

分野個表

創薬エコシステム構築促進

目指す姿と解決すべき課題

- 医薬品研究開発の複雑性・専門性の高まりに対応できるような協業によるイノベーションが創出される「エコシステム」を構築し、我が国の創薬力の維持・向上や国民への革新的な医薬品の供給継続につなげる。
- そもそもエコシステムの根幹となる製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業の協業関係が十分に構築されていない。
- 研究開発の初期段階を担っているアカデミア・ベンチャー企業は、必要な資金の円滑な調達などの課題を抱えている。

対応の方向性

<エコシステムの原型となるコミュニティの形成>

- 特定のテーマに関心がある国内外の製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業が、気軽に、かつ、定期的に参集できるような場の構築などを通じたコミュニティの形成促進を検討。

<アカデミア・ベンチャーに対する資金面の支援>

- 複数の企業とアカデミアが連携し、基金（国費）と民間資金等からなる複数年度（最大5年間）のマッチングファンドによる研究開発支援を実施。
- 創薬に特化したハンズオン支援による事業化のサポートを行う機能を有するものとしてAMEDの認定を受けたベンチャーキャピタル（VC）による一定以上の出資を要件として、創薬ベンチャーが実施する実用化開発等を支援。

対応の方向性に基づくKPI

- 創薬、医療機器、再生医療等製品の各分野におけるベンチャー・アカデミアと大手企業のネットワーク構築イベントの実施数
- マッチングファンドによる研究開発に要した総事業費
- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業における創薬ベンチャーの採択件数

バイオ医薬品・再生医療等製品の進展①

目指す姿と解決すべき課題

- 成長領域として重要性を増すバイオ医薬品、その革新性に注目が集まる再生医療等製品について、我が国において研究開発・上市が加速することで、医薬品産業の成長と国民の健康水準の維持・向上につなげる。
- バイオ医薬品や再生医療等製品の研究開発に当たっては、求められる技術の専門性などからアカデミア・ベンチャーの活躍が特に求められるが、これらの者と製薬企業の間で密接な関係が十分には構築できていない。
- バイオ医薬品について、国内での開発事例の少なさもあいまって、バイオ製造設備・部素材・製造開発人材を有する企業は限られており、バイオ開発・製造人材が国内に十分には存在しない。
- 再生医療等製品は、工程や製剤の複雑性から、実用化・産業化の過程などで知的財産や規制の問題が顕在することがあるなど、出口を見据えた研究開発が求められる。

対応の方向性

<エコシステムの原型となるコミュニティの形成>

- 特定のテーマに関心がある国内外の製薬企業・アカデミア・ベンチャー企業が、気軽に、かつ、定期的に参集できるような場の構築などを通じたコミュニティの形成促進を検討。

<バイオ医薬品やその製造に不可欠な部素材の製造拠点整備>

- 今後の変異株や新たな感染症への備えとして、製薬企業やCDMO/CMOにおいて平時は企業のニーズに応じたバイオ医薬品を製造し、有事には官の要請によってワクチン製造へ切り替えられるデュアルユース生産設備に加え、バイオ医薬品製造に不可欠な部素材の製造拠点等の整備を進める。

<バイオ医薬品の製造・開発に係る人材育成>

- バイオ医薬品の製法開発や分析、製造、薬事などを担う人材育成のために実施している研修について、製薬企業の協力も得つつ、新規モデルへの展開や研修機会増加、実技研修の場の多様化、さらにバイオ製造・開発人材のすそ野を広げるため、就学中の者へ人材育成することなどを検討。

バイオ医薬品・再生医療等製品の進展②

対応の方向性

<出口を見据えた研究開発支援>

- 今後の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進に向けて、疾患iPS細胞研究やリバーズ・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）の推進、CMO/CDMO事業者との連携支援、海外事例も参考にしつつ実用化に向けた知財対応等の伴走支援の充実等の切れ目ない支援を通じて、開発の早期より出口を見据えた研究開発を実施することを検討。

対応の方向性に基づく K P I

- 創薬、医療機器、再生医療等製品の各分野におけるベンチャー・アカデミアと大手企業のネットワーク構築イベントの実施数
- ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業における採択件数
- バイオ医薬品の人材育成研修の回数や受講者数
- 知的財産等に係る伴走支援の件数

研究開発データ基盤等の整備に向けた取組①

目指す姿と解決すべき課題

- 医療情報が医療分野の研究開発につながることで、疾病メカニズムの解明や新たな医薬品等の開発やヘルスケアサービスの充実が実現され、国民一人ひとりが受けられる医療等の質が向上する。
- 医療情報の収集を個々の企業ですべて行うことは困難であり、国による環境整備が必要。
 - ・ とくに、遺伝子レベルの研究に基づく個別化医療が今後の革新的医薬品の主戦場となるところ、ゲノム情報の収集・解析を通じて、がんや難病患者等により良い医療を提供することが求められる。
 - ・ また、信頼性のあるリアルワールドデータを創薬等へ利活用する上で、疾患別に整備されたレジストリは重要。
- 医療情報を医療分野の研究開発につなげるには、制度的に、個人情報保護の観点から前提とした、効率的な提供環境が必要。

対応の方向性

<データ基盤の充実>

- 「全ゲノム解析等実行計画」の着実な実行を通じたゲノム情報の収集・解析
 - ・ がん・難病に関して、先行解析での検討を踏まえ、令和4年度から新規症例を対象に本格解析を実施。
 - ・ 詳細な経時的臨床情報の収集や、全ゲノム解析と併せたマルチオミックス解析の実施といった戦略的データ蓄積を実施。
 - ・ 蓄積データを用いた研究・創薬等を推進するため、アカデミアや産業によるフォーラムの構築や、事業実施組織によるデータ利活用のための基盤の構築等、必要な体制を整備。
- AMEDの研究開発データ活用のための連携基盤（CANNDs（※））の構築 ※AMEDデータ利活用プラットフォーム
 - ・ 利用者目線に立った使いやすくわかりやすい手続きやインターフェース（I/F）を整備、ワンストップサービスを提供。
 - ・ 早期のデータ活用が期待されるゲノム分野で、個人情報保護やセキュリティ確保に留意した5拠点（※※）間の連携を実現。
※※ 東京大学医科学研究所、東北メディカルメガバンク、国立遺伝学研究所、国立がん研究センター、国立国際医療研究センター
 - ・ ゲノム以外のデータに関する上記5拠点以外からの収載・連携も視野に、構築当初から拡張性の高い基盤・運営体制を設計。

研究開発データ基盤等の整備に向けた取組②

対応の方向性

- レギュラトリーサイエンスに基づく、疾患登録情報を用いて効率的な治験が実施できる環境の整備
 - ・ 疾患登録システム（レジストリ）の疾患登録情報を活用した臨床研究・治験を推進。
 - ・ 企業による疾患登録情報の利活用に向け、アカデミアと企業とのマッチングを実施し、企業ニーズに応じたレジストリ改修を支援。

<医療情報を活用できる環境整備>

- 健康・医療の先端的技術の開発、創薬等に向けた医療情報の保護と利活用に関する法制度等の在り方の検討
(主な検討事項)
 - ・ 学会等が保有する質の高いレジストリデータを仮名化した上で製薬企業に提供し、医薬品の研究開発に活用するようなケースを想定し、同意・撤回手続の明確化や利用目的の適正性の確保等による個人の保護を図りつつ、データを積極的に利活用する法制度の在り方
 - ・ 医療研究の現場ニーズ^(※1)に的確に応えるため、次世代医療基盤法の認定事業者^(※2)と利活用者におけるデータの取扱いを見直すことにより、有用性の高いデータを提供できるような匿名化のあり方
 - (※1) ①希少な症例についてのデータ提供、②同一対象群に関する継続的・発展的なデータ提供、③薬事目的利用の前提であるデータの真正性を確保するための元データに立ち返った検証 等
 - (※2) 厳格なセキュリティ基準に基づき主務大臣からの認定を受けた事業者。患者本人の同意に替え、事前通知により、医療機関から医療情報を顕名で収集し、匿名加工して企業等へ提供することが可能。
 - ・ 多様な医療情報の連結・収集に向け、NDB（全国データベース）などのビッグデータとの連結に向けた検討や急性期病院以外の医療機関や自治体等のデータ収集を促進する方策 等

対応の方向性に基づく K P I

- 健康・医療の先端的技術の開発、創薬等に向けた医療情報の保護と利活用に関する法制度等の在り方について検討・結論
- それぞれのデータ基盤に関する医療情報の収集規模、利活用件数

臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化①

目指す姿と解決すべき課題

- 治験における新たな解析手法や実施手法の導入や再生医療等製品の承認事例の増加等により、以下のような課題が顕在化しており、産官学での最新の知見の共有や運用の明確化に向けた対話の促進により、開発の予見性の向上、研究開発の推進を図る。
- 諸外国で実装が始まっている患者の来院に依存しない治験（分散化臨床試験）導入に向けて、ルール作りや運用上の課題の検討が必要。
- 細胞等を用いるため品質が均一でなく、有効性の確認に時間がかかる等の再生医療等製品の特性を踏まえた審査の要件等の明確化が必要。
- 産業界のニーズ（例えば、症例集積能力の向上や治験コストの不透明）を踏まえた治験実施環境の更なる整備が必要。
- 治験の計画立案や結果の解析を行う生物統計家等の人材が海外に比べて不足しており、産官学協力の下での育成が必要。

対応の方向性

<薬事における運用の明確化>

- 分散化臨床試験の導入に向けたルール作り
 - ・ オンライン治験を行う際のデータの信頼性確保等に際して、治験依頼者等が留意すべき点について、ガイダンスの策定を行うことで実施に向けた予見可能性を向上。
 - ・ 運用上の課題である治験依頼者から被験者への治験薬の直接配送の可否について検討。
- 開発の予見性の向上に資する再生医療等製品の承認審査において求められる要件や考え方の検討
(主な検討事項)
 - ・ 再生医療等製品の特性を踏まえた承認審査等における要件・考え方の明確化
 - ・ 新規モダリティ医薬品等の開発のための生物由来原料基準の見直しや運用の改善の促進 等

臨床試験の効率化や承認審査のさらなる迅速化②

対応の方向性

<産官学での連携を通じた最新の知見の共有>

- 臨床研究中核病院等の拠点整備
 - ・ 産業界のニーズを踏まえた治験環境の整備につなげていくため、産業界と臨床研究中核病院による対話の場を設け、治験を巡る様々な課題について問題意識の共有や国内外の先進的な取組の周知を実施。
- 生物統計家等の人材育成
 - ・ 産業界と行政、臨床研究中核病院との情報共有の場等を通じて、職種毎に求められる人材像（専門知識等）やその規模を明確化。
 - ・ ニーズに即する新職種の育成や定着にむけて産官学で連携して取り組むための検討の場を創設。

対応の方向性に基づく K P I

- 分散化臨床試験
 - ・ オンライン治験の信頼性確保関係（ガイダンス策定）：令和4年度措置、直接配送の可否についての検討：令和4年度検討・結論
- 再生医療等製品の承認審査において求められる要件や考え方の検討
 - ・ 承認審査等における要件・考え方の明確化：通知・事務連絡（Q&A等）による明確化
 - ・ 生物由来原料基準の見直しや運用の改善の促進：関係法令の改正及び通知・事務連絡（Q&A等）による明確化 等
- 医薬品や再生医療等製品を開発する業界団体と臨床研究中核病院による情報交換のための会議について、令和4年中に第1回を開催。以後、定期的を開催。