

治験活性化5カ年計画」が策定され、当該計画に従って治験等の各種施策に取り組んでいるところである。平成19年度までに16課題の医師主導治験課題を採択し、11課題について治験届を提出している。

なお、具体的には、

- ・ クエン酸フェンタニル（新生児及び小児の全身麻酔の補助）、沈降不活化インフルエンザワクチン（H5N1型）など3品目について薬事法上の承認を取得した。
- ・ フェノバルビタール（新生児けいれんに対する新投与経路・新剤型開発）、塩酸ベプリジル（持続性心房細動）、アルガトロバン（ヘパリン起因性血小板減少症）の3品目につき薬事承認の申請を行った。

などが成果として得られている。

また、これまでに治験インフラの整備を実施するために大規模治験ネットワークを形成し（平成20年3月31日現在の登録医療機関数は1,457施設）、同ネットワークを活用し、上記の医師主導治験を実施している。このように一般的な企業等が開発に着手しにくい一方、保健衛生上極めて重要な医薬品の有効性、安全性の確認のために本事業が有効に活用され、それが着実に薬事承認等の実用化に結びついている。

（臨床研究基盤整備推進研究）

本事業は、平成19年4月より実施している「新たな治験活性化5カ年計画」における重点取組事項の一つである、中核病院等の治験推進のための医療機関の体制整備に係る事業であり、臨床研究機関については、がん、小児、循環器分野の他、治験や臨床研究の実績のある施設から10施設を選定し、これらの施設において、臨床研究に携わる人材（医師、コーディネーター、データマネージャー）を雇用して、研修や研究実施支援を実施するとともに、臨床研究部門の整備、審査体制の充実、データマネジメントシステム及び進捗管理システムの構築などを行っている。

（基盤整備型実施病院）

慶應義塾大学病院（H18～）、国立がんセンター（H18～）、国立成育医療センター（H18～）、国立循環器病センター（H18～）、国立病院機構本部（H18～）、北里大学医学部附属病院（H19～）、千葉大学医学部附属病院（H19～）、大分大学附属病院（H19～）、国立精神・神経センター（H19～）、国立国際医療センター（H19～）

治験等に係る人材育成等を充実させるために各種研究を実施する教育研究機関5施設を選定し、臨床研究機関と連携して、臨床研究に携わる人材の教育ニーズや実態調査を踏まえた教育プログラムや学習教材の開発と作成を行い、ホームページ上で公開するほか、作成した教育プログラムを学部教育やOJTで実践することにより、臨床研究への理解促進につなげ、当該プログラムの普及を図っている。

（教育型実施機関）

国立がんセンター研究所（H18～）、京都大学大学院医学系研究科（H18～）、滋賀医科大学（H18～）、北里大学薬学部（H18～）、聖マリアンナ医科大学（H19～）

（臨床研究・予防・治療技術開発研究）

本研究事業は、平成20年度に組み替えを実施しており、当該事業での成果は報告されていないが、組み替え前の「臨床試験推進研究」において、次のような成果が報告されている。

- ・ 胎児治療法を確立することが期待されている三つの胎児疾患〔双胎間輸血症候群（TTTS）、胎児胸水、胎児頻脈性不整脈〕に対する治療法の有効性・安全性を評価する臨床試験を実施して、三つの胎児治療法を臨床的に確立した。
- ・ 患者数が少なく、企業の開発が困難である希少疾病用の医薬品に関して臨床試験を実施し、適切な医薬品の組み合わせに基づき治療する必要性を示した。
- ・ 小児がん領域（小児急性リンパ性白血病）における寛解導入療法と早期強化療法の有効性・安全性に関する検討試験を行い、登録した全150例を厳密に評価した結果、寛解導入率97%が得られたことから、当該レジメンの有効性が世界標準に比肩することが確認できた。

**(臨床疫学基盤整備研究)**

本研究事業は、平成 20 年度より開始された事業であり、まだ成果は報告されていない。

**(臨床研究支援複合体研究)**

本研究事業は、平成 20 年度より開始された事業であり、まだ成果は報告されていない。

**(基礎研究成果の臨床応用推進研究)**

基盤研究成果の臨床応用に向けて、研究課題の公募を行い、専門家等による評価により支援課題を決定している。なお、平成 19 年度の研究成果として、

- ・ 「国産新規ウイルスベクターを用いた重症虚血肢に対する新 GCP 準拠遺伝子治療臨床研究」において、無血清培養下での血管内皮前駆細胞分画の分化・増幅誘導を目指した体外培養法の完成や、GPC の標準手順書及び臨床試験全体のプロトコルの作製もほぼ完了し、臨床研究の申請段階にはいることが可能となった。
- ・ 「長寿命型人工関節の臨床応用推進に関する研究」において、関節摺動面を構成する金属表面の MPC ポリマー処理方法の確立、MPC ポリマー処理したポリエチレン表面の生体内安全性（復帰突然変異試験、コロニー形成阻害試験、染色体異常試験、感作性試験、急性毒性試験など）について確認した。
- ・ 「経鼻粘膜投与型インフルエンザワクチンの臨床応用に関する研究」において、経鼻投与型インフルエンザワクチンの臨床応用に向けサル等での感染防御効果、交叉防御効果が示され、シーズナル、新型それぞれに対応したワクチン候補株の選定を行うとともに、ほぼ全ての亜型の系列保存も終了した。
- ・ 「咽頭冷却による選択的脳冷却法の臨床応用を目的とした研究」において、脳温の低下幅に影響を与える咽頭冷却カフの至適灌流速度及び至適灌流圧を決定するとともに、冷却水灌流装置の各ユニット（送液、熱交換、リーク検出など）の開発をした。

といった成果が報告されている。

## 2. 評価結果

### (1) 研究事業の必要性

優れた医療を国民に提供する上で、治験を含む臨床研究は極めて重要な役割を担っている。他方、我が国においては、臨床試験の実施体制及びその基盤の脆弱さが指摘されている。本研究事業は、これらの状況を鑑み、我が国における臨床研究を推進するため、「基礎研究成果の臨床応用推進研究」、「治験推進研究」、「臨床研究基盤整備推進研究」、「臨床研究・予防・治療技術開発研究」、「臨床疫学基盤整備研究」及び「臨床研究支援複合体研究」の研究事業により、臨床研究に関する環境の充実・強化を図るものである。

なお、個別の事業に関する必要性については、以下のとおり。

**(治験推進研究)**

医薬品が上市されるためには治験が不可欠である。我が国における治験の実施状況を見ると、最近やや回復傾向にあるが、90 年代初めと比較すると治験届出数は減少しており、我が国で治験が実施されない状況（治験の空洞化）にある。平成 19 年度より「新たな治験活性化 5 年計画」を実施することにより治験・臨床研究を推進することとしており、「科学技術基本計画」においても、治験環境の充実・整備が述べられており、当該研究事業は推進する必要がある。また、欧米では標準的に使用されている医薬品・医療機器であるにもかかわらず、日本国民がアクセスできないものが存在しており、早急な対応が求められる。これらの医薬品等は海外における臨床データはあるが、国内で安全性を確認するための臨床試験データがない状況にあり、新たに治験を行う必要があるが、これらの医薬品等の多くは、市場性が低い企業での努力だけでは必要なデータを収集することは難しく、モデル事業として医師主導治験を行い医療上必要な医薬品等について、早期承認に結び付ける必要がある。

**(臨床研究基盤整備推進研究)**

当該事業は、我が国で行われる臨床研究の質の向上を目標に、医療機関・教育機関等の臨床研究を支える基盤の整備を主に人材育成の観点から効率的に行うことを目指している。臨

床研究の支援体制の整備については、「科学技術基本計画－ライフサイエンス分野」において戦略重点科学技術の研究開発内容に位置付けられており、さらに、治験を含む臨床試験の基盤を整備し、優れた臨床試験を実施することにより、我が国発のエビデンスの創生及び構築が図られるため、科学的インパクトは大きいと考えられ、必要性は高い。また、本事業では、実用化促進を図るため、企業との共同研究を勧奨しており、臨床研究の更なる推進が見込まれることから必要性は高い。

(臨床研究・予防・治療技術開発研究)

本事業は、平成20年度より、それまでの臨床研究推進研究及び他事業の介入的臨床研究を集約し、標準診断・治療法の研究、臨床的エビデンスの作成に係る介入研究的臨床研究(生活習慣病対策、免疫アレルギー疾患予防・治療、長寿科学、こころの健康科学、ワクチン開発、統合医療)をカバーする第二期トランスレーショナルリサーチとして総合的な臨床研究推進事業に改編したところである。

また、本事業では、実用化促進を図るため、企業との共同研究を勧奨しており、臨床研究の更なる推進が見込まれることから必要性は高い。

(臨床疫学基盤整備研究)

本事業は、患者背景データ等の臨床疫学の基礎となる分野別の疾患の診療・処方実態情報などの診療コホートや薬剤疫学で利用可能なデータベース構築を行う研究事業であるが、我が国ではそのようなデータベースが十分に整備されていないため、疫学研究において諸外国と比べ利用できるデータに限られ、研究の進展に支障を来しているという実態がある。これを改善するため、患者背景データ等の分野別の大規模コホートのデータベースの構築や薬剤疫学データに関する評価方法の研究を行うものである。これにより、臨床疫学研究が推進され、当該結果より新たな医薬品・医療機器や治療法の発見に結びつく可能性が見込まれるため、必要性は高い。

(臨床研究支援複合体研究)

臨床研究を積極的に実施する医療機関同士が連携を図ることで、共同研究の実施や情報の共有、活用が可能となり、さらなる臨床研究の推進が期待できるものであり、当該事業において人材育成によりハブ機能を有する医療機関ができ、臨床研究における計画作成相談の提供なども含め、臨床研究が円滑に実施されるので、必要性は高い。

(基礎研究成果の臨床応用推進研究)

民間企業は治験等の実用化直前の研究に多く投資する傾向があり、基礎研究成果の実用化の可能性を確かめる研究については投資が少ないため、基礎段階における研究成果が十分に活用されないという問題がある。本事業では、基礎的な段階に留まっている研究成果について実用化を促進することにより、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会が増加することが見込まれるものであり、その必要性は高い。

また、「科学技術基本計画」において、臨床研究への橋渡し研究の推進が述べられており、当該事業を推進する必要がある。本事業では、実用化促進を図るため、企業との共同研究を勧奨しており、臨床研究の更なる推進が見込まれることから必要性は高い。

## (2) 研究事業の効率性

治験・臨床研究の推進のために、以下の各種施策を総合的に実施していくことで、医薬品や医療機器の研究開発に係る資源や時間が有効に活用されることが期待できる。

(治験推進研究)

製薬企業において一つの医薬品が上市されるまでに数百億円規模の費用がかかると言われ、特に治験段階では莫大な費用が費やされる。治験環境の整備により、開発費用は低くおさえられることとなり、この点だけでも費用対効果は極めて優れていると言える。さらに、医療上必要であっても不採算のために企業が開発を行わない医薬品を国民に迅速に提供できることとなり、国民の健康福祉への大きな貢献となる。

(臨床研究基盤整備推進研究)

本研究事業は基盤整備のための研究であり、短期間の投資により、将来にわたって新規治

療法やEBMを国民に提供でき、さらに医薬品・医療機器産業の国際競争力強化というメリットがもたらされると考えられる。これらのメリットを定量化することは困難であるが、国内メーカーや臨床研究機関の受けるメリットだけでも事業に要する経費を十分上回るものと考えられる。課題の採択に当たっては、研究者に対して具体的な目標の提示、それに到達するためのロードマップ等を示すことを求めており、年次評価において検証することとしている。

(臨床研究・予防・治療技術開発研究)

省内の様々なプロジェクトに係る研究成果を集約し臨床研究へつなげることができるところから効率的な研究の実施が可能となる。また、臨床研究の迅速な実施による効果の高い医薬品・医療機器の開発が進むことは、国民の健康福祉への大きな貢献となる。

(臨床疫学基盤整備研究)

患者背景データを集約することで、様々な疫学研究を実施する際にそこから必要な情報が得られるということで、効率的かつ調査費用等の軽減を図ることができる。

また、薬剤疫学データの評価方法を確立することで、疫学情報を活用した医薬品・医療機器の効率的な開発が可能となることから、優れた費用対効果が期待できる。

(臨床研究支援複合体研究)

臨床研究のネットワークについて、人材が育成され、効果的な臨床研究の実施方法に関する相談の提供等のハブ機能を有する医療機関ができることで、医療機関が個々で実施している臨床研究業務も集約され効率化と費用の軽減を図ることができる。

(基礎研究成果の臨床応用推進研究)

基礎的な段階に留まっている研究成果の実用化を促進することにより、国民へ新しく有用な医薬品・医療技術等を提供する機会の増加を目標としている。これにより国民の健康福祉に多大な効果をもたらすと考えられる。この効果を定量化することは困難であるが、国民の最大の関心事である健康に与えるインパクトは大きいものであることが容易に想定され、投資費用に見合った効率的なものであると考えられる。

(3) 研究事業の有効性

治験・臨床研究に係る体制整備等の各種事業の推進により、迅速に医薬品や医療機器が提供されることで、国民の健康福祉への貢献が期待できることからその有効性は非常に高い。

(治験推進研究)

治験環境の整備を行うとともに、医療上必須かつ不採算の医薬品等に関して医師主導の治験を行う。これにより、我が国の治験の活性化を図るとともに、患者に必要な医薬品等の迅速な提供を可能とするものであり、有効性は高い。

(臨床研究基盤整備推進研究)

日本全国の基幹となる医療機関において、新規治療法の開発につながる臨床研究の基盤が整備されることを目標とする。このため、個別に立案した整備計画を作成するとともに、臨床研究に関して専門的な教育を受けたリーダーたる人材（若手医師・生物統計学者等）を育成し、それらの機関において臨床研究チームや倫理審査委員の教育を重点的に行う。

また、臨床研究基盤を永続的なものとするために、全国の医療機関、医療従事者の臨床研究能力の開発に資する教育プログラムを開発し、臨床研究基盤の裾野の拡大を図る。

これにより、我が国の臨床研究の推進が図られ、有効性に優れた事業と考える。

(臨床研究・予防・治療技術開発研究)

研究成果の臨床への活用や、バイオマーカー等の標準診断・治療法の研究、治療薬の臨床的エビデンスの収集といったように、臨床情報の収集が可能であることから、有用性は高い。

(臨床疫学基盤整備研究)

患者背景情報データ等の基礎的なデータベースの構築は、非常に有用である。また、薬剤疫学的データもそこから得られる情報の可能性を考えると有用であり、本事業は有効性の高い事業である。

(臨床研究支援複合体研究)

臨床研究のネットワークにおけるハブ機能を果たす医療機関の人材育成により、各医療機関での臨床試験が円滑に行われることとなり、臨床研究の推進の観点から有効性は高い。  
(基礎研究成果の臨床応用推進研究)

本研究事業は、基礎的な段階に留まっている研究成果について実用化を促進することにより、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会を増加させることを目的とした事業であり、基礎研究成果を実際に臨床に応用し、その有効性・安全性の見極めや臨床応用に際しての問題点を洗い出す研究を推進することは、国民の健康福祉の促進のために重要なことである。

(4) その他：特になし

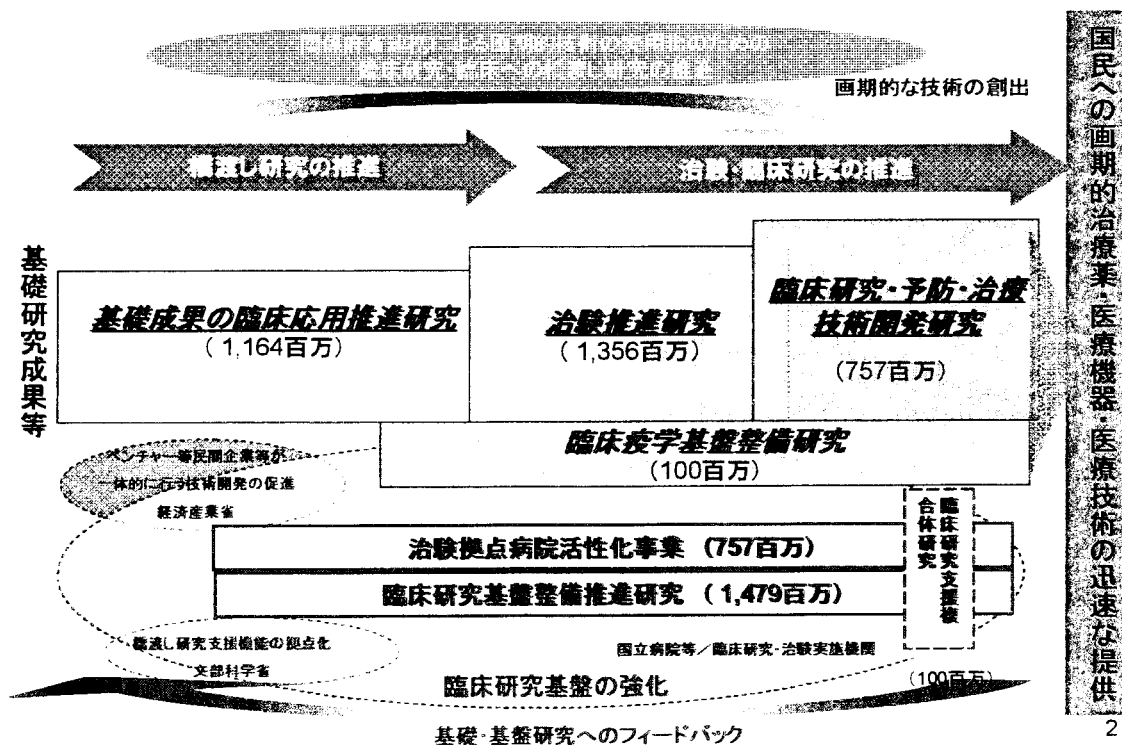
### 3. 総合評価

優れた医療を国民に提供する上で、治験を含む臨床研究は極めて重要な役割を担っており、第3期科学技術基本計画や総合科学技術会議における臨床研究の総合的推進に係る提言等においても言及されている。厚生労働省においても、「新たな治験活性化5カ年計画」や官民対話に基づく「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を策定し、関係省庁や産業界とも連携しながら、臨床研究の推進を含む医薬品・医療機器の研究開発の推進に向けた施策を実施しているところである。

そのような状況にあって、医療技術実用化総合研究において、「臨床研究基盤整備推進研究」、「臨床疫学基盤整備研究」及び「臨床研究支援複合体研究」により臨床研究を実施する体制等インフラの整備を進めつつ、「基礎研究成果の臨床応用推進研究」、「治験推進研究」及び「臨床研究・予防・治療技術開発研究」により特色に応じた研究開発の支援をすることで、効率性の高い総合的な取組となり、その成果の国民への迅速な還元が期待でき、各事業を積極的に推進していくべきである。

### 4. 参考（概要図）

#### 医療技術実用化総合研究事業（全体像）

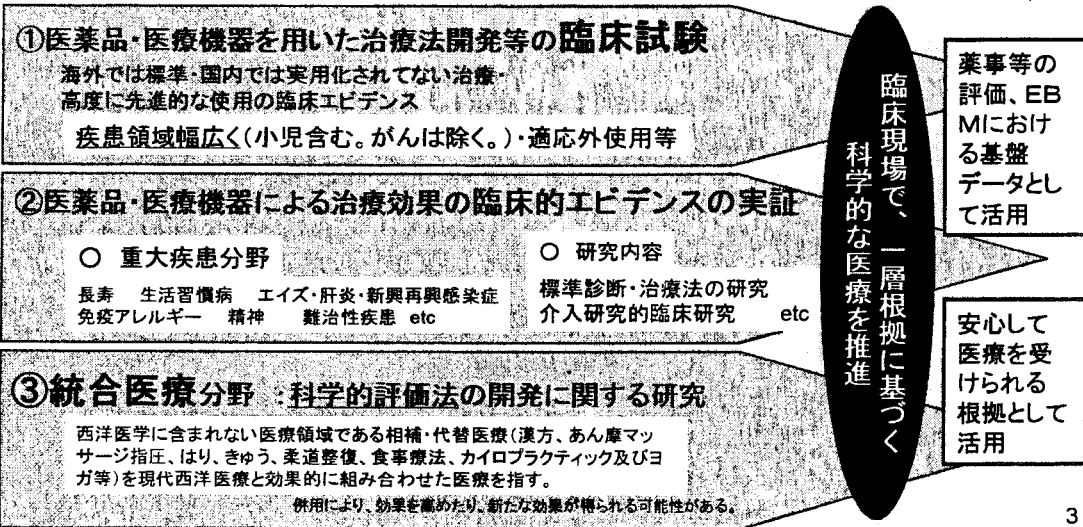


# 臨床研究・予防・治療技術開発研究

## 第Ⅱ期トランスレーショナルリサーチの推進

医薬品や医療機器を用いた治療法等の医療技術(既存のものを含む。)について臨床において適切に実施されるようエビデンスを確立する研究。

1年目 研究計画の立案      2年目～5年目 研究の実施(選別あり)

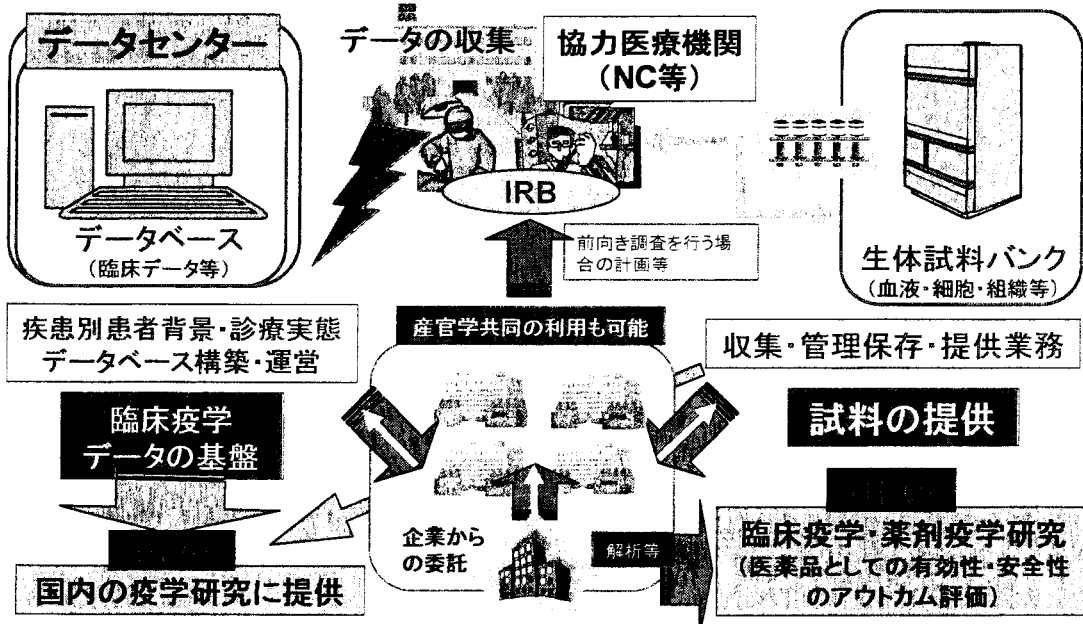


3

# 臨床疫学基盤整備研究

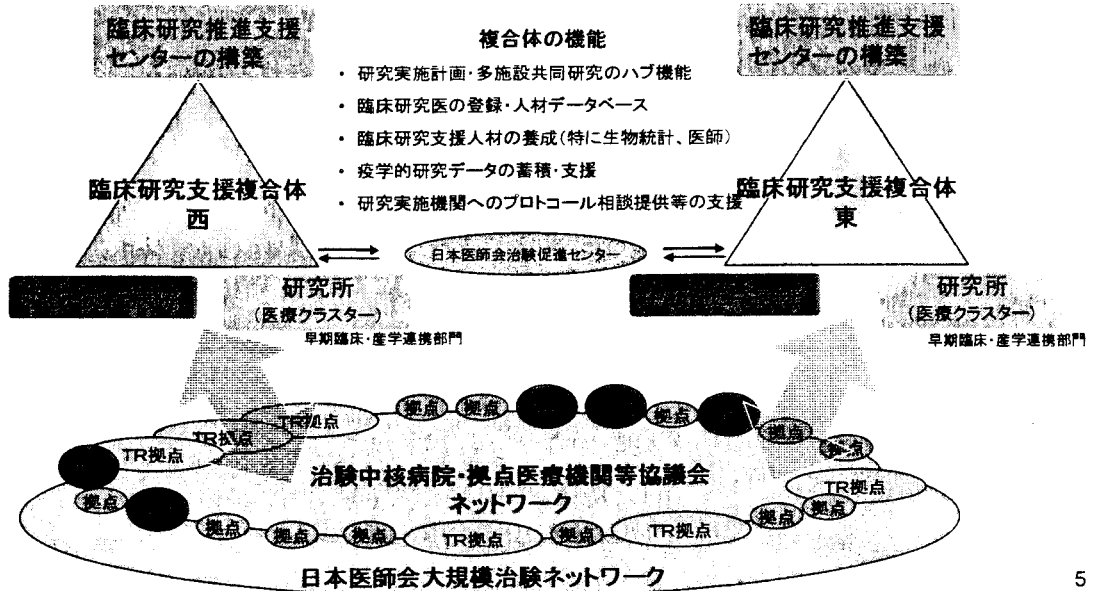
目標 臨床疫学基盤構築から、根拠に基づく臨床研究・創薬の促進を目指す

- 臨床疫学の基礎となる主要疾患の患者の診療実態(practice pattern)の記述(実態調査)データ
- 臨床疫学研究等に活用可能なヒト試料バンクの確立、管理。



# 臨床研究支援複合体研究

臨床研究・治験を円滑に実施するため、研究の実施方針の策定、医師・統計家等の人材の配置、中核・拠点ネットワークの管理、データベースの構築等に係る全国2箇所程度の支援複合体を形成するためのモデル研究事業。

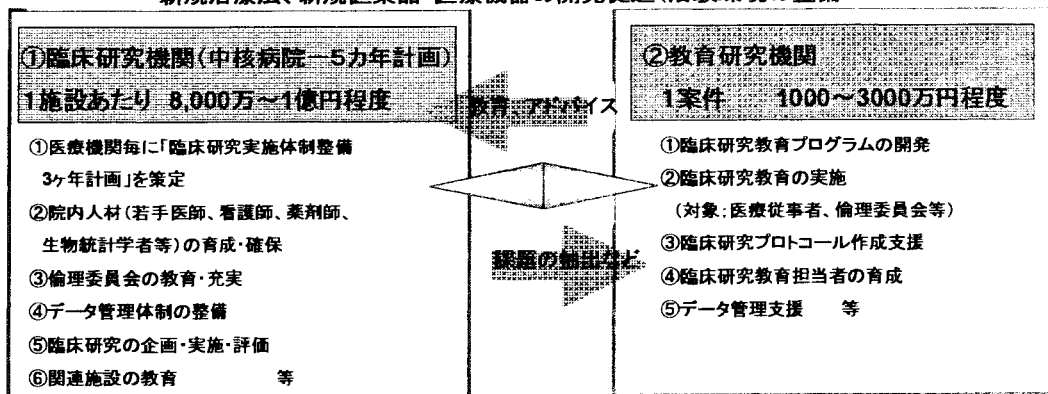


5

# 臨床研究基盤整備推進研究

**目標** 世界水準の臨床研究基盤の整備

- 国民に提供する医療の質の向上(EBMの実践)
- 新規治療法、新規医薬品・医療機器の開発促進(治験環境の整備)



H18年度採択機関  
慶應義塾大学医学部  
国立がんセンター  
国立循環器病センター  
国立成育医療センター  
独立行政法人国立病院機構本部

H18年度採択機関  
北里大学医学部  
大分大学医学部附属病院  
国立国際医療センター  
国立精神・神経センター  
千葉大学医学部附属病院

H18年度採択機関  
京都大学大学院医学研究科  
国立がんセンターがん予防・検診研究センター  
滋賀医科大学医学部  
北里大学薬学部

H19年度採択機関  
聖マリアンナ医科大学

6

## 治験拠点病院活性化事業(参考)

平成19年度より中核病院、地域の医療機関等と連携して治験等を円滑に実施できる体制を有する医療機関(拠点医療機関)を選定している。

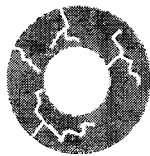
※ 事前評価会議において、治験実績、治験実施体制、人材等を評価し、30機関採択した。

- |   |  |  |
|---|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>・岩手医科大学附属病院</li> <li>・自治医科大学附属病院</li> <li>・群馬大学医学部附属病院</li> <li>・虎の門病院</li> <li>・順天堂大学医学部附属順天堂医院</li> <li>・東京慈恵会医科大学附属病院</li> <li>・東京女子医科大学病院</li> <li>・東京都立清瀬小児病院</li> <li>・日本大学医学部附属板橋病院</li> <li>・神奈川県立こども医療センター</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・聖マリアンナ医科大学病院</li> <li>・東海大学医学部附属病院</li> <li>・新潟大学医歯学総合病院</li> <li>・金沢大学医学部附属病院</li> <li>・静岡県立静岡がんセンター</li> <li>・聖隷浜松病院</li> <li>・浜松医科大学医学部附属病院</li> <li>・名古屋大学医学部附属病院</li> <li>・三重大学医学部附属病院</li> <li>・大阪市立大学医学部附属病院</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・近畿大学医学部附属病院</li> <li>・大阪府立成人病センター</li> <li>・大阪府立母子保健総合医療センター</li> <li>・兵庫県立がんセンター</li> <li>・岡山大学医学部・歯学部附属病院</li> <li>・広島大学病院</li> <li>・山口大学医学部附属病院</li> <li>・徳島大学病院</li> <li>・久留米大学医学部附属病院</li> <li>・福岡大学病院</li> </ul> |
|---|--|--|

7

## 治験推進研究

目標: 日本の治験を「早い」「安い」「良い」へ  
治験期間の半減、コスト低下、質の向上を実現するとともに、国民に、  
世界最高水準の医薬品・医療機器を速やかに提供する(平成15年度～)。



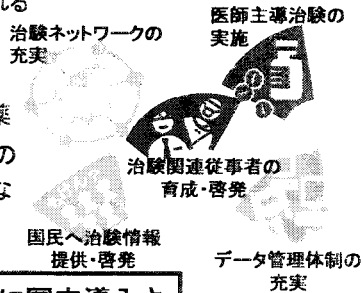
### 治験の空洞化

日本の治験は「遅い」「高い」「悪い」

- 国内企業が欧米での治験を先行させ国内治験数が減少
- 国内における医薬品開発が遅れる
- 画期的治療薬への患者アクセスが遅れる

治験環境の整備を行うとともに、医療上必須かつ不採算の医薬品等に関して**医師主導の治験**を行う。これにより、我が国の治験の活性化を図るとともに、患者に必要な医薬品等の迅速な提供を可能とする。

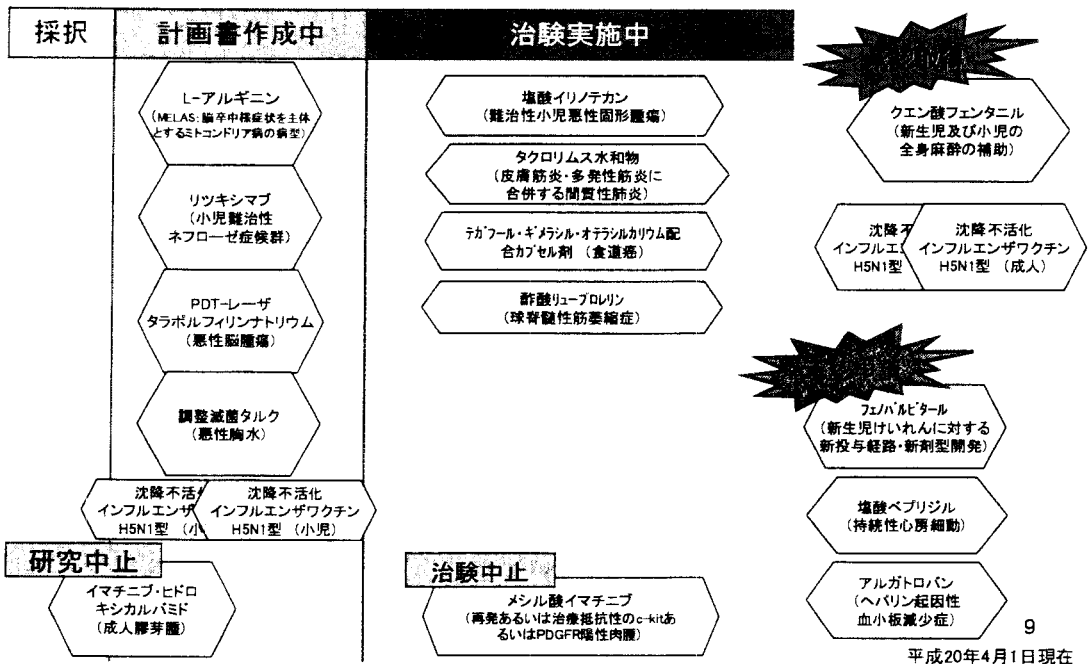
欧米で標準的な医薬品でありながら不採算のために国内導入されていない医薬品等を速やかに国民に提供



8



# 治験推進研究事業における医師主導治験の実施状況



## 基礎研究成果の臨床応用推進研究

### 技術基本計画のライフサイエンス分野推進計画

