプラセボ対照群の設定が困難な疾患の臨床試験では、治験対照群に疾患レジストリのデータ等を使用することにより、開発期間短縮、患者負担軽減が期待される。精密医療実現の観点では、臨床試験における被験者選択除外基準の複雑化に伴い、被験者選択段階から患者層別化を可能にする健康医療ビッグデータの整備が必要である。また、先駆け審査指定制度や条件付き早期承認制度による医薬品の早期実用化を促進するためにも、健康医療ビッグデータによる効率的な市販後の安全監視体制の構築も重要である。

AMED のクリニカル・イノベーション・ネットワーク推進支援事業では、効率的な臨床開発の環境整備を目的にいくつかの疾患レジストリが整備されつつあるが、企業が利用できるレジストリが限定的、同一疾患に複数のレジストリが存在し連携がないなど、未だ整備途上である。また、日本には悉皆性の高いレセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）や、指定難病患者データベース（難病 DB）、MID-NET をはじめ、多様な医療情報データベースが存在しているにもかかわらず、臨床開発促進のために十分活用できていない。

2) 目指したい姿

医療情報基盤（疾患レジストリ、公的医療情報データベースを含む）が臨床開発促進（臨床試験の実施可能性判断、臨床試験計画策定、被験者登録の効率化、治験対照群としての利用、RWD による効能追加等）のためにも活用され、臨床試験の期間短縮、コスト低減、成功確率の向上及び市販後安全性監視の効率化につながることで、国民の新薬アクセス環境が向上し、国民に適切な医療を提供している。

3) 提案

上記姿の実現に向け、産学官共同で医療情報基盤を用いて臨床開発を促進する体制を構築する。既存の事業・データベースを活用する方法として以下を推進する。

- クリニカル・イノベーション・ネットワークの整備・強化
対象疾患、収集する情報の項目、登録患者数、情報更新頻度など、企業ニーズを取り入れたレジストリを構築する。また、中央支援機関に国内レジストリの事務局機能やデータマネジメント機能を集約させ、同一疾患の統合・整理、費用分配などのガバナンスを強化し、持続可能なレジストリ構築・運用を目指す。
- 公的医療情報データベースの活用
公的医療情報データベース（NDB、難病 DB 等）を用いて、例えば臨床試験の施設選定等、臨床開発促進につながる活用の仕組みの構築を産学官が連携して進める。また、MID-NET についても仕様改善（対象施設拡大等）を進めることで、臨床試験の施設選定等への活用を図る。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 公的医療情報データベースを用いた臨床開発促進に向けた、産学官協議への参加と提言
- 疾患レジストリマッチング事業や中央支援機関との連携による企業ニーズの反映
- 疾患レジストリ及び医療情報データベースの使用料負担

(2) 官・アカデミアの役割

- 公的医療情報データベースを用いた臨床開発促進に向けた、産学官で議論する場の設置と施策の推進
- クリニカル・イノベーション・ネットワークの中央支援機関によるガバナンス強化（事務局機能・データマネジメント機能の集約、同一疾患の統合・整理、費用分配など）
- 公的医療情報データベースを用いた臨床開発促進に向けた、レギュレーション、ガイドライン、法制度の整備

(3) 医療機関の役割

- 公的健康医療情報データベースを用いた臨床開発促進に向けた、産学官協議への参加と施策への協力
- クリニカル・イノベーション・ネットワークへの参加、医療情報データベースの活用

3.1.3 ヘルスケアイノベーション創出エコシステムの構築

創薬標的の複雑化、科学技術の高度化、研究開発費の高騰などにより、製薬企業が単独で新薬を創出する難易度は高まっている。そのような中、オープンイノベーションによるバイオベンチャーやアカデミア等の外部機関との共同研究が創薬研究の推進に重要な役割を果たしている。また、非競争領域における産産連携も活発に行われるようになった。健康・医療戦略の下、2015年4月のAMED設立以降、医療分野研究開発推進計画に基づいた予算配分が実施され、医療分野における取り組みが加速したものの、今後も世界に先駆けて革新的な医薬品を創出し日本をはじめ世界に届けるためには、日本の創薬環境は下記の点などをみても未だ脆弱と言わざるを得ない状況である。

- 基礎研究分野における国際競争力の低下（自然科学系のハイレベルな学術誌に掲載された論文のうち、日本発の論文が占める割合は2012年から2017年の間で9.2%から8.6%に低下）
- ベンチャー数、資金調達額は増加傾向であるものの、事業化を達成した成功例に乏しい。事業化に向けた人材も不足。
- 創薬ビジネス経験のある人材の学官及びベンチャー等への流動性不足
- 企業におけるオープンイノベーションマインドが未成熟
- 小規模バイオクラスターが点在し、ヘルスケア分野の知識が集約しきれていない
- 日本は高質な医療情報が取得可能な環境であるものの、データ取得、統合・二次

利用に向けた環境整備・国民理解が不十分

- 同実現を志向したデジタルヘルス研究の推進及びデータサイエンティストの育成不足

このような状況下、日本を世界最高の医薬・医療イノベーション創出拠点とするため、これまで行政に依存してきた反省を踏まえ、産業界も積極的に参画し、世界最先端のヘルスケアエコシステム構築に向けた取り組みを推進したい。そこでは、国民をはじめ大学や研究機関、関係省庁、AMED や PMDA、IT 企業、製薬企業等さまざまなプレーヤーが参画し、創薬プロセスそのものに変化を起こして日本の創薬競争力の強化を目指すと共に、エコシステムでの医薬・医療イノベーション創出活動においては、役割分担を明確にし、パートナー各々が協調しあいながら共通の目標に向かって、互いに win-win の関係で取り組める体制とする必要がある。また、従来の治療用医薬品の枠を超え、国民の健康寿命延伸につながる予防・先制医療等の患者・市民を中心とする幅広い健康医療ソリューションの開発・提供に取り組み、デジタル・AI ベンチャーなど創薬エコシステムを超えた幅広いプレーヤーが参加するヘルスケアエコシステムの構築を目指す。さらに、グローバルに展開する製薬企業がハブとなり、米国をはじめとする世界のエコシステムと連携し、日本発イノベーションの海外展開を進めるとともに、産学官が協調して海外の人材とノウハウを日本に取り込み、多様性のあるヘルスケアエコシステムを構築する。

上記様々な課題に対し、あるべきエコシステムの構築に向け、「創薬基盤技術の高度化」、「データシェアリングの推進」、「官民一体共同スキームの構築」、「アカデミアの基礎研究力再確立」、「ベンチャー育成システムの構築」、「グローバル視点によるファンディングリソースの多様化」、「デジタルヘルスへの展開と人材育成」、「バイオクラスタの集約強化」等に関する議論を進めているが、本提言書では産業界が主体的にヘルスケアエコシステム構築に取り組める、創薬エコシステムにおいて重要な「創薬基盤技術の高度化」、またデータ駆動型創薬に資する企業間の「データシェアリングの推進」、そして産業界が主体的に参画しエコシステムを牽引する仕組みである「官民一体共同スキーム（仮称）」についての検討状況を示す。なお、本 3.1.3 項は「3.1.1 予防・先制医療ソリューションの早期実現化」並びに「3.1.2 健康医療ビッグデータ及び AI の開発・活用」に記載した要望を実現するための枠組みも含まれることから、3.1.1 項と 3.1.2 項と重複する記載部分が存在する。

3.1.3.1 企業ニーズを踏まえたアカデミアの創薬基盤技術の高度化

1) 背景

改変抗体、細胞、核酸、遺伝子、中分子等の新たなモダリティの研究開発が進展する中、革新的な医薬品を創出し続けるためには創薬基盤技術をより高度化させなければならない。そのような状況に対して、製薬企業が保有している従来の低分子を中心とした創薬技術だけでは対応しきれず、アカデミアをはじめとする外部の研究機関、ベンチャーから革新的な先端技術を導入し、創薬研究を行うことが重要な課題の 1 つとなっている。

AMED の発足によって産学官の連携が進展し、以前と比べて創薬基盤技術の研究開発も産学官連携のもとで行われるようになった。しかし、変化が激しいグローバルにお

ける競争環境で日本が存在感を示すためには、現状の産学官の連携をより一層深化させる必要がある。

特に、新たな創薬標的の発見につながる疾患研究、ヒト生体試料を用いたリバーストランスレーショナルリサーチ、新たなモダリティの開発、その DDS 技術などは、企業の枠を超えて取り組みを強化する必要がある。

2) 目指したい姿

産学官が協働で、日本として高めるべき創薬基盤技術を議論し研究開発を推進するプラットフォームを確立し、そこから優れた創薬基盤技術が生み出されている。併せて知財戦略を推進することでグローバルな競争環境で創薬先進国としての地位を高めている。

3) 提案

日本の基礎研究を活かした国際競争力を有する革新的な創薬基盤技術の研究開発方針を産学官で議論する場を設置し、協働して研究開発を推進する体制を構築する。また革新的創薬に向けた産学官連携のプログラムを加速させるため、AMED の既存プログラム（CiCLE、GAPFREE、ACT-M/MS）の拡大・進化について産学官で議論する。

製薬協会員会社の関心が高いテーマとして新規モダリティ開発、クライオ電子顕微鏡関連技術、疾患動物モデル、オルガノイド、ゲノム編集関連技術、iPS 細胞関連技術（HLA-null 化技術）、製剤技術開発等を候補として検討しており、今回は今後一層の多様化が想定される新規モダリティの開発、海外でも注目を集めているクライオ電子顕微鏡による解析技術の高度化を取り上げる。いずれも個社では保有・開発が難しく産学官により中長期に亘って検討すべき課題である。

① 新規モダリティの開発

➤ 背景

創薬モダリティの多様化が進む中、各基盤技術を国内企業がその規模において独自に開発することは困難になっている。一方、海外では企業のスケールメリットを活かし様々な創薬技術を取り込んでおり、国内外での創薬力の格差が拡大しつつある。

しかし、国内においても海外のメガファーマ等をはじめ多くの製薬企業と提携するアカデミア発ベンチャーの例があるように、創薬モダリティの研究において日本の基礎研究力が劣っているわけでは決してない。基礎研究力では世界と伍しているにも関わらず産業化で後れをとる原因としては、産業界とアカデミア間の意思疎通が不十分であることや、産業化に対する意識、資金的支援、ノウハウが欠けていることが考えられる。

➤ 具体的な取り組み

産学官一体となって新規モダリティを開発するため、AMED の協力のもと、アカデミアの優れた新規モダリティ技術シーズ、あるいは創薬標的を企業目線で評価し開発方向性を助言しつつ、企業の保有するアセットにより支援することで実用化まで導くエコシステムを構築する。そのために各社が持つモダリティ基盤研究機能や HTS ライブラリー等を、後述する官民一体共同スキームにおける新組織（Public and private consortium: PPC）、あるいは製薬企業による Joint venture (JV) に集約する。各社個

別で維持管理してきたナレッジも持ち寄ることで技術の一層の高度化と経営資源の削減効果も期待できる^{*1}。

以下、PPC 又は JV の役割を中心に述べると、PPC 又は JV はグローバルな環境変化と企業ニーズに基づいて日本として強化すべき研究領域やその実行策について AMED に提案し、AMED は提案をもとに新規事業を立案する。テーマ採択時には PPC 又は JV が産業上の有用性・将来性について評価を行い、適切なセットアップ企業^{*2}も提案する。採択されたテーマについては開発方針や知財戦略に関する助言、保有する技術・アセットによりアカデミアシーズの育成に努める。なお、本枠組みで生じた知財は原則アカデミア・AMED に帰属させ、その実施権を PPC 又は JV に無償供与することとする。

*1 例えば HTS ライブラリーの維持管理や化合物の新規購入における費用負担の削減。その他、企業ニーズが高いにも拘わらず既に海外で強力な知財が成立している場合、PPC 又は JV が再実施権付き通常実施権の許諾を得ることで、企業個別に負担していた up front や annual fee、ロイヤリティを一本化し軽減できる可能性がある。

*2 アカデミアからシーズを引き継ぎ医療への応用を目指す企業。当面、参画企業による互選とする。

➤ 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- ・ PPC 又は JV への各社独自技術・研究アセットの供出及び集約
- ・ アカデミアシーズの開発方針や知財戦略に対する助言
- ・ 研究人材、資金の供出
- ・ セットアップ企業による臨床試験の実施

(2) 官の役割

- ・ 産学官オールジャパン体制でのプロジェクト運営実現に向けた議論をする場の設置
- ・ 先端技術の有するアカデミアと企業の協創により新規モダリティ創出に取り組む新規事業の立案
- ・ 企業資金とマッチングした資金の供出
- ・ 新規モダリティに対するレギュラトリーサイエンスの確立と薬事承認における支援
- ・ 必要に合わせた新規モダリティの産業化に係る法整備（遺伝子治療やゲノム編集時代に向けたカルタヘナ法の国際対応等）

(3) アカデミアの役割

- ・ 新規モダリティに関する基礎研究での画期的な発見
- ・ 研究開発方針に関する議論への参加
- ・ 大学 TLO と PPC 又は JV との連携
- ・ 医師主導治験の実施体制の強化

② クライオ電子顕微鏡を用いた蛋白質構造解析の推進と技術の高度化

➤ 背景

近年の技術進歩により、低分子/中分子の創薬、さらに抗体やワクチン開発研究を

目的とした蛋白質構造解析において、クライオ電子顕微鏡の利活用に対する期待が大きく高まっている。欧米ではメーカーとの連携による共有化等によって製薬企業の利用機会が拡大する一方で、国内ではクライオ電子顕微鏡の台数が少ないうえにその周辺インフラの整備が進んでおらず、企業のアクセスが著しく限定されている。その結果、熟練した研究者の育成や創薬応用を目指した高度化も遅々として進んでいない。

技術面で欧米が先行しているものの、X線結晶構造解析やNMR等の構造解析において日本はまだ存在感を示せており、今後の取り組みによるキャッチアップは十分可能である。これから発展が期待されるクライオ電顕技術の恩恵を日本も享受できるよう、産学官が連携して中長期視点で課題に取り組むべきである。

➤ 具体的な取り組み

- ◇ 既存のアカデミアが保有する設備を最大限活用できるよう、企業から人的リソースを供出し実践による技術者育成に努めると同時に、企業の利用機会の拡大を図る。蛋白質精製やツール化合物の提供等、企業でこそ可能な貢献により基礎研究の活性化にも努める。
- ◇ 新たな共用設備の導入について産学官で意見交換する場を設置し、企業ニーズも考慮した効率的運用及び設備の更新・維持も含めた議論を開始する。併せて他の基盤技術との融合やデータ解析用インフラについても検討する。

➤ 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- ・ 最先端技術を利用した創薬
- ・ 共用設備の利用や技術支援に対する費用の負担
- ・ 人材の供出（人材交流）

(2) 官の役割

- ・ 共用設備の初期・維持費用の拠出
- ・ 技術高度化への支援
- ・ 産学連携に対する助言や法整備

(3) アカデミアの役割

- ・ 企業との積極的な連携・技術支援
- ・ 最先端技術の導入・高度化
- ・ 企業への技術指導及び人材提供

3.1.3.2 データ駆動型創薬に資する企業間のデータシェアリングの推進

1) 背景

製薬業界において、創薬研究の効率化を目的としたオープンイノベーションが個社ベースでは進められてきた。また、アカデミア発の標的分子に対して化合物探索を行う産学連携や、DISCのように化合物を共有しアカデミア発の標的分子への化合物探索を共同で行う産学官連携、また J-CLIC では化合物を共同で購入する産産連携なども進んできている。しかしながら、化合物の評価データの共有に関しては、臨床試験デ

ータはもちろん、非臨床試験データに関しても十分には進んでいない。AMED の創薬支援インフォマティクスシステム構築事業では、一部の ADMET データに関して企業データが提供されているが、参加企業が 7 社と少ないため、ヒトでの予測精度を向上するためにはデータの充実が望まれる。

革新的な医薬品を継続的に創出するためには、研究開発を大幅に効率化する高機能の AI 活用が必須である。このような AI を開発するためには、まず企業が中心となって AI 開発に活用できる、多様性に富み、かつ質の高いデータベースを構築する必要がある。臨床試験及び非臨床試験データは製薬企業にとって非常に重要な情報であるため、その共有と共同活用は積極的には検討されてこなかった。

しかし、研究開発の生産性が低下する中、企業間でこれまで難しかった非臨床のデータシェアリングを推し進め、共有化されたデータを効果的に創薬研究に活用する環境を整備することは、企業にとって喫緊の課題となっている。

2) 目指したい姿

企業間でデータのシェアリングが進み、様々な情報から構成されるデータベースが構築されている。そして、構築したデータベースを活用して創薬 AI が開発され、創薬研究の効率化が実現している。その結果として、日本発の革新的な医薬品の承認数が増加するとともに開発期間が短縮し、研究開発費が軽減している。

3) 提案

製薬企業が保有する薬効、ADMET、化合物最適化に関するデータを共有し、創薬研究や臨床試験の効率化につなげる。共有化されたデータベースを活用し、アカデミア、ベンチャーとの連携を通じて創薬研究の効率化を実現する AI の開発を進める。開発した AI については企業の創薬研究に活用するだけでなく、アカデミアにも提供してアカデミア創薬の推進にも役立てる。

データシェアリングと AI 活用の基盤として、まず非臨床情報から構成されるデータベースの構築に取り組む。各社が、化合物構造データ、薬効、ADMET に関する invitro あるいは invivo データなどの幅広いデータを提供することにより、AI 開発にも資する多様性に富む、大型で高品質なデータベースを構築する。構築されたデータベースは各社の創薬研究の効率化に向けた取り組みに活用されると共に、AI 開発に強みを有する国内アカデミア等に提供して、創薬研究の効率化を実現する AI 開発に活用する。

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 保有データの提供によるデータベースの構築
- データ再測定によるデータベースの高品質化
- データベース活用に関するポリシーの策定とデータベースの管理・運用

(2) 官の役割

- 国内アカデミアに対する AI 開発資金援助
- AI 開発に必要な人材の育成に対する予算措置

(3) アカデミアの役割

- 創薬研究の効率化を実現する創薬 AI の開発
- データサイエンティスト、検索アルゴリズム、AI 開発に必要な人材の育成

3.1.3.3 官民一体共同スキームの構築

1) 背景

産学官が保有する研究資源や知見を結集し、スピード感をもって先端科学を創薬応用する必要がある。製薬企業の研究開発もかつての自前主義からマインドを転換し、数多くのオープンイノベーションにより進められているが、下記課題を抱えている。

- 非競争領域を対象とするコンソーシアム・産学連携・産産連携に留まり、その規模や範囲が下記のように限定的で、業界の主体性・積極性が不足している。
 - アカデミア等が主導するプロジェクトの 1 メンバーとして製薬企業が参画するコンソーシアム、アカデミアと企業が 1 対 1 の共同研究
 - 製薬企業同士の化合物交換、化合物共同購入等
- アカデミアの研究成果と製薬企業の創薬ノウハウを結集することで大きな進展が期待できる、下記のようなプロジェクトに着手できていない。
 - 製薬会社が保有するノウハウ・アセットを共有・活用し、アカデミアやベンチャー等が参画するスタイルのプロジェクト
 - IoT・AI に代表される科学技術の加速度的・飛躍的な進歩を取り込むための幅広い異業種を巻き込んだプロジェクト
- コンソーシアムの成果物を知財として共同保有し継続的に活用できる仕組み、人材育成が可能な仕組み、民間ファンドを活用した仕組み等が欠如している。
- AMED 施策への製薬会社の関与は、一部のプロジェクト参画に留まり、CiCLE、GAPFREE などの事業に関しても、業界全体としての積極的な参画の点で改善点を有しており、産産連携を含む大規模なコンソーシアムを構築するに至っていない。
 - CiCLE 事業では産産連携の実現が難しい
 - GAPFREE 事業は公募期間・規模が限定的

これらの課題解決のためには、製薬業界が新たなプラットフォームを構築し、業界主導でプロジェクトを継続的に提案・運営（企業目線での進捗管理等）することが必要と考える。

2) 目指したい姿

- グローバル連携を含む、製薬業界に必要なプロジェクトの機動的な立上げ
- 製薬会社が保有するアセットの共有、相互利用並びに成果の共同管理による効率的な創薬プロセスの実現
- エコシステムを担う各プレーヤーのフレキシブルな出入りを可能にする仕組みの構築

以下の項目は、組織ありきではなく、プロジェクトごとにあるべき仕組みを既存組織の活用を含め検討すべきであるが、法人格組織の立上げを想定した場合の一案として記載する。

3) 官民一体共同スキームの構想内容

【目的・目標】

- 業界主導でプロジェクトを起案・実施できる体制の構築
- アカデミア研究の産業活用の推進
- グローバルも含めた医療周辺産業との連携が可能なプラットフォームの構築・運用
- 創薬アセット、ノウハウ、創薬基盤構築等の積極的なシェアリング、ライセンス料・技術使用料徴収を含めたフレキシブルな利活用体制の構築
- アカデミアー産業界の人材交流の推進
- 会費徴収型人材育成事業の構築・運用
- AMED 等の Funding Agency との密な連携、業界からの資金投入

4) 上記実現に向けた役割

(1) 企業の役割

- 新組織の立上げ・運営（運営費、人材等）
- 産業界主導型プロジェクトの提案、実施（各プロジェクトへの参画については、プロジェクトごと・個社ごとに判断）
- 各プロジェクトにおける主幹会社の役割の明確化、並びに出口戦略構築を含めたプロジェクトの推進
- 必要な企業保有資産の供出・相互利用
- プロジェクトから生まれた成果の共同管理

(2) 官の役割

- 産学官連携推進に向けた意見交換への参加
- 産業界主導型産学官連携プロジェクトへの参画（データシェアリングシステム構築プロジェクト、戦略特区の設定等）
- 企業が望む産学連携・産産連携を可能とするファンディングの実現（GAPFREE の拡充、CiCLE の維持・拡充・仕組み改善、新たな複数年ファンディングの構築）

(3) アカデミアの役割

- 産業界主導型産学（官）連携プロジェクトへの参画
- 新組織保有アセットの活用による創薬研究

3.2 AMED の機能強化に関する提案

AMED の設立以降、産学官で創薬について議論する機会は確実に増え、相互理解も深まりつつある。しかしながら革新的な医薬品を継続して創出し「創薬立国日本」の国際的地位を維持・向上させるためにはエコシステムの確立が急務であり、AMED には今後もその中において重要な役割を担うべく、更なる機能強化をして頂きたい。

基礎研究から応用研究への展開は強化されつつあるが、応用研究の成果を実用化・産業化に効率よくつなげていく部分には課題があると認識している。課題解決には早期から産業化を見据え、産業界からの意見を早期から取り込んで頂くことが重要である。製薬業界としても、これまで以上に積極的かつ主体的に議論に参画し、協働での取り組みも増やすことで貢献していきたい。

(1) AMED の予算・人材・体制

中国等、医療分野の研究開発における新興国の追い上げが一層厳しさを増している。日米における国力の開きもあり NIH と同規模の予算を求めることは難しいが、科学技術力が日本の成長の原動力であることを改めて認識し、今後も AMED の予算拡大について検討頂きたい。その際、中長期に亘って投資できるような資金を AMED が持つことで、より多面的なベンチャー支援による実用化促進や、企業との共同投資による多様な産官連携プロジェクト等が可能になると期待される。

研究成果の産業化を強化するためには、評価及び運営メンバーとして産から積極的に人材を採用するとともに、優秀な人材の維持という観点からプロパーの雇用・育成についてもより一層推進する必要がある。

「国立研究開発法人 日本医療研究開発機構の取組と課題（平成 30 年度第 1 回アドバイザーボード）」中の「国際レビューアの導入」が示すようなピアレビュー制度における質の担保・向上の取り組みは、AMED が目利き人材の重要性を十分に理解していることの証左であり、国際的レベルで優秀な人材が国内に見当たらない領域・分野においては積極的に海外からの人材登用を進めるべきである。

医療ビッグデータの利活用のための環境整備が急がれる中、現行の AMED の体制では担当窓口・部署が集約されていない。ビッグデータ利活用や AI といった新規技術を専門的にサポートする体制の拡充をお願いしたい。

(2) オープンイノベーションの更なる推進

創業におけるオープンイノベーションが当然となった現在、企業にとって産学連携の重要性は言うを俟たないが、大学・アカデミアにおいても基礎研究を活性化する有効なツールとなり得る。これまで中心だった共同研究的な 1 対 1 の連携から、1 対多さらに多対多の連携の実現に向けて AMED が触媒となることを期待すると同時に、産業界としては、事業の企画段階から AMED と連携し企業目線でのインプットを行うことで多様な施策の立案に貢献したい。

生体試料の創業研究活用（リバース TR）を推進した GAPFREE や CiCLE は今後も事業の継続・拡大をお願いしたい。CiCLE については、①目標未達時にはプログラムで創出された新規特許のみならず、企業が持ち込んだ原特許までも実施権が失われるためビジネス機会を奪われる懸念がある、②複数企業が共同して横並びで参画するような案件で活用しづらい、③融資であるため損益計算書上の研究開発費及び貸借対照表上の負債に計上する必要が生じる等、企業が利用しづらい点があるため制度の改善について検討頂きたい。

（以下、新たな事業としての提案）

- 企業が AI 導入も見据えた医療ビッグデータの利活用を検討する場合、規制の問題も含めてフィージビリティを見通せないことも多い。実装を目指して試行錯誤を重ね、まずやってみることを許容する事業を立案し支援してほしい（サンドボックス事業の創設）
- 新たな領域としてデジタルヘルスに挑む場合、医療機器における医工連携を範として多くの製薬企業がアカデミアとの学際的連携を新たに模索し関係を構築する必要がある。特にタッチポイントの増加につながるようなマッチング事業を企画頂きたい。

(3) レギュラトリーサイエンスの推進

2015 年 8 月に締結した連携協定に基づいて PMDA との連携を一層強化し、医薬品等規制調和・評価研究事業などにおける成果から薬事規制に関するガイドラインの作成へと確実につなげる取り組みの強化をお願いしたい。

レギュラトリーサイエンス関連の提案については「3.3 薬事、知的財産関連施策等の推進」でも触れるが、より具体的なところでは、クリニカル・イノベーション・ネットワークにおける患者レジストリによるランダム比較化試験の代替についてのガイドラインや、デジタルヘルス（薬剤とデバイス・アプリが融合したもの等）に代表される新たなモダリティの薬事承認に関するガイドライン策定に大きな期待を寄せている。（クリニカル・イノベーション・ネットワークに関する具体的な提案については「3.1.2.3 臨床開発促進のための健康医療ビッグデータ活用」参照）

(4) 人材育成

- 製薬協も協力し生物統計家等の専門人材の育成が開始されたが、ゲノム医療を実現するために、疫学研究者、研究倫理専門家、ゲノム医学リサーチコーディネーター、遺伝カウンセラー、生命情報科学専門家等、多様な人材の育成が必要である。
- 本年 6 月に閣議決定された統合イノベーション戦略において IT、先端 IT（IoT、AI など）の人材不足が指摘されているように、製薬産業においてもデータサイエンティストが不足しており、その育成は喫緊の課題である。大学における IT や AI に関する学部・講座の新設・増設等、更なる取り組みが必要である。
- 日本が継続的に科学技術大国として発展していくためには、将来を担う若手研究者の育成が重要であり、研究助成、若手枠の更なる拡大が求められる。また、イノベーション創出の可能性を高めるためには、将来を見据えた長期的な視点で研究人材の多様化にも取り組むべきである。
- 橋渡し研究拠点や臨床研究中核病院等の多くの ARO（Academic Research Organization）拠点では、慢性的な人材不足や非正規雇用による技術の流出が安定的な組織運営を阻害する要因となっている。継続して臨床試験環境を整備するため、専門人材の継続的な育成と、これら ARO 拠点の職員の処遇改善が必要である。

(5) 既存事業の拡充

- BINDS 事業において、アカデミアや各省庁管轄の国立研究開発法人で連携・相互支援が開始されているが、アカデミアに比べ企業における利活用は進んでいない。情報公開義務の撤廃など制度面での制約を改善することで、企業による利活用が進むものと考えられる。企業からも研究施設等の高度化に関するニーズを積極的に挙げたい。
- 多くの企業は、創薬支援ネットワークによる魅力的なシーズの探索とそのバリデーションを期待している。支援開始と同時に産業界とのクロストークを実施し出口戦略を描きつつ、シーズ個別の特徴を踏まえたうえで企業導出のみならず、ベンチャー起業といった多様な選択肢も支援する体制を整備して頂きたい。
- DISC 事業については、化合物評価におけるスループットの低さや採択された創薬標的の新規性・独自性に疑問を持つ声も聞かれるため、引き続き産業界からの意見を積極的に取り入れて頂きたい。また、次世代創薬シーズライブラリーの充実と中分子化合物の提供によるスクリーニングのヒット率向上にも期待したい。

- CIN については、多くの疾患レジストリが存在しているが、疾患ごとに重複して存在しているものも多い。そのため、創薬に活用するためのレジストリを整理したうえで、レジストリごとの特性に合わせた協力機関の拡大や評価項目の拡充を、企業意見も反映させながら推進して頂きたい。

3.3 薬事、知的財産関連施策等の推進

1) 背景・目指したい姿

世界に先駆けて革新的な医薬品や医療ソリューションを創出し、一刻も早く患者に届けるためには、薬事関連施策の推進が重要である。これまでに、先駆け審査指定制度や条件付き早期承認制度等の画期的な制度が導入され、特に再生医療分野においては、国内での研究開発の促進効果が明確になってきている。今後は、健康医療ビッグデータの利活用の進展や、予防・先制医療の必要性向上、遺伝子治療やソフトウェア・アプリ等の新規モダリティの登場など、研究開発環境の変化や技術進歩が予想されるため、引き続き薬事関連施策の積極的な取り組みが必要と認識している。

新薬創出の難易度が高まり研究開発費が増加し続ける中で、市場独占期間は非常に重要である。医薬品開発においては特許出願から製品上市までに長期間を要することから、上限5年の延長制度が措置されているものの、特許に基づく市場独占期間は短くなっている。特に新規モダリティを活用した革新的治療法の開発には巨額の研究開発投資と長期の研究開発期間が必要なことから、新たなデータ保護期間の付与制度の創設等が必要と考える。さらに、再生医療、AI・ビッグデータ等先端技術が適切に保護されるように知的財産制度の見直しが期待される。

国内のみならず世界における医療の質の向上にも寄与しつつ、医療分野の研究開発の発展につなげる好循環を生み出すため、国際的な薬事規制調和の推進及び各国における知的財産権の保護・投資制限の撤廃によって、日本発の革新的な医薬品や医療ソリューションを世界にいち早く届けるための基盤整備がより一層推進されることが期待される。現行の健康・医療戦略においても、国内の治験や申請等に関する規制・基準等への理解度向上と国際整合化に向けた取り組みを行うことが盛り込まれている。医療への高いアクセシビリティ、データの源泉となる医療機器・診断機器の技術水準の高さ、高齢者に多い疾患における研究開発の進みやすき等の日本の強みを活かし、日本が世界における薬事規制の議論において強いリーダーシップを発揮することが期待される。また、人種的・地域的・文化的に近く、市場として大きいポテンシャルを持つアジア諸国における取り組みの重要性が増してきており、アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターの取り組み等を推進し、最終的には、日本で承認されればアジアを中心とした世界各国で承認される仕組みの実現を期待している。日本政府が「インドと医薬品医療機器規制に関する協力のための覚書」や「ヘルスケアと健康分野における協力覚書」を締結・交換したように、今後も積極的な海外政府・規制当局との連携強化をお願いしたい。

2) 提案

(1) 国内薬事対応の充実、審査の効率化

- 医薬品の早期実用化を促進する制度の充実
 - 先駆け審査指定制度、条件付き早期承認制度の法制化

- サロゲートエンドポイントの確立などによる条件付き早期承認制度の対象疾患の拡大
- 特定臨床研究の結果の臨床試験への活用。例えば、希少がんに対する特定臨床研究の結果を利用した効能追加
- 技術進歩や健康医療ビッグデータに対応した柔軟な法整備（薬機法改正頻度、通知による早期明示等）
 - 抗体や核酸に次ぐ新規モダリティである遺伝子治療や、ソフトウェア・アプリ等、それぞれの特徴を適正に評価するためのレギュラトリーサイエンスへのタイムリーな取り組みと審査体制の早期構築
 - 健康医療ビッグデータやAIを活用した医薬品開発に対する薬事制度の早期整備（医療ビッグデータの対照群としての活用、RWDによる効能追加、医療ビッグデータのAI解析を用いたサロゲートエンドポイントの探索等）
 - RWDを用いたバイオマーカーの評価指標としての妥当性の評価（例えば臨床性能評価）及びこのようなバイオマーカーの条件付き承認制度での活用
- 審査・調査の更なる効率化
 - GPSP調査及びGCP調査の効率化。例えば、GLPの適合性調査と同様に、医薬品GPSP実地調査及びGCP実地調査においても調査対象（申請者、医療機関等）ごとに適合の判定を行い、一定の有効期間を設ける等
 - 専門協議における専門委員への検討依頼時期の早期化（重大な照会事項対応のため、審査と申請者とのより十分な議論時間の確保）

(2) 国際規制調和の推進と日本の薬事承認の国際標準化推進

- 日本当局の世界におけるリーダーシップの発揮
 - 国内で導入された先進的な制度の国際標準化戦略策定・推進（条件付き早期承認、ビッグデータ・AI対応等）
 - 日本当局による日本の規制の考え方、根拠の英文書発信
 - アジア全体に日本の薬事承認に対する簡略審査制度を導入するための連携、会議体の発足
 - ASEAN域内での医薬品規制に関する調和を達成する目的で設置された、ASEAN標準・品質諮問委員会医薬品ワーキンググループ（ACCSQ-PPWG）に対する日本当局の積極的な関与
- 国際的な健康医療ビッグデータの構築・利活用促進と、対応する薬事規制の整備
 - 多国間の安全性データ（市販後データ含む）の集約・分析の推進、日本のリードによる国際データベース構築
 - 日本発の患者レジストリの世界展開
 - 海外のレジストリやRWDの活用
 - 上記に代表される国際的な健康医療ビッグデータの利活用を促進するための薬事規制の整備等
- 国際共同治験の推進
 - ICH E17の積極的な活用・普及

(3) 研究開発投資を促進する適切な市場独占期間の確保及び知的財産権に基づく税制措置

- データ保護制度の創設
 - バイオ医薬品、再生医療等製品、小児・高齢者向けの医薬品、AMR 治療薬及びドラッグリポジショニング等の研究開発投資の促進
- 再生医療、AI・ビッグデータ等先端技術に係る特性を踏まえた知的財産制度の創設
- 知的財産から生じた所得に対する法人税の軽減を認めるパテントボックス制度の創設

(4) 国際的な知的財産権保護の促進

新興国・途上国においては、知的財産権が十分に保護されていない場合がある。投資環境を改善し、イノベーションを促進するためにも、知的財産権保護に向けた取り組みを推進するべきである。

- 知的財産権保護制度への理解促進
- 臨床試験データ保護制度の導入促進
- 特許期間延長制度の普及
- パテントリンケージ制度の普及

(5) 投資制限撤廃の推進

各国で現地企業保護・強制現地製造等の投資制限により、現地国民の革新的な医薬品へのアクセスが阻害されている場合がある。また、研究開発型製薬産業は限られた特許保護期間内にグローバル市場で投資を回収するビジネスモデルであるため、各国の投資制限はイノベーション阻害につながっている。そのため政府主導で各国の投資制限の撤廃を働きかけることが必要と考える。

これらの施策の推進により、世界に先駆けてわが国で新薬が使用されることを踏まえ、製造販売後安全対策の更なる充実が求められる。ついては、RWD の利活用による安全対策の充実や、再生医療等製品、小児向けの医薬品及び AMR 治療薬等の情報が集まりづらい医薬品についての再審査期間延長等の措置が必要と考える。



製薬協

日 本 製 薬 工 業 協 会

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町 2-3-11

日本橋ライフサイエンスビルディング

TEL, 03-3214-0326 FAX, 03-3241-1767

<http://www.jpma.or.jp>

2019 年 2 月作成