

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

第41回 厚生科学審議会臨床研究部会

令和7年3月19日

厚生労働省医政局研究開発政策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

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。

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

1. 国際競争力のある臨床研究・治験体制の強化

主な意見等

- 国際共同治験のためのワンストップ窓口については、設置するだけでは治験の誘致はできないため、我が国において必要な医薬品を調査し、他機関とも連携しながら、積極的に国内での治験の実施を誘致していくことが重要である。
- 他国がどのように治験、臨床研究、シーズを誘致しているのかを観点に入れるとよい。
- 外資系企業や新興バイオ医薬品企業（EBP）は、医療機関のパフォーマンスに加えて、治験責任医師の科学的レベルやネームバリューを評価して治験責任医師や実施医療機関を選択している。日本への治験の依頼、契約を増やすためには、医療機関の医師や研究のレベル、世界的な評価を上げる必要がある。

ヒアリングにおける主な意見

- 海外では参加者向けの資料以外は英語での受け入れが進められており、グローバルに通用する体制として、英語資料の受け入れ・共通言語化を進めることが重要。英語で治験ができるようになれば、日本中心の国際共同治験の実施などのチャンスにもつながっていく。（EFPIA/PhRMA/日本製薬工業協会 近藤委員）
- 海外の製薬企業やEBP、海外CROが、国際共同治験に日本を組み入れたいと思えるような環境を作って、それを積極的にアピールしていくことが重要。また、韓国のKoNECTのような産官学連携のコンソーシアムを作ることで、日本の治験促進に寄与することができる。（日本CRO協会 藤枝参考人）
- アカデミアや企業発のシーズを早期探索的試験、First-in-Human（FIH）試験を通じて、後期相につないでいくことが重要であり、がん、神経、小児、感染症、医療機器といった領域、あるいは陽電子放射断層撮影（PET）などの設備のアドバンテージをいかすようなFIH試験の体制整備が必要。（浜松医科大学 渡邊参考人）
- 我が国で臨床POCを迅速に取得し得る環境づくりを率先して進めるべき。POCを取得した製品の海外展開を積極的にサポートする体制を構築し、日本が世界の医療に貢献していくことが、最終的にはドラッグ・ロスの対応につながるのではないか。（浜松医科大学 渡邊参考人）
- 国際共同試験に積極的に参加するためには、国際的に認知されるキーオピニオンリーダーを育て、研究者間のネットワークを太くしていくことも求められる。（浜松医科大学 渡邊参考人）

2. 症例集積性の向上①

主な意見等

- 分散型臨床試験（DCT）に対する取組を充実させていくことは非常に重要。企業治験も含めて、サテライト施設での治験業務分担ができるようになっていくと、症例集積性を高めるだけでなく、患者にとっても利便性が高くなり、治験という機会が広く提供できるようになってくる。
- DCTの推進については、被験者目線でも今後大切になってくると思う。
- ウルトラオーファンと呼ばれる領域や神経難病、自宅で療養している方々がたくさんいるALS、そのほかの変性性神経疾患のような領域では非常に有効な治験の方法であるが、DCTを導入するだけで、全ての疾患の治験が推進できるとは思わない方がよく、得意な領域とそうではない領域を分けて考えるべき。
- 各製薬企業ごとにDCTのシステム・ソフトが異なると、各医療機関がそれぞれのシステムへの対応が必要になり、コストが上がってしまうようなことが懸念される。

ヒアリングにおける主な意見

- 希少疾患などの症例集積のためには、グローバルとの協働が必要であり、国境を越えたパートナー医療機関を活用できるようにすることで、日本の創薬力強化とグローバル貢献につながってくるのではないかと。（EFPIA/PhRMA/日本製薬工業協会 近藤委員）
- 国際共同試験のプロトコルでは、DCTを組み込むケースが増えており、日本がDCTに対応できる体制を整備する必要がある。一方で、DCTは臨床試験を実施する手段の1つであり、臨床試験を実施する上でDCTが効果的かどうかの吟味も必要。また、DCTで得られたデータの品質の確保や遠隔モニタリングで有害事象の発見が遅れるといったことがないような体制を作るべき。（浜松医科大学 渡邊参考人）
- 希少疾病の多くは小児発症であり、小児科領域の開発促進のためには、オールジャパン体制と国際連携が必須。一医療機関で全ての希少疾病に対応することは不可能であるため、共通基盤としての方法論等の助言・支援や体制・連携体制整備などの支援が重要である。（国立成育医療研究センター 中村参考人）
- 小児を対象とした医師主導治験の問題点として、治験デザインの難しさ、小児剤形の問題、研究費不足等があり、小児治験に精通した「専門家チーム」のアドバイスを受ける必要がある。（国立成育医療研究センター 中村参考人）

主な意見等

- 医療情報の医療機関間の連携を推進していく必要がある。
- 質の高いレジストリを継続的に運用していくには、国として何らかの継続的な支援が必要である。
- 電子カルテのデータの中には、医療機器を特定するようなデータはないが、医療機器を特定するコード（UDI）があり、安全対策の観点でそのコードをデータベース化する動きがあるので、今後連携を検討してほしい。
- RWDに過度に期待しすぎである。電子カルテの標準化が終わらないと全く使えないし、仮名加工情報にしても使えるとは思えない。
- RWDについては、既にあるデータの利活用を進めていくことも重要。国レベルで集めているデータもあるが、使いづらい状況であることを現場からよく聞く。国で持つデータや、商業的なデータにはどのようなものがあり、どのようにユーザーにつなげていくのか、調査と周知をして欲しい。最近は商業用のデータベースもたくさん出ており、アクセスもしやすいので多くの臨床研究に使われてきているのではないか。

ヒアリングにおける主な意見

- 治験での症例エントリーが非常に難しい疾患や希少疾病に対しては、レジストリやRWDも含めた各種のデータベースを使って、エントリーを容易にする仕組みがあれば、特に海外のEBPIにとって、日本に来るための大きなインセンティブになる。（日本CRO協会 藤枝参考人）
- 教師データ収集を含むAI機器開発などは、医療情報を二次利用した臨床研究とみなされ、個人情報保護法や倫理指針等の遵守が必要になる。複数の法令調査や解釈が難しい状況なため、研究開発を進めやすい環境整備を早期にお願いしたい。（日本医療機器産業連合会 谷岡委員）

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

2. 症例集積性の向上③【国民・患者の理解や参画促進】

主な意見等

- 国民の臨床試験の理解を向上する取組を推進する必要がある。
- 海外ではリサーチマッチという各大学病院をつないだネットワークを作っており、それを患者さんが見られる仕組みがある。また、医療機関の治験の情報と、患者さんの疾患と薬剤情報、通える距離をマッチングして、紹介するというようなICTを活用した仕組みもどんどん広まっている。日本は特に臨床試験の情報が患者に対して見えづらいと思う。
- jRCTは患者にとって検索しにくいのが現状。jRCTに登録されている内容が患者向けの平易な言葉ではない部分も課題であるので、企業としても患者に分かりやすい内容になるように取組を進めたい。
- 海外と比べて、治験や開発に対する国民・患者の理解が異なるので、理解を深めることが重要。また、アクセスしやすい環境作りとして、スマートフォンで扱いやすい情報にすることが重要になっていく。
- 患者・市民参画（PPI）が研究者等に理解されていないと感じる。AMEDの研究計画書にもPPIに関する任意記載欄があるが、ほとんどPPIに触れられていない、あるいは誤った認識をされている。研究者に対してPPIとは何かを啓発する方策を考えていかないと進まないのではないかと。

ヒアリングにおける主な意見

- 臨床研究中核病院において、患者・市民との協働によりレイプロトコルシノプシス、レイサマリー、説明・同意文書の補助資料の作成や実施の支援をしてみてもどうか。（一般社団法人ピー・ピー・アイ・ジャパン 八木参考人）

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

3. 臨床研究・治験手続きの効率化

主な意見等

- AIやマシンラーニングの活用について検討が必要である。
- ICH-E6 GCP（医薬品の臨床試験の実施基準）の改定を踏まえた取組の検討が必要。
- できるだけデータの二重入力をなくして、治験現場の業務負担と開発コストの低減にも寄与するような仕組みが、国際競争力の強化にもつながってくる。
- Commercial IRBに関して、委員会の質や透明性の担保に課題がある。依頼者がいなければCommercial IRBは成り立たないことから、依頼者に寄ってしまい利益相反（COI）の問題が生じる可能性がある。丁寧な調査研究をした上で検討する必要がある。
- 臨床開発モニター（CRA）の人手が多くかかっているところを改善するためには、個々の医療機関での審査から中央IRB化することがマスト。医療機関での病院長の役割など、制度も大きく見直さないと、医療機関の作業は逆に増えてしまう可能性がある。
- 特殊な領域やモダリティも増えている。審査できる専門家がないIRBを提示されることもあり、小児や再生医療等製品など特殊な領域のものに関してははっきり審議できるIRBを指定する考え方も必要ではないか。

ヒアリングにおける主な意見

- 今回のGCPリノベーション(ICH-E6(R3))を機会に、考えるGCP、またリスク・重要な事項に集中できるような取組を進める必要がある。（EFPIA/PhRMA/日本製薬工業協会 近藤委員）
- 原資料記録とEDCへの転記の二重入力は、現場の業務負荷が大きく、開発コスト増大の一因。原資料を電子化し、国際標準のフォーマット（HL7 FHIRなど）で電子カルテとEDCシステムをデータ連携するような仕組みの整備を進めることが重要。（EFPIA/PhRMA/日本製薬工業協会 近藤委員）
- AI/マシンラーニングの活用によるリスクや課題の検討など、有効に活用できるように現段階から準備を進める必要がある。（EFPIA/PhRMA/日本製薬工業協会 近藤委員）
- 治験依頼者と治験実施医療機関の間の契約書テンプレートの統一化も進めて欲しい。（日本CRO協会 藤枝参考人）
- 臨床試験実施体制や手続き等に関する規制をシンプルにしつつ、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とすることが、医療現場の負担を減らし、新たな医薬品・医療機器への早期アクセスにつながるのではないか。（日本医療機器産業連合会 谷岡委員）

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について

4. 臨床研究・治験コストの透明性の向上

主な意見等

- 国際競争力の観点からも、日本の独自性を最小限とし国際整合性のとれた治験費用にしていくことは重要であり、国際共同治験を実施する依頼者は、Fair Market Value (FMV) に基づくタスクベースの治験費用算定をすぐにも導入すべき。
- 算定の基礎となるタスクについて、各ステークホルダーが同意・納得していることが大事。タスクの明確化も含めて引き続き産官学で議論を進めて欲しい。
- FMVが進まない要因としては、費用を手動でカウントしている面もあると思うので、医療機関においても、来院履歴を残せば自動でカウントできるようなDX化は必要と感じる。
- スタッフもたくさんいて常に治験業務があるような大規模な医療機関と、治験の数が少ない中小規模な医療機関では、例えばアイドリングタイムの評価の方法も変わってくるので、FMVに基づくタスクベースの治験費用算定の導入を検討するにあたってはそのような違いも考慮して欲しい。
- 海外から治験を呼び込まないとドラッグロスの解決は難しく、費用の透明化は重要。アーリーフェーズと第III相では費用が変わってくるため、FMVに基づく治験費用算定を導入する上では、費用算定に差をつけるべき。
- 保険外併用療養費の算定について、医療機関ごとにばらばらで運用している状況であるため、運用を統一化することで海外のベンチャー等が入りやすくなると思う。保険外併用療養費は日本が世界に勝てるポイントの1つであるため、世界に宣伝できるようにして欲しい。

ヒアリングにおける主な意見

- 医療機関費用とSMO費用を混在させず、医療機関費用について、ポイント表からFMVに基づく費用算定に移行していくことがよいのではないか。（日本SMO協会 坂崎参考人）
- FMVに基づく費用算定を進めるにあたっては、小児治験特有の事情も踏まえた検討をして欲しい。（国立成育医療研究センター 中村参考人）

主な意見等

- 研究を支援するスタッフの育成は行っているが、定着が課題。
- 修了証発行実績ではなく、研修を受けた人がどのくらい臨床研究や治験に関与でき、それで治験数が増えたや、効率化されたかなど、アウトカムを評価する指標に変えていくべき。給与の俸給表に反映してあげるなど、インセンティブをつけないとなかなか浸透しない。
- 日本では通常診療や他の業務に負荷するような形で、臨床試験業務を実施している状況にある一方で、臨床試験を実施するインセンティブが現状ない。資格制度の検討や報酬面での改善をもっと検討してもいいのではないかな。
- 臨床研究従事者はキャリアトラックも十分に整備されておらず、病院の中でのプレゼンスが非常に低い。臨床研究を行う意義を周知し、医療機関の臨床開発に対するリテラシーの向上をしないと環境整備は進まない。
- 病院の一般の看護師や検査技師、薬剤師をトレーニングして、病院全体として臨床研究・治験に関する意識を変えていかないと、今後国際競争に負けるだろう。

ヒアリングにおける主な意見

- 働き方改革及び医療機関の経営状況の悪化により診療に従事する時間が優先され、研究時間の確保が難しくなっており、これを解決する方策が必要と考える。（臨床研究中核病院連携協議会 花岡参考人）
- 研究支援人材に対するキャリアパスにつながるシステムの導入が必要である。一部機関ではキャリアパスの評価制度を導入しているが、一般的に社会的な認知度は著しく低い。また、AROの給与の低さは、人材の育成及び雇用に大きく影響し、人材の流出につながるためこれを解決することが必要。（臨床研究中核病院連携協議会 花岡参考人）

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について 基本的な考え方（案）

我が国の臨床研究・治験の推進に係る基本的な考え方については、以下のように整理できるのではないかと。

1. 国際競争力のある臨床研究・治験体制の強化

- ・日本の創薬力の向上のため、世界に通用する臨床試験成績をいち早く取得できる国際レベルの臨床研究・治験が実施できる体制強化を行い、日本の臨床研究・治験体制の世界的な評価を上げる必要がある。

2. 症例集積性の向上

- ・分散型臨床試験（DCT）を実施可能な体制の整備、レジストリ・リアルワールドデータ（RWD）利活用の促進等により、国内の臨床研究・治験ネットワークを強化し、症例集積性を向上させることが重要である。

3. 臨床研究・治験手続きの効率化

- ・臨床研究・治験の実施にかかるコスト削減のため、中央IRBの推進、AIやマシンラーニング等の利活用による臨床研究・治験プロセスのDX化等により、手続きの効率化を進めていくことが重要である。

4. 治験コストの透明性の向上

- ・適正な費用算定及び国際競争力の観点から、企業治験について、Fair Market Value（FMV）に基づく費用算定の考え方の推奨を行いつつ、海外で広く用いられているFMVに基づくタスクベース型の費用算定の国内導入を進めていく必要がある。

5. 医師や研究支援人材の育成・研究従事者へのインセンティブ

- ・医療機関における臨床研究・治験の体制を強化するため、医療機関における臨床研究・治験に対するリテラシーの向上を行い、臨床研究に従事する医師等に対するインセンティブの設定、臨床研究支援人材のキャリアトラックを整備していく必要がある。

6. 臨床研究・治験に対する国民・患者の理解・参画促進

- ・国民・患者の理解促進のため、国民・患者が必要とする情報にアクセスしやすい環境作りを進めていくとともに、患者・市民参画（PPI）の啓発を行っていく必要がある。

臨床研究・治験推進に係る今後の方向性について スケジュール（案）

2024年9月4日

部会での議論開始

2024年10月～2月

項目毎に議論・関係者ヒアリング

月1回程度開催

2025年4月～5月

とりまとめ案について議論

2025年5月目処

とりまとめ公表

- 参考資料

「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」 内容

＜背景＞

平成27年に臨床研究中核病院を医療法（昭和23年法律第205号）に位置付ける等の臨床研究・治験を取り巻く環境の変化

＜対応＞

厚生科学審議会臨床研究部会において、今後の臨床研究・治験活性化施策について議論し、以下の通り、臨床研究・治験の推進に係る五つの基本的考え方をまとめた。

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
- 質の高い医療の提供には、市販された医薬品同士を比較し診療ガイドラインの改善につなげることや、医薬品を用いない手術・手技に係る研究など、診療の最適化に係る臨床研究も行うこと

II 人材育成の強化と財政的リソースの効率化

- 研究実施に加え、研究開発を支える人材育成を強化するとともに、人材等のリソースをより一層効率的に活用すること
- 臨床研究中核病院とその支援先機関に求められる役割や体制を整理するとともに、研究者及び研究支援人材の質向上も含め、研究開発の効率性を高めること

III リアルワールドデータの利活用促進

- 質の高い診療・研究の実現や、特に高い資源投入が要求される開発後期の臨床試験規模の適正化等を図るため、欧米と同様、薬事分野をはじめとして、リアルワールドデータの利活用を促進すること

IV 小児疾病・難病等の研究開発が進みにくい領域の取組

- 既存の臨床研究中核病院や製薬企業等による取組の下では、必要とされる研究開発がなかなか進まない疾病領域、すなわち小児疾病や難病等の重要な領域の臨床研究・治験に関して、国として、領域を特定した取組を行うこと

V 国民・患者の理解や参画促進

- 国民・患者の臨床研究・治験への理解や参画が十分でないことも臨床研究・治験を進める上で課題となっているとの指摘
- 国民・患者の臨床研究・治験に関する理解や参画を促す取組を行うこと

○ その他

- 臨床研究法の運用改善
- 認定臨床研究審査委員会の質の平準化
- 一般の立場から意見を述べる委員及び意見集約を行う委員長向けの研修
- 特定臨床研究の薬事活用
- 国際共同臨床試験の体制整備など