

# 臨床研究・治験活性化等に関する取組等 について

## 1. 現状を踏まえた臨床研究の拠点の在り方をどう考えるか。

たとえば、臨床研究中核病院による他の臨床機関の支援・公益機能の強化と拡大の方策としては、現在、①臨床研究・治験の相談窓口機能の強化（ベンチャー相談、先進医療相談等）、②ARO機能の見える化、他の臨床研究機関への支援強化、③リアルワールドデータ（RWD）利活用促進のための医療情報データの標準化、高い品質管理等を実施しているが、このほかにどのような取組が必要か。

## 2. 臨床研究・治験を実施する医師や研究支援人材については、その育成だけでなく、ARO等の組織の発展も含め、育成した人材が活躍できる環境整備が必要と考えられるが、具体的にどのような取組が必要か。

## 3. 小児疾患、希少・難治性疾患等、治験が進みにくい分野の臨床研究については、より一層の促進が必要と考えられるが、具体的にどのような取組が必要か。

## 4. 国民が臨床研究・治験を理解し参画することを促進する方策として、どのような取組が考えられるか。

## 5. 質の高い診療に繋がる研究を促進するための方策について、どのような取組が考えられるか。

※標準医療の確立や向上に資する臨床研究、診療ガイドラインの策定や精緻化に資する研究 等

## 6. 臨床研究法施行後、各研究者が適切に臨床研究を実施できるための支援や、運用上の考え方の整理が必要ではないか。

## 7. このほか、臨床研究・治験の活性化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。

※薬事申請へのデータの活用等（臨床研究法附帯決議関係）、RWDを活用した研究の在り方等

**論点 1. 関係**  
**(臨床研究中核病院の役割や機能)**

# 臨床研究中核病院の現状の位置づけ

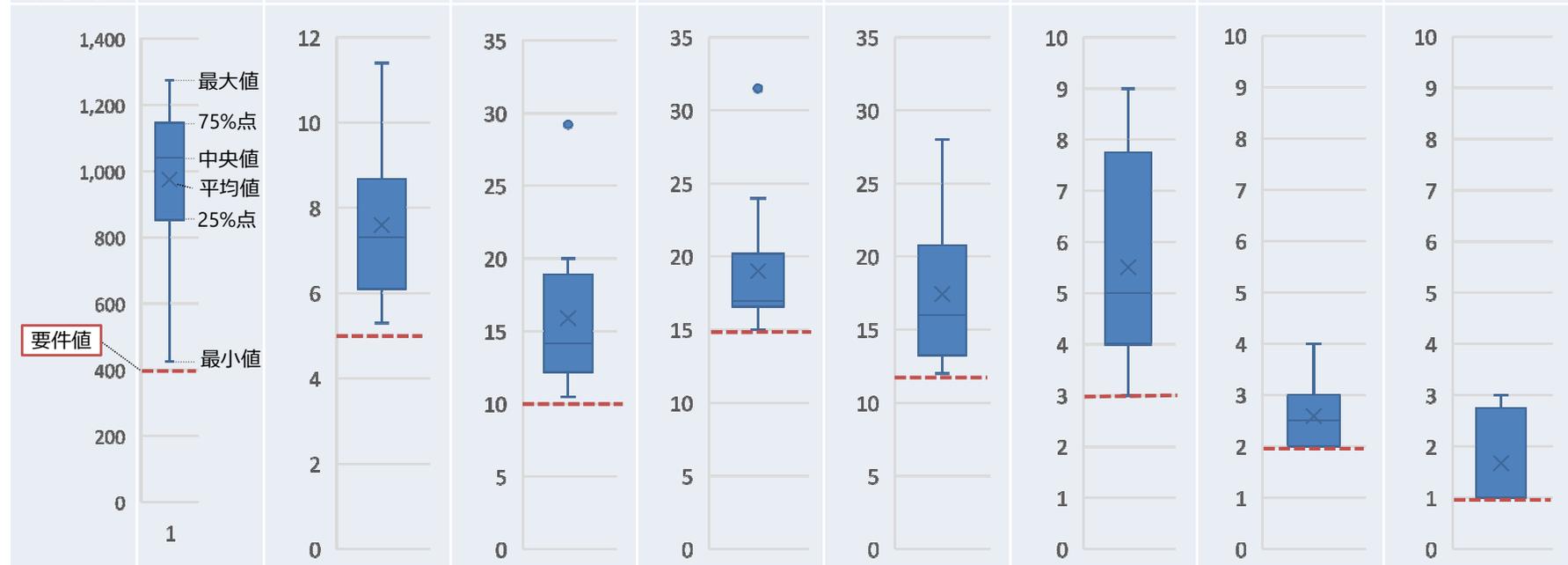
## 現状の臨床研究中核病院制度にかかる概要

- 日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う病院を**臨床研究中核病院として医療法上に位置づけ（平成27年4月施行）**。
  - ※ 臨床研究は、医療行為を行いながら、医療における疾病の予防、診断並びに治療の方法の改善、疾病の原因及び病態の理解に関する研究を同時に行うものであり、臨床研究の推進は、良質な医療の提供に資するものであるため、医療法の趣旨に合致する。
- 質の高い臨床研究を実施する病院を厚生労働大臣が臨床研究中核病院として承認し、名称を独占することで、
  - ・ 臨床研究中核病院が、他の医療機関の臨床研究の実施をサポートし、また、共同研究を行う場合にあっては中核となって臨床研究を実施することで、他の医療機関における臨床研究の質の向上が図られる
  - ・ 臨床研究に参加を希望する患者が、質の高い臨床研究を行う病院を把握した上で当該病院へアクセスできるようになる
  - ・ 患者を集約し、十分な管理体制の下で診療データの収集等を行うことで、臨床研究が集約的かつ効率的に行われるようになることにより、質の高い臨床研究を推進し、**次世代のより良質な医療の提供を可能にする**ことを目的としている。
- 一定の組織体制・能力に係る基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認する。平成31年1月現在、下記の12病院が承認されている。
  - ・ 国立がん研究センター中央病院
  - ・ 国立がん研究センター東病院
  - ・ 北海道大学病院
  - ・ 東北大学病院
  - ・ 千葉大学医学部附属病院
  - ・ 東京大学医学部附属病院
  - ・ 名古屋大学医学部附属病院
  - ・ 京都大学医学部附属病院
  - ・ 大阪大学医学部附属病院
  - ・ 岡山大学病院
  - ・ 九州大学病院
  - ・ 慶應義塾大学病院

# 臨床研究中核病院の整備状況（1）

## 【臨床研究中核病院（12病院）の人員体制】※平成29年度業務報告等より（H29.4.1時点の数）

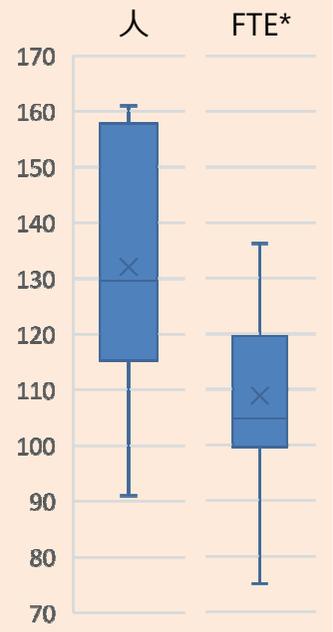
要件	病床数	臨床研究支援・管理部門に所属する人員数						
	病床数 (床)	医師・ 歯科医師 (FTE*)	薬剤師 (FTE*)	看護師 (FTE*)	臨床研究 コーディネータ (人)	データ マネージャ (人)	生物統計家 (人)	薬事承認審査 機関経験者 (人)
要件値	400	5	10	15	12	3	2	1
最大値	1,275	11.4	29.2	31.5	28	9	4	3
最小値	425	5.3	10.5	15.0	12	3	2	1



\*FTE: Full time equivalence（フルタイム当量：フルタイムの常勤職員の業務量に換算した値）

参考：臨床研究  
支援部門の  
組織規模  
(人/FTE\*)  
人員要件以外の職種を含む

—  
161/136.2  
91/75.1



- 人員数については、承認要件として求める人員から比較して、大きく上回る職種もあれば、承認要件に近い数に集約されている職種もある。
- 臨床研究支援部門そのものの組織規模については、病院により規模に差がある。

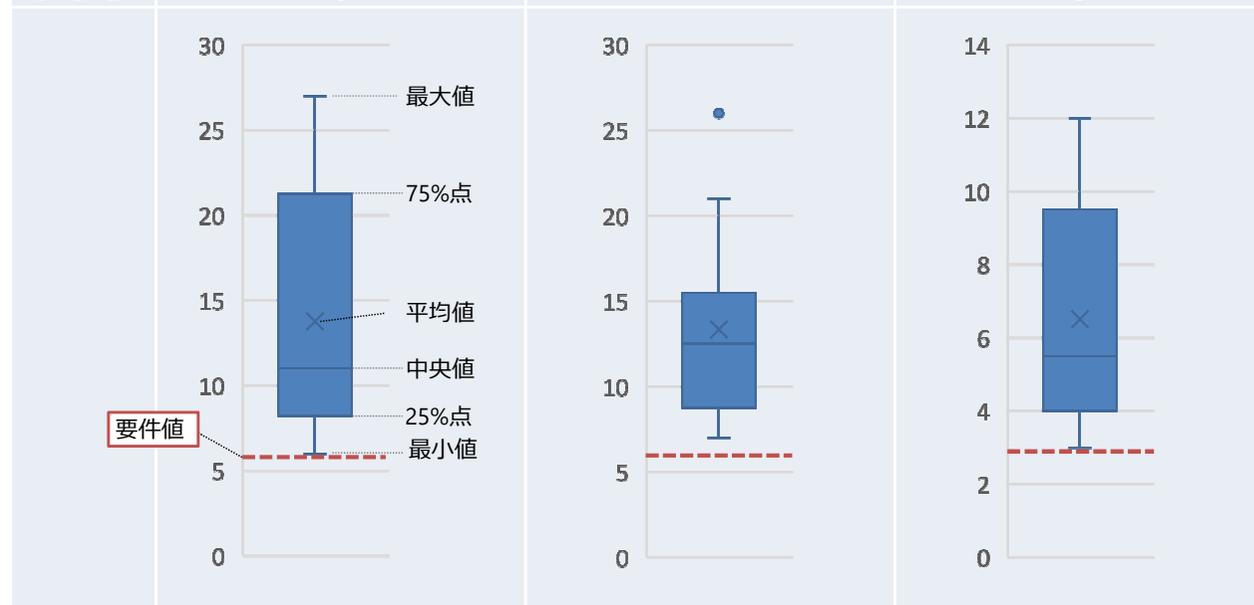
# 臨床研究中核病院の整備状況 (2)

## 【臨床研究中核病院 (12病院) の研修実施状況】※平成29年度業務報告等より (平成28年度実績)

	特定臨床研究を行う者等への 研修会の開催件数 (年間)		
	臨床研究を行う者への研修会 (回)	臨床研究に携わる者への研修会 (回)	倫理審査委員会委員等を対象とした研修会 (回)
要件値	6	6	3
最大値	27	26	12
最小値	6	7	3

### ○主な研修内容

- GCP、臨床研究法、医学系指針など、法令等の動向
- 研究倫理
- 生物統計
- COI 等



○ 研修内容については、要件として、研修の対象者を規定し、適切な実施を求めており、個別の研修項目については、各病院の考え方に沿って実施されている。

# 臨床研究中核病院の整備状況 (3)

【臨床研究中核病院 (12病院) の実績】※平成29年度業務報告等より (平成26～28年度の3年間の累積)

要件	特定臨床研究*の新規実施件数				特定臨床研究に関する論文数 (報)	他医療機関が行う特定臨床研究に対する支援件数** (平成28年度実績) (件)
	①医師主導治験 (件)	②臨床研究 (件)	③多施設共同医師主導治験 (件)	④多施設共同臨床研究 (件)		
要件値	4	80	2	30	45	15
最大値	21	92	10	40	66	140
最小値	4	17	0	12	45	15

能力要件 (臨床研究の実施) :

- (自施設) 過去3年間の実績が①医師主導試験4件、②医師主導試験1件かつ臨床研究80件、のいずれかを満たすこと
- (多施設) 過去3年間の実績が③多施設共同医師主導試験2件、④多施設共同臨床研究30件、のいずれかを満たすこと

\*医療法に基づく特定臨床研究

\*\*具体的な他施設への支援内容は、プロトコール作成支援、データマネジメント、モニタリング、監査

- 臨床研究及び医師主導治験の実施数については、主に医師主導治験の実施により要件を満たしている機関が多い。
- 他施設支援の実績件数については、病院間で大きな開きがあるが、要件を大きく上回っている病院も数多くある。

# 臨床研究拠点整備等に係る取組 (1)

医療技術実用化総合促進事業（平成31年度以降：臨床研究総合促進事業）

- 臨床研究中核病院等が備える臨床研究支援基盤を、我が国全体の臨床研究基盤へと押し上げるために、**これまで実施してきた拠点整備等に係る事業を臨床研究中核病院等に集約化し、他の医療機関の模範となり得る体制の構築**を行う。
- 具体的には、臨床研究中核病院を中心に、**研究者が多施設共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制構築や、他施設の臨床研究従事者等の養成**を行うことで、国内における臨床研究環境の更なる向上を目指す。
- また、臨床研究法の施行に伴い、今後更に評価療養での臨床研究実施を求めて先進医療の増加が見込まれるため、臨床研究中核病院における**先進医療の事前相談の対応及び当該事前相談を行う人材育成のためのプログラム**を作成する。

## 臨床研究中核病院

**我が国全体の臨床研究基盤を支え、自施設のみならず我が国の医療機関を総合的に支援するプラットフォーム**

- 相互に先進医療等に関する意見交換や教育等を行い、更なる機能強化に繋げる
- 研究者（医師）、CRC、DM、臨床研究/倫理/治験審査委員を対象とした各研修において、講師やオブザーバーとして相互に参加することで、ノウハウを共有する
- 外部に向けたe-learningを構築することで、全国の研究者の臨床研究に関する知識向上を図る

## 研究者



- 臨床研究中核病院の研究基盤の利活用
- 質の高い臨床研究実施のための知識やノウハウを獲得
- 臨床研究中核病院による研究の最適な支援
- 多くの臨床研究を評価療養で実施可能

研究事業

**医療技術実用化総合促進事業**

※AMED事業で実施

- 未承認医薬品等臨床研究安全性確保プログラム
- 医療系ベンチャー育成支援プログラム
- 国際共同臨床研究実施推進プログラム

行政事業

**① 先進医療技術実用化促進プログラム**

- 事前相談窓口の設置や、先進医療の実施の適正性、プロトコルの内容、申請書類の記載方法等の事前相談を受付
- 事前相談を適切に行える者の人材育成を念頭に、**育成プログラム**を作成

**② 臨床研究・治験従事者研修プログラム**

- 臨床研究法に基づく質の高い臨床研究・治験を実施すべく、**臨床研究従事者の養成研修**を実施
- 今後、**薬剤疫学的解析**を実施できる研究者や実用化を見据えた**目利き人材**の育成も実施

# (参考) ① 先進医療技術実用化促進プログラム

- 臨床研究法施行に伴い、全ての特定臨床研究は国への届出が義務づけられた。臨床研究は評価療養で行わない限り、保険適用部分も全額患者負担となるため、今後更に多くの臨床研究が評価療養での実施を求めて先進医療の申請が増加することが想定
- このため、申請技術の品質の底上げや、審査の迅速化に対応するため、平成30年度の先進医療実用化プロジェクトで、臨床研究中核病院における先進医療のプレ事前相談機能を設置
- 平成31年度は先進医療技術審査整備事業として、臨床研究中核病院に設置される事前相談の受付窓口や、プレ事前相談機能などの事業の成果を踏まえ、評価の高い5機関程度をモデル事業の実施機関として採択し、モデル事業を実施する予定

## (事業内容及びスケジュール)

平成30(2018)年度  
先進医療実用化プロジェクト

- 臨床研究中核病院にプレ事前相談機能を設置 (12機関)
- 事前相談の受付窓口を設置し、申請者からの事前相談へ対応

平成31(2019)年度  
先進医療技術審査整備事業  
(モデル事業として実施)

- 5機関程度の臨床研究中核病院を選定
- 申請者からの事前相談への対応 (先進医療としての実施の適切性、プロトコル内容、申請書類の記載方法等)、必要に応じて厚生労働省等に照会  
※厚生労働省ではモデル事業実施機関経由で照会を受付
- 先進医療の事前相談を行う人材の育成プログラムの作成  
※モデル事業を実施しない機関も、相談機能を維持

2020年度以降  
先進医療技術審査整備事業  
(本格実施)

- 臨床研究中核病院に審査事務局を設置し、申請者からの事前相談への対応
- モデル事業において作成された人材育成プログラムを活用し、各機関において人材育成
- モデル事業実施機関における他の機関への教育・指導

先進医療の申請に向けた事前相談、出口戦略を指導・助言



### (効果)

- 厚生労働省で行っていた事前相談の機能を臨床研究中核病院に持たせることにより、増加する申請に対応しつつ、申請技術の質の向上に繋がる
- 厚生労働省の業務を先進医療技術審査部会等の部会審査業務に特化させることにより、審査の迅速化を図る

# (参考) ②臨床研究・治験従事者等研修プログラム

- 厚労省では、これまで、質の高い臨床研究・治験を実施するため、臨床研究従事者（医師、CRC、DM、IRB委員等）を対象とした養成研修等を支援してきたところ。本プログラムでは、臨床研究法の施行等を踏まえた養成研修を実施するとともに、コアカリキュラムやe-learningの整備や臨床研究・治験の啓発を推進する。

## (具体的内容)

- ① 医療法に基づく臨床研究中核病院がこれまで実施してきた実績をベースに、各種研修にかかるシラバスを作成
  - ② 当該シラバスを基にe-learning体制を整備することで、研修会に参加出来なかった者も研究に必要な教育を受けられるような仕組みを構築
- 臨床研究中核病院を中心に、研究者が国際共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制構築や、他施設の臨床研究従事者等の養成を行うことで、国内における臨床研究環境の更なる向上を目指す。

【参考】法に基づく臨床研究実施基準の一つである「当該臨床研究を適正に実施するための十分な教育及び訓練」とは、例えば、臨床研究中核病院が実施する臨床研究に従事する者を対象とした研修（臨床研究・治験従事者研修等）及びそれに準じた内容の研修が該当

平成30(2018)年度

平成31(2019)年度

2020年度

2021年度一

コアカリキュラム策定

臨床研究中核病院等でコアカリキュラムに基づく研修を年に1~2回開催し、広く受講生を受入れ

コアカリキュラムを基に、既存のe-learning体制を改修又は新たに構築し、研修受講困難な者にも同様の研修が受講できるよう対応

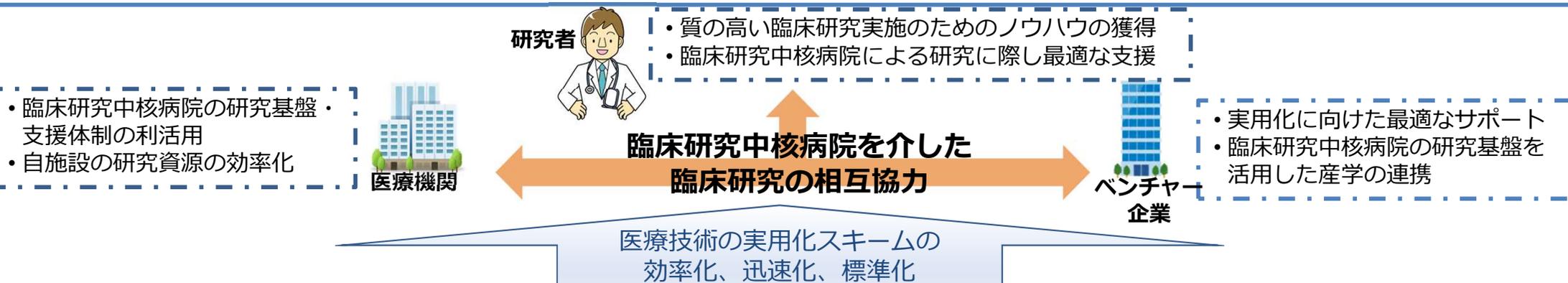
※平成30年度研修実績（本プログラムでの支援したもの）今後年度内に予定されているものも含む：

医師対象研修 9 件、上級CRC研修 2 件、倫理審査委員会委員研修 6 件、データマネージャー研修 4 件

# 臨床研究拠点整備等に係る取組 (2) 医療技術実用化総合促進事業

- 臨床研究中核病院等が備える臨床研究支援基盤を、我が国全体の臨床研究基盤へと押し上げるために、これまで実施してきた拠点整備等に係る事業を臨床研究中核病院等に集約化し、他の医療機関の模範となり得る体制の構築を行う。
- 具体的には、**自施設のみならず我が国の医療機関が実施する臨床研究等を総合的に支援**し、文部科学省とも連携の上、革新的医療技術の更なる実用化を目指すとともに、**医療技術の実用化スキームの効率化、迅速化、標準化を推進**する。

- ① 臨床研究法施行に伴い研究の実施体制が整備される中、**リアルワールドデータを用いた臨床研究を推進**
- ② 臨床研究中核病院のARO機能等を生かしながら企業等と連携を図り、医療技術の実用化を促進するとともにそのエコシステムを担う人材を養成
- ③ 臨床研究中核病院を中心に、**研究者が国際共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制構築や、他施設の臨床研究従事者等の養成**を行う



## 臨床研究中核病院：我が国全体の臨床研究基盤を支え、自施設のみならず我が国の医療機関を総合的に支援するプラットフォーム

### 国際共同臨床研究実施推進プログラム

海外対応可能な人材の育成や、国際共同治験を実施する者に対する様々な支援  
(研究計画の立案・作成や企業折衝、コンサルティング等を実施 (2拠点))

### 医療系ベンチャー育成支援プログラム

平成29年度に全ての臨床研究中核病院に設置されたベンチャー支援部門を利活用し、**アカデミア**に対しては、**企業導出戦略等の立案**を、**企業**に対しては、**中核病院の資源を生かした共同研究等の提案**を行える産学連携の中心となるような人材の配備と育成を行い、プログラムの充実を図る

### ※未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム

従来のCRCやDM等の雇用や、海外からの関連情報収集等に加え、**自施設内の診療情報の標準化及びその運用体制整備、ノウハウの蓄積**を行い、**自施設内で実施される臨床研究の安全性向上の一層の推進**を図るとともに、**中核病院同士の医療情報の連結を進める**

# (参考) ※未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム

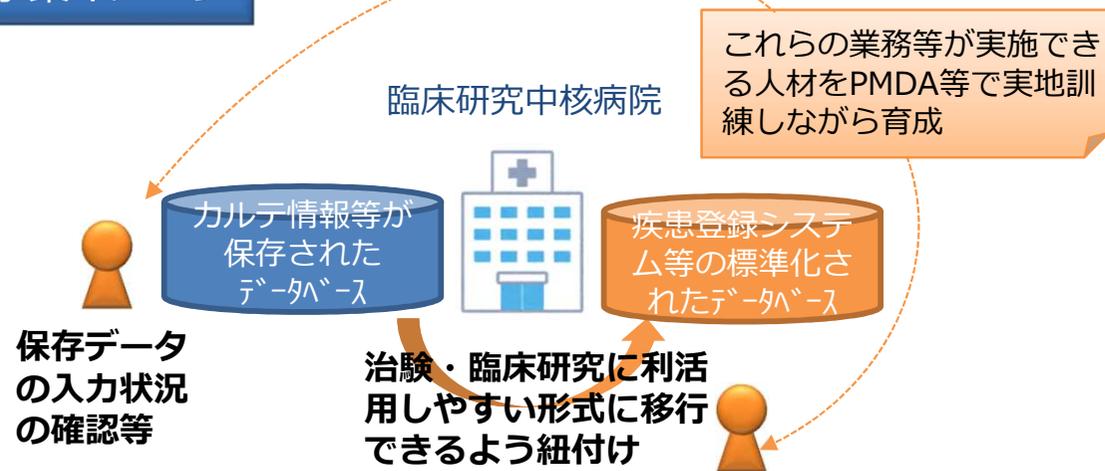
## 事業の背景

- 診療情報や疾患登録システム（患者レジストリ）の情報など、リアルワールドデータを活用した医薬品・医療機器等の研究開発・実用化の推進については、アカデミアや業界等から強い要望がある。  
※リアルワールドデータ：臨床研究、治験等の研究の枠組み以外の、実際の医療で得られた実臨床データ（患者情報、疾患・症状に関する情報、処置・投薬に関する情報、検査データ等）
- しかしながら、実際の活用には、環境整備や運用などにおける医療関係者の負担が大きく、データの品質（信頼性）や標準化にも課題。診療等で得られた医療情報を標準化し、自動的に集積する体制の整備が必要。
- 他方、医薬品の安全対策の高度化を目的とする医療情報データベース（MID-NET）事業（平成30年4月に本格運用開始）では、その準備段階から、診療等のデータの取扱い等における上のような課題を解決するための経験が蓄積。
- 本事業中のメニューの一つとして、**新たに、MID-NETの手法を活用したデータ標準化等の体制を整備し**（データ品質管理・標準化の担当者の育成等）、**医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院での、疾患登録情報等のリアルワールドデータ活用を推進。**

➡ **治験・臨床研究をはじめとする医薬品・医療機器の研究開発の効率化を図り、クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）構想を一層推進する。**

【参考】骨太方針2018（平成30年6月閣議決定）：（医療・介護サービスの生産性向上）クリニカル・イノベーション・ネットワークとPMDAの医療情報データベース（MID-NET）を連携させ、治験・臨床研究や医薬品の開発、安全対策等に活用する。

## 事業イメージ



## 効果

- 診療で得られた医療情報（リアルワールドデータ）等が、**負担の少ない形で標準化される体制（人材）が確立**
- 研究前の予備的検討や、患者情報等の分析が容易になるなど、**質の高い治験・臨床研究等を実施する基盤が整備され、治験・臨床研究等の信頼性が向上**
- **疾患登録システム（患者レジストリ）の構築の際、医療関係者の負担が減り、詳細データの登録等にも注力可能**

# 臨床研究拠点整備等に係る取組 (3) ARO機能評価事業 (H29-)

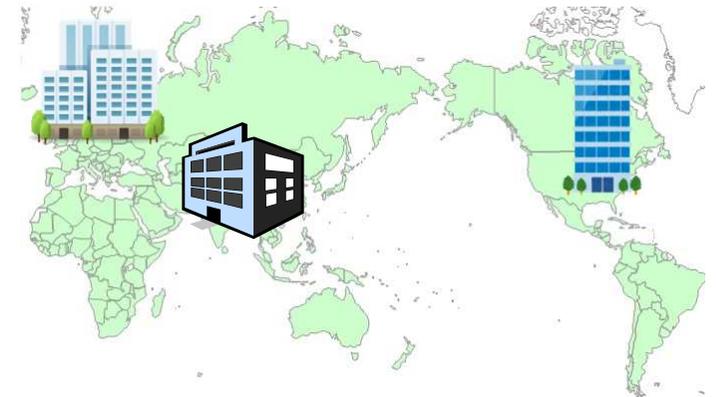
- オールジャパンでの革新的な医療技術創出のため、革新的医療技術創出拠点やナショナルセンター等の拠点の有するARO機能の更なる強化と活用が求められている。
- そこで、平成29年度は、本事業において、ARO機能の評価基準を策定するとともに、各医療機関のAROが得意とする支援機能やその充実度等を定量的に評価し、これをリスト化し公開することで、「支援機能の見える化」を実施した。
- 平成30年度以降は、平成29年度の評価結果を精査するとともに、各拠点のシーズ支援の状況等を確認し、その結果を踏まえて、ARO機能評価の基準の見直しを行う。
- 上記に加え、海外でのARO機能についても調査し、必要に応じて我が国にも導入することで、我が国のARO機能の更なる強化を行い、オールジャパンでの革新的な医療技術創出を促進する。

※ARO：Academic Research Organizationの略。研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織。



ARO機能の客観的評価と  
リスト公開による見える化

各拠点のシーズ支援状況等の確認  
ARO機能評価基準の見直し

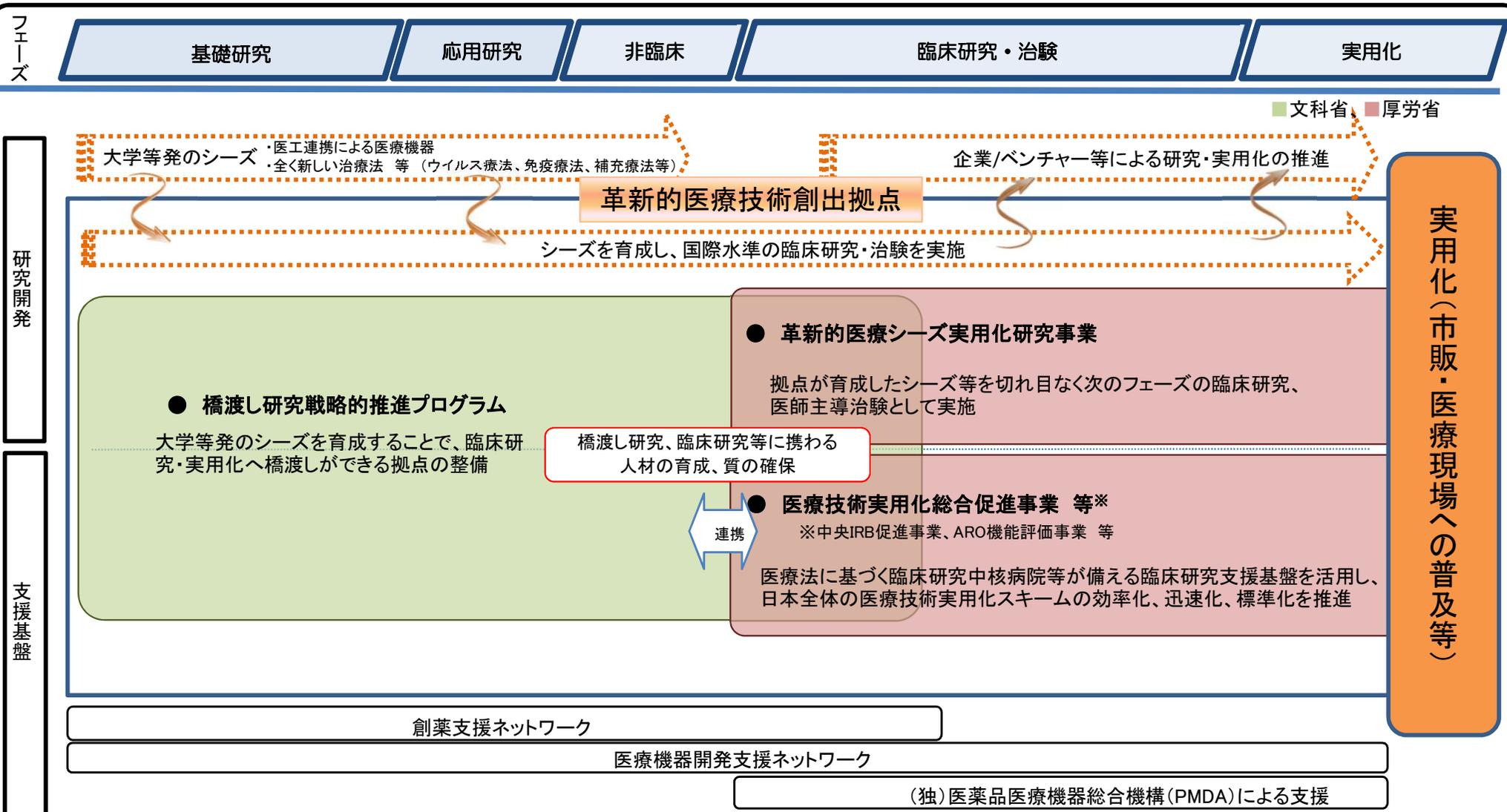


海外でのARO機能の調査と  
我が国への導入及び強化

# 3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO※機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

※ARO：Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織



## 【2020年までの達成目標】

○医師主導治験届出数

年間40件

○First In Human (FIH) 試験(企業治験を含む。)

年間40件

# これまでの実績

## 【治験実施、実用化等の実績】

- 臨床研究中核病院に承認されている病院のAMED事業（革新的医療技術創出拠点プロジェクト）による主な成果実績は以下のとおり（平成27～29年度の実績）。

医師主導治験数：**64件**

企業へのライセンスアウト数：**46件**

アカデミア発製品の薬事承認取得数：**13件**

## 【その他の実績】

- 患者相談窓口等の設置等

### (1) 治験・臨床研究に関する一般向けの相談窓口の設置

- ◎ 一般向けの治験・臨床研究に係る相談窓口を、臨床研究中核病院における承認要件として設置  
相談実績（平成28年度実績\*）：**合計2843件**の相談

\*H29年度承認の北大病院は除き、11機関の実績

### (2) 先進医療の事前相談窓口の設置

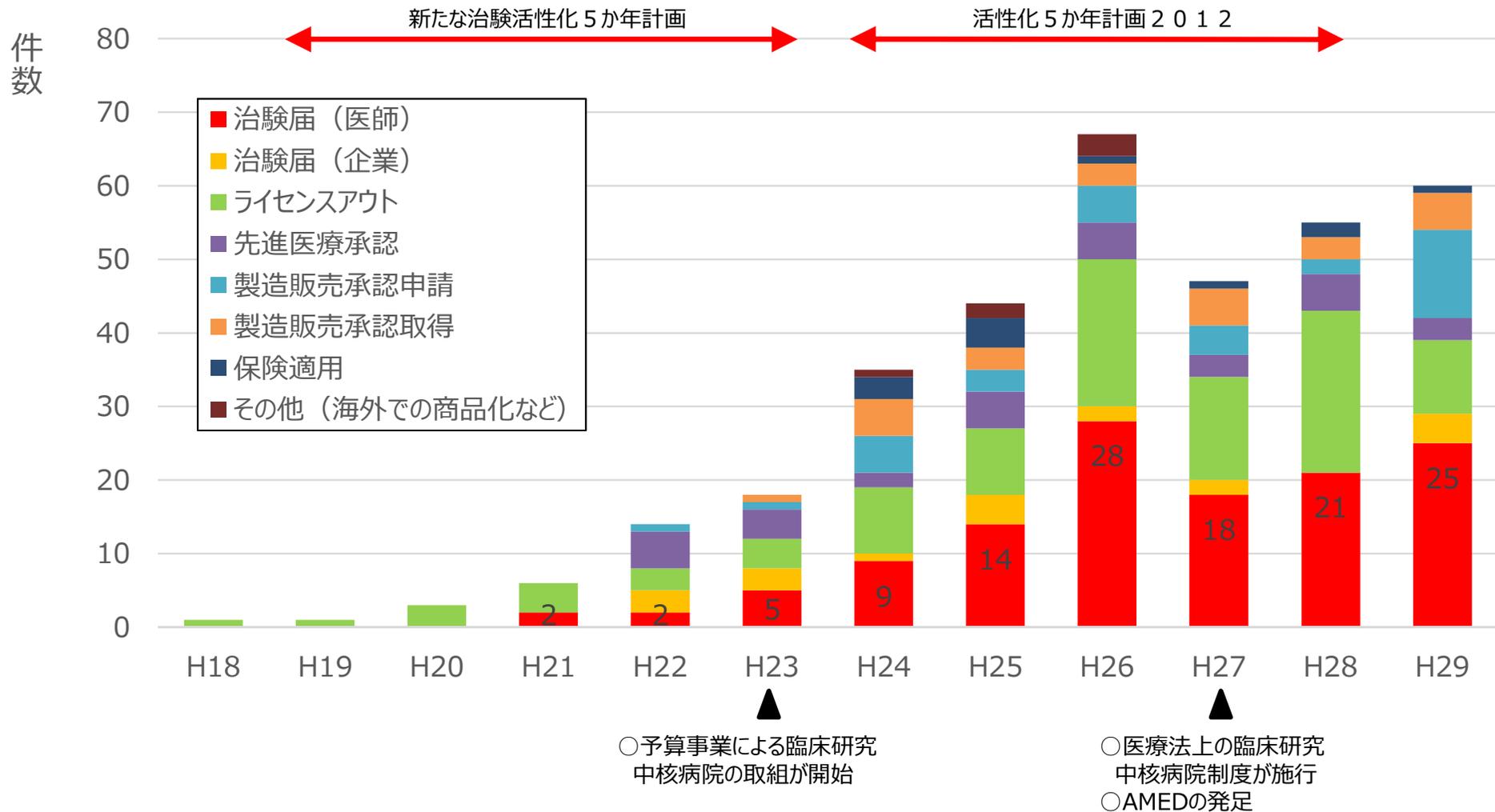
- ◎ 予算事業に基づき、先進医療の相談窓口を全ての臨床研究中核病院に設置（平成30年4月～）  
相談実績（平成30年4～12月実績）：**合計114件**の相談

### (3) 医療系ベンチャー支援窓口の設置

- ◎ 予算事業に基づき、医療系ベンチャー企業に対し臨床開発段階等における支援を行うための相談窓口を全ての臨床研究中核病院に設置
- ◎ 厚労省主催のジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミットに出展し、臨床研究中核病院のベンチャー支援活動を紹介するなどして、幅広い支援先を開拓すべく活動

# (参考) 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける実績 (年度別実績件数)

- 臨床研究中核病院を対象に行っているAMED事業（革新的医療技術創出拠点プロジェクト）の主な成果実績は以下のとおり（ただし、AMED発足以前については、それまで行っていた関連予算事業により得られてきた成果による実績）。
- 継続的な取組の結果、医師主導治験のみならず、企業へのライセンスアウトや薬事承認に関する継続的な実績も出てきている。



# (参考) 臨床研究中核病院における実用化の事例

## 事例1：胎児心拍数モニタリング装置 アイリスモニタ

研究代表者：東北大学大学院医学系研究科 木村 芳孝 教授

開発企業：アトムメディカル株式会社

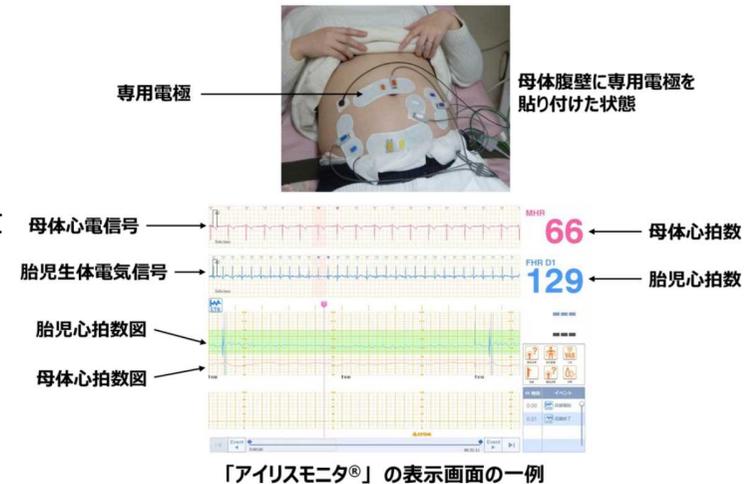
拠点による支援：治験相談資料の作成補助・統計解析・薬事申請に関する助言

製品の特徴：胎児状態評価項目である胎児の心拍数モニタリングに関し、母体腹壁から得た生体電気信号から胎児の生体電気信号を抽出する新しい技術を開発・実用化。

胎児に対し非侵襲である上に、妊娠早期から計測可能かつ、心拍数の詳細な変化を捉えることが可能。

2016年3月 医師主導国内多施設共同試験の実施

2017年2月 医療機器製造販売承認を取得



## 事例2：がん治療用ウイルスG47Δ

研究代表者：東京大学医科学研究所 先端医療研究センター  
先端がん治療分野 藤堂 具紀 教授

販売企業：第一三共株式会社

拠点による支援：データマネジメント・統計解析等にかかる支援（臨床研究）

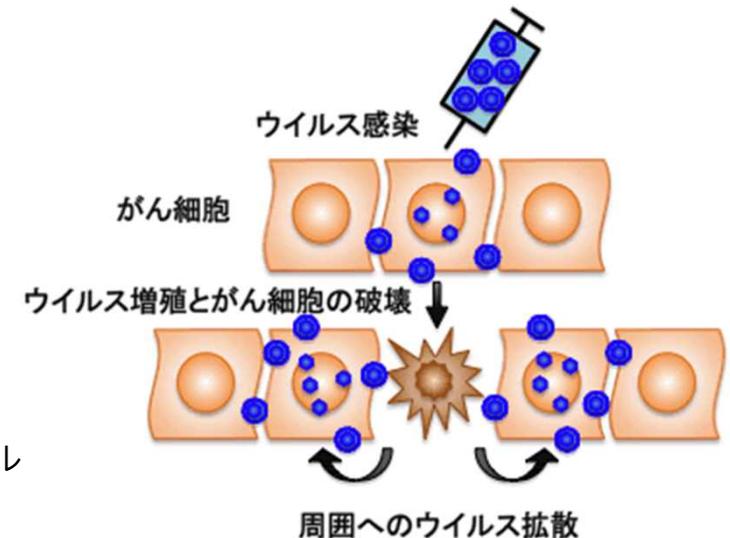
特徴：がん細胞でのみ増殖可能となるよう設計された人為的三重変異を有する制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型（第三代がん治療用単純ヘルペスウイルス1型）であり、これを用いたがん治療法は、がんの治療体系を抜本的に変える可能性がある。

2009年8月 進行性膠芽腫患者を対象としたG47Δの臨床研究（第I-IIa相）

2014年12月 膠芽腫患者を対象とした増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルスI型の第II相臨床試験

2016年2月 先駆け審査指定制度の対象品目に指定

2017年7月 希少疾病用再生医療等製品の指定



# (参考) ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミットにおける活動



2018年10月10日(水)～12日(金) パシフィコ横浜にて開催

## 参加した臨床研究中核病院

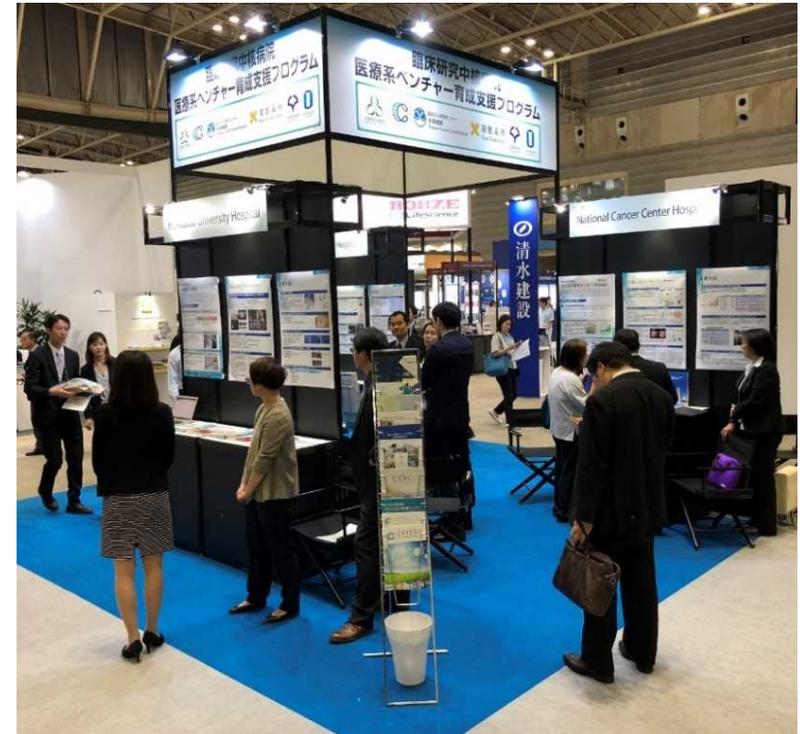
北海道大学病院 東北大学病院 国立がん研究センター中央病院  
慶應義塾大学病院 大阪大学医学部附属病院 岡山大学病院

## ブース出展

- ◆ ポスター展示：ベンチャー支援の機能や実績等を紹介
- ◆ パンフレット配布：支援窓口の連絡先を掲載

## JHVSハーバーセミナー

- ◆ 各病院より発表：臨床研究中核病院 ～その役割と6拠点の紹介～
- ◆ パネルディスカッション：創薬系シーズの実用化に向けて



## 臨床研究中核病院ピッチセッション

各病院よりベンチャー支援の機能や実績等を紹介



## **論点2. 関係 (研究支援人材育成)**

# 人材育成に係る取組 (1) 臨床研究・治験従事者等研修プログラム (再掲)

- 厚労省では、これまで、質の高い臨床研究・治験を実施するため、臨床研究従事者（医師、CRC、DM、IRB委員等）を対象とした養成研修等を支援してきたところ。本プログラムでは、臨床研究法の施行等を踏まえた養成研修を実施するとともに、コアカリキュラムやe-learningの整備や臨床研究・治験の啓発を推進する。

## (具体的内容)

- ① 医療法に基づく臨床研究中核病院がこれまで実施してきた実績をベースに、各種研修にかかるシラバスを作成
  - ② 当該シラバスを基にe-learning体制を整備することで、研修会に参加出来なかった者も研究に必要な教育を受けられるような仕組みを構築
- 臨床研究中核病院を中心に、研究者が国際共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制構築や、他施設の臨床研究従事者等の養成を行うことで、国内における臨床研究環境の更なる向上を目指す。

【参考】法に基づく臨床研究実施基準の一つである「当該臨床研究を適正に実施するための十分な教育及び訓練」とは、例えば、臨床研究中核病院が実施する臨床研究に従事する者を対象とした研修（臨床研究・治験従事者研修等）及びそれに準じた内容の研修が該当

平成30(2018)年度

平成31(2019)年度

2020年度

2021年度一

コアカリキュラム策定

臨床研究中核病院等でコアカリキュラムに基づく研修を年に1~2回開催し、広く受講生を受入れ

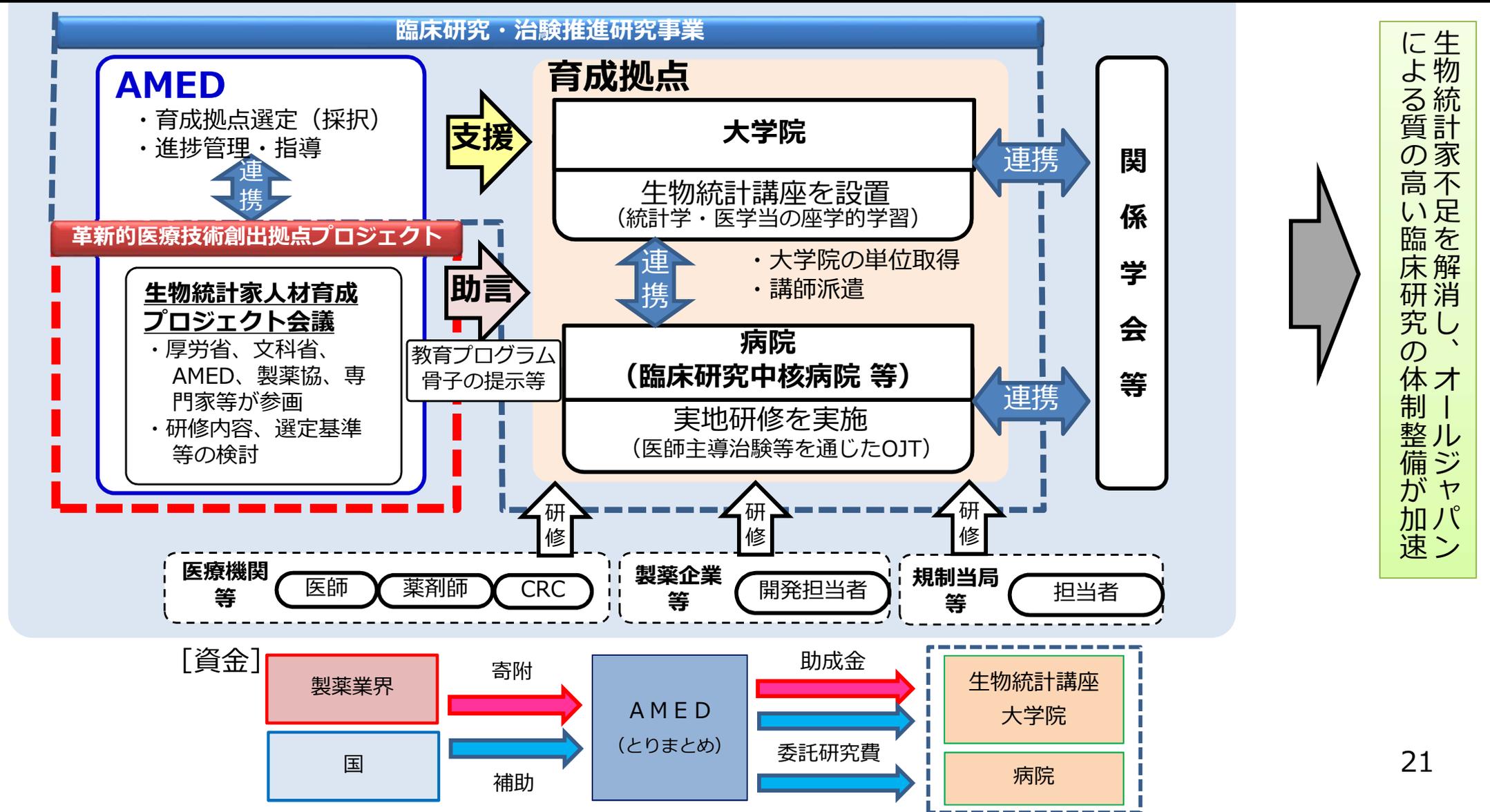
コアカリキュラムを基に、既存のe-learning体制を改修又は新たに構築し、研修受講困難な者にも同様の研修が受講できるよう対応

※平成30年度研修実績（本プログラムでの支援したもの）今後年度内に予定されているものも含む：

医師対象研修 9 件、上級CRC研修 2 件、倫理審査委員会委員研修 6 件、データマネージャー研修 4 件

# 人材育成に係る取組 (2) 臨床研究・治験推進研究事業／生物統計家育成支援事業

- 優秀な生物統計家の人材育成を目的とし、座学的教育を実施する大学院と実学的研修を実施する病院が一体となって生物統計家の育成に取り組むことを支援。その中で、大学院・病院は適切にPDCAを実践することで、高い専門性と倫理観をもったモチベーションの高い生物統計家の人材育成を行える教育プログラムを策定。
  - 平成28年度に生物統計家育成拠点として、「東京大学大学院」と「京都大学大学院」を各々核とする2つの拠点を選定。各大学院は「生物統計講座」を新たに設置し、連携病院とともに育成拠点を形成し、OJT研修も行う。
- ※ 平成30年度より生物統計情報学コース（東大）/臨床統計学分野・臨床統計家育成コース（京大）を開設。初年度入学者数：東大11人、京大11人



**論点3. 関係**  
**(治験が進みにくい分野の研究の促進)**

医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。

## 要望を公募

### ○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されていること

### ○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されていること

### ○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれの国でも未承認薬であるが、一定の要件を満たしていること

次の（1）及び（2）の両方に該当する場合「医療上の必要性が高い」

### （1）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

### （2）医療上の有用性が次のいずれかの場合

#### <未承認薬、適応外薬>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

#### <未承認薬迅速実用化スキーム対象品目>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

## 【学会、患者団体等】 未承認薬・適応外薬に係る要望

- ・ 第Ⅰ回 （2009年6月18日～8月17日）
- ・ 第Ⅱ回 （2011年8月2日～9月30日）
- ・ 第Ⅲ回 （随時）  
（2013年8月1日～2015年6月30日）
- ・ 第Ⅳ回 （随時） ← 募集中

## 【関連学会、製薬企業】 要望に係る見解の提出

## 医療上の必要性の高い 未承認薬・適応外薬 検討会議

医療上の必要性を評価

WG（分野ごと設置）

企業に開発要請  
又は  
開発企業を募集

## 【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

## 【開発支援】

- ・ 希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- ・ 公知申請への該当性の妥当性を確認
- ・ 承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

# 小児医薬品等に係る開発推進の状況（2）

## □ 小児領域の開発に対するインセンティブ：再審査期間の延長※1、薬価の加算※2

### ※1：医薬品の市販後調査の基準に関する省令の一部を改正する省令の施行及び医薬品の再審査に係る市販後調査の見直しについて（平成12年12月27日付け医薬安全局長通知（医薬発第1324号））

#### 第二 再審査に係る市販後調査の見直しについて

(2) 特に、小児集団における使用経験の情報の集積を図るため、小児への使用が想定される医薬品について承認申請中又は承認後引き続き、小児の用量設定等のための臨床試験（治験又は市販後臨床試験）を計画する場合にあっては、再審査期間中に行う特別調査等及び臨床試験を勘案し、**再審査期間を10年を超えない範囲で一定期間延長する**こととする。なお、これに伴い、平成5年8月25日薬発第725号厚生省薬務局長通知を第三のとおり改正する。

### ※2：薬価算定の基準について（平成30年2月7日中央社会保険医療協議会了解）

#### 第1章 定義 29 小児加算・・・**5~20%**

小児加算とは、次の要件を全て満たす新規収載品（市場性加算（I）の対象となるもの及び国内で小児効能に係る臨床試験を実施しておらず、かつ、小児用製剤など、小児に対して臨床使用上適切な製剤が供給されないものを除く。）に対する別表2に定める算式により**算定される額の加算**をいう。

イ 当該新規収載品の主たる効能及び効果又は当該効能及び効果に係る用法及び用量に小児（幼児、乳児、新生児及び低出生体重児を含む。以下同じ。）に係るものが明示的に含まれていること。

□ 当該新規収載品の比較薬が小児加算の適用を受けていないこと。

## 【目的】

AMEDの公募研究事業において、アカデミアと製薬企業が連携して、我が国において優先的に開発すべき医薬品のリストの作成等を行う調査研究班※を置き、小児医薬品の臨床試験が効率的に実施できる支援体制の構築を目指す事業。

※AMED臨床研究・治験推進研究事業

「小児領域における新薬開発促進のための医薬品選定等に関する研究」

研究代表者：日本小児科学会会長 高橋 孝雄

### 研究班（日本小児科学会）の役割

- 優先的に開発すべき医薬品（Priority List）の選定
- 開発の要望を受けた品目について、求めに応じて企業治験に協力できる体制を構築
  - 国内小児治験ネットワーク
  - 海外小児治験ネットワークとの連携
- 一元的な運営・管理体制を構築し、小児医薬品開発を推進・支援する体制を整備
  - 国際共同研究支援事務局@成育医療研究センター

### 製薬業界の対応

- 欧米での開発計画の提供
  - 欧米での開発計画があり、我が国でも小児適応の開発の実施が可能で、企業の開発意志があると判断されるもの 等
- 追加情報の提供
  - 治験薬概要書、プロトコール等
- 研究班から開発要望された場合、当該品目の国内開発（企業治験）を実施
  - 関連学会と連携・協力した開発支援が期待
  - AMED-CiCLEによる支援（開発費の貸付補助、伴走型支援）の対象として優先考慮



平成29年度の事業開始からこれまでに、**企業側から10品目の応募**

**論点4. 関係  
(国民患者の理解と参画)**

# 国民参加等に係る取組 (1) 臨床研究データベースシステム管理事業

○ 臨床研究法の成立に伴い、附帯決議で付された検討課題に対応するため、臨床研究の概要、進捗状況及び結果を登録する公的データベース（jRCT：Japan Registry of Clinical Trials）を構築・運営する。

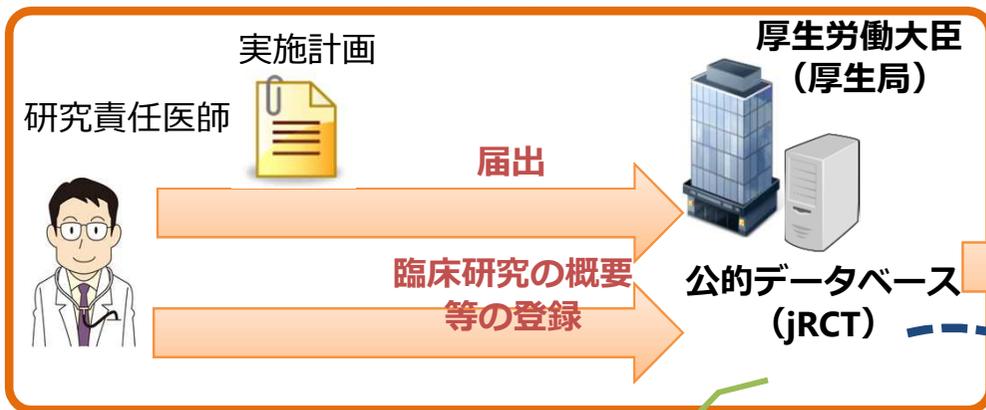
⇒臨床研究の実施計画については、厚生労働省に届出を行い、公開することとなっていることから、厚生労働省として、公開内容が公的データベースの内容と一致していることを担保する必要

⇒研究者に二重登録による過度の負担をかけないことや、公開内容の一元性の観点から、臨床研究の実施計画の届出・公開と臨床研究の概要等の登録が一体となった公的データベースシステムを構築する必要

【臨床研究法案に対する附帯決議（衆・参厚労委）】

研究過程の透明性を確保し、研究の進捗状況の把握や学術的解析を可能にするため、臨床研究実施基準において、臨床研究の概要、進捗状況及び結果を公的なデータベースに登録する旨を規定し、臨床研究の結果を含む情報の登録・公開要件等の拡充について検討すること。

## 研究開始時



## 研究実施時・終了時



### 【届出事項】

- 臨床研究の名称、目的、内容（試験デザイン、対象疾患、研究参加の選択・除外基準等を含む）
- 研究責任医師の氏名、所属機関（実施医療機関）
- 関連の製造販売業者の名称、研究資金等の状況
- 対象者への補償及び保険加入の有無
- 審査担当の認定臨床研究審査委員会の名称 等

事業者  
(委託先)

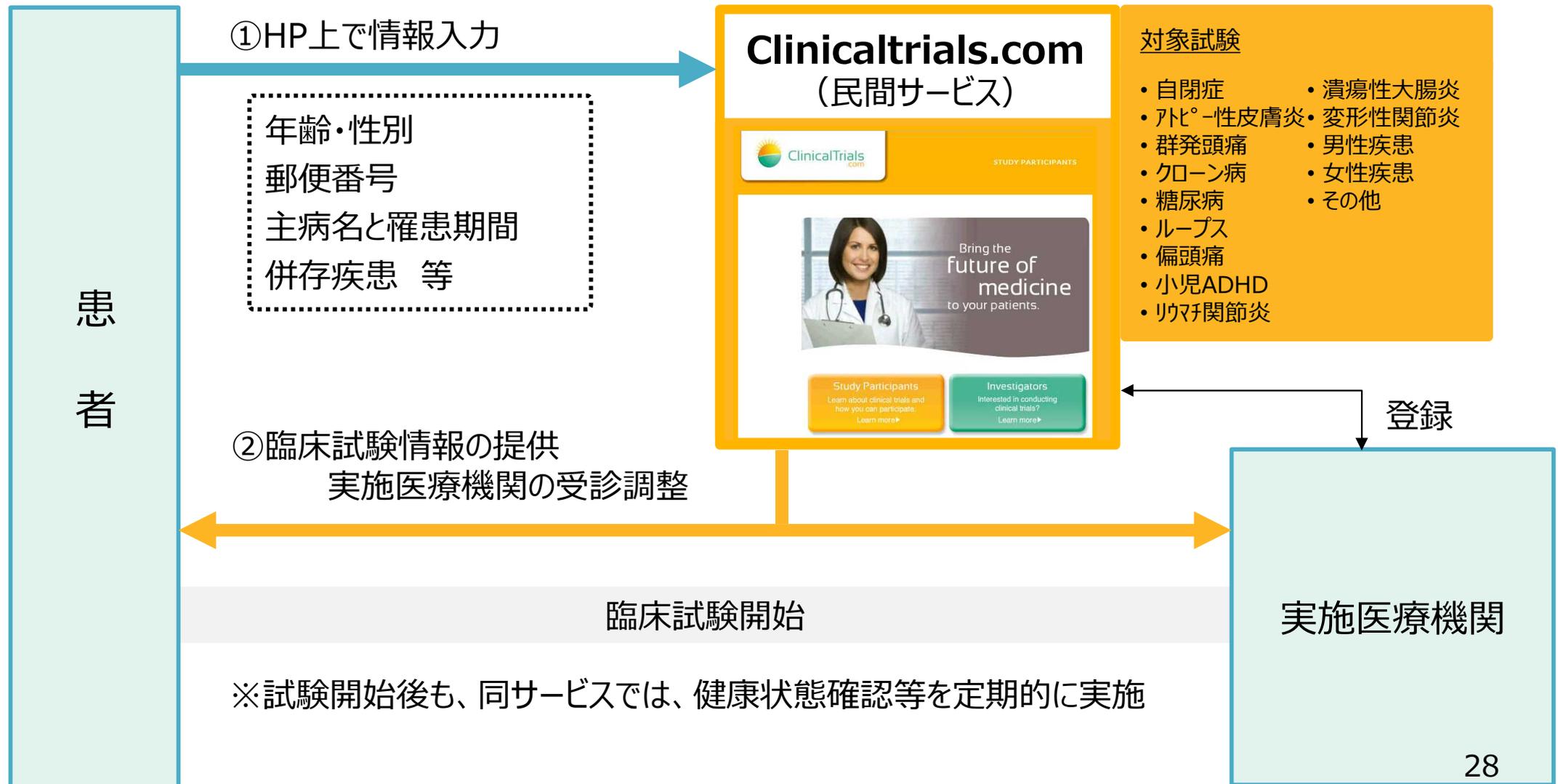


臨床研究実施計画等のデータを保管し、特定臨床研究の実施状況を管理 等

# (参考) 米国 (民間) の治験登録に関する取組

<http://www.clinicaltrials.com/>より

- 米国では、患者自らの情報をエントリーし、候補治験と実施施設の調整・支援を行う民間サービスがある。
- 具体的には、患者に対してはエントリー可能な臨床試験情報の提供及び実施医療機関の受診調整、加えて、実施医療機関に対して臨床試験に関連する業務の支援が行われている。



※Patient and Public Involvement

AMEDでは、医療研究開発分野のファンディング機関の立場から、臨床研究等における患者・市民参画に関する国内外（主に米国・英国）の実態把握を行うとともに、AMEDにおける患者・市民参画に関する基本的考え方を整理し、PPIに関する研修を試行することを目的とした委託調査「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」を実施（平成29～30年度に調査を実施し、最終とりまとめは平成31年春頃になる見込み）。

## AMEDの「研究への患者・市民参画（PPI）」の定義等

### 定義

<https://www.amed.go.jp/ppi/teiginado.html>

AMEDでいう「医学研究・臨床試験における患者・市民参画」とは、医学研究・臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者・市民の知見を参考にすること、とする

※患者・市民：患者、家族、元患者（サバイバー）、未来の患者を想定

※医学研究・臨床試験のうち、当面、特に医師主導治験、介入研究、観察研究（非介入研究）等が対象となるものと想定

### 理念

医学研究・臨床試験における患者・市民参画を進めることにより実現されること

- ▶ 患者等にとってより役に立つ研究成果を創出する
- ▶ 医学研究・臨床試験の円滑な実施を実現する
- ▶ 被験者保護に資する（リスクを低減する）

### 意義

- 研究者にとって
  - ▶ 研究者が研究開発を進める上での新たな視点と価値を獲得することができる
  - ▶ 患者の不安・疑問点を解消し、医学研究・臨床試験の理解を促進することができる
- 患者・市民にとって
  - ▶ 医学研究・臨床試験の参加者にとっての利便性を向上、理解を促進させることができる
  - ▶ 患者・市民にとって医学研究・臨床試験が身近になり、医療に対する関心を高めることができる

調査の一環として「**医学研究・臨床試験へのPPIガイドブック（仮）**」を、外部有識者協力のもと現在作成中。



※H31年度春公開予定

※イメージ案

また、ガイドブックに先駆け、AMED「研究への患者・市民参画（PPI）」に関するリーフレットを公開（次スライド参照）



## AMEDにおけるPPIの取組の推進

- ◆ 2019年度新規公募から、
  - ・公募要領に「医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）の推進」を掲載
  - ・研究開発提案書及び成果報告書に、PPIの取組に関する任意記載欄を設置 ※ただし評価対象外

<https://www.amed.go.jp/ppi/leaflet2018.html>

## Q1 医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）ってなに？

A

AMEDでは、患者・市民として、患者・家族・元患者（サバイバー）・未来の患者といった方々を想定しています。そして、患者・市民参画（PPI）を、研究者が研究を進める上で、患者・市民の知見を参考にすること、と定義しています。

〈AMEDがPPIを通じて目指していることは、以下の3つです〉

- 1 患者・市民により役に立つ研究成果を創出する
- 2 研究の円滑な実施を実現する
- 3 研究参加者保護に資する

特定の人に研究に参加してもらうことや、社会へ研究成果を発信することはPPIには含まれません。  
PPIは、研究者が患者・市民の意見を聞きながら、参考になる意見を研究計画に反映して、ともに研究をデザインしていく手法です。

人を対象とした、医師主導治験・介入研究・観察研究（非介入研究）などが対象です。



## Q3 PPI活動って、何をすればいいの？

A

自分の研究にPPIを取り入れてみたい！と思われた方は、ちょっと判断に迷うことについて、患者・市民の意見を聞いてみましょう。以下のような具体例を参考に、PPIを実践してみてください。

- |    |  |
|----|--|
| 例1 | 患者・市民との意見交換会を実施し、そこで得た意見をもとに、自分の研究テーマの優先順位を検討する。   |
| 例2 | 研究計画を練る際に、患者・市民の意見を聞いて、研究対象者に負担を減らすような参加方法（通院スケジュール、検査方法など）を決める。   |
| 例3 | 説明同意文書を作成する際に、患者・市民に雛形を読んでもらい、わかりにくい箇所がないか確認したり、詳しく説明してほしい箇所／詳しく説明しなくてもよい箇所を聞いたりする。参考になる意見は、説明同意文書に反映する。 |
| 例4 | 研究成果を発信する前に、患者・市民に発信内容に目を通してもらい、わかりやすい表現になっているか、聴衆として知りたい情報が載っているか意見をもらう。参考になる意見をもとに、発信内容を改善する。          |

意外と簡単なところから始められるんだなあ



## Q2 PPIのメリットは？

A

PPIの実施には、研究者、患者・市民の双方に以下のようなメリットがあるとAMEDは考えています。

メリット

- 研究開発を進める上での新たな視点と価値を発見することができる
- 患者の不安・疑問点を解消し、臨床研究の理解を促進することができる

研究者

患者・市民

メリット

- 研究参加者にとって負担の少ない実施体制になる
- 患者・市民にとって研究が身近になり、関心を高めることができる



## Q4 PPI活動の注意事項は？

A

研究者からよく寄せられる相談をもとに、注意事項をまとめました。PPI活動を検討・実践する際、ぜひ意識してみてください。

PPIに替えて、文献調査を通じて間接的に患者・市民の意見を推測するなどの代替活動から始めてもかまいません	PPIは、研究参加者を募集する場ではありません
PPIの目的（どんな意見がほしいのか）を、患者・市民に伝えましょう	患者・市民の意見をすべて受け入れる必要はなく、どの意見を採用するかは研究者が決められます

PPI活動を終了したら、研究計画にどのように反映したのか／しなかったのか、患者・市民に結果を伝えましょう。



**論点6. 関係  
(臨床研究法の円滑な施行)**

### 背景・目的

- 平成30年4月から臨床研究法が施行。未承認・適応外の医薬品等を用いるなどの特定臨床研究については、国が一定の要件を満たすことを認定した「認定臨床研究審査委員会」における審査を義務付け。
- 臨床研究に係る制度の在り方に関する検討会の報告書（平成26年12月11日）では「倫理審査委員会が適切に審査を行うことができるよう、様々な支援の方策についても併せて検討が必要である。」とされており、認定臨床研究審査委員会の能力向上を図るため、適切に支援を行っていく必要がある。

### 概要

#### 模擬審査

- 架空の研究計画書を作成し、複数の認定委員会に対して審査をさせることを通じて審査能力の向上を図る「**模擬審査**」を行う。
- 対象機関は、30機関程度を想定。研究計画書は5種類程度の疾患分野について作成。
- 各認定委員会において、実際に審査を実施。同じ研究計画書を担当した委員同士で、審査結果を共有し、意見交換。
- 意見交換の結果は、全ての認定委員会と共有。



#### 審査意見業務の状況把握

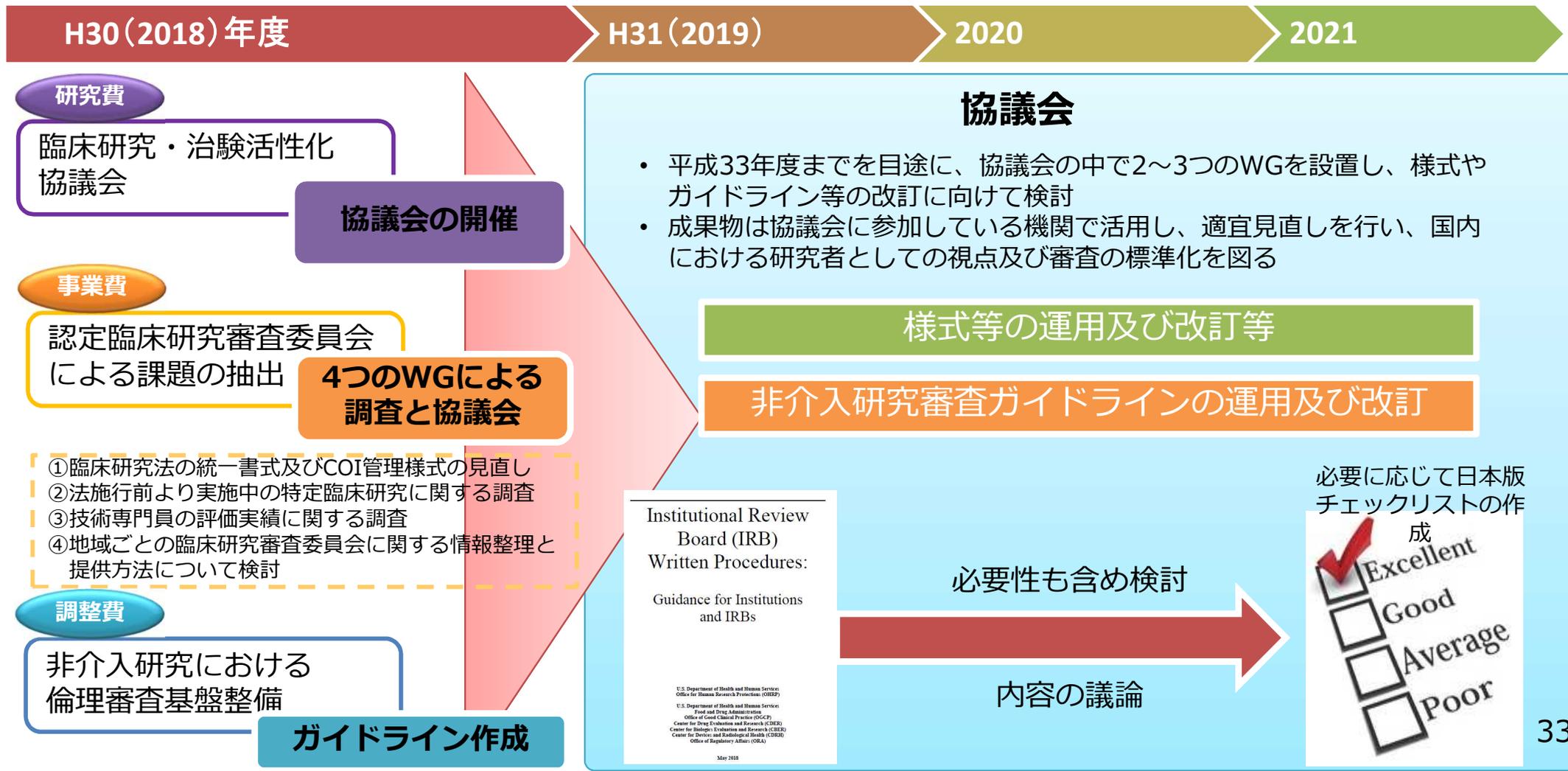
- 全委員会に対して、議事録を確認し、必要に応じて実地調査等を行い、**審査意見業務の状況把握**を行う。
- 法令に基づく基準（全員の意見を聞いているか、全会一致を目指しているか等）を満たしているかどうかを確認。

#### 業務規定モデルの作成

- 法令の定めを満たす標準的な**業務規程モデル**（**審査手数料の区分を含む。**）を作成する。
- 各認定委員会の審査手数料、標準的な審査スケジュール等を一覧にまとめた資料を作成する。

# 法運用に係る取組 (2) 中央IRB促進事業

- 臨床研究を実施する際には、研究のデザインによって臨床研究法や倫理指針等、守るべき規則が異なるなど、近年の臨床研究を取り巻く環境が年々複雑化してきている。
- これまで、研究機関が自機関における課題等について意見交換をする場として、活性化協議会が年に2回開催されてきている。これと同様に、**本事業において、臨床研究審査委員会及び倫理審査委員会の意見交換の場として協議会及びWGを開催し、委員会における課題解決のための検討などを実施している。**
- 他方で、2018年5月にFDA及びHHSがIRBについてのチェックリストを作成しており、今後、米国でもIRBについての手続きの標準化、統一化の動きが加速すると予想される。このため、平成31年度以降は、協議会を集約し海外の動向も見つつ、これまでの各々の成果物を活かしながら、研究機関の体制整備と審査の視点の共通化を図る予定であり、これにより、国際共同治験・研究をより実施しやすい環境づくりを図る。



## **論点7. 関係 (その他)**

# リアルワールドデータ活用に係る取組 (1) CIN

## CIN (クリニカル・イノベーション・ネットワーク) 基本方針

平成29年3月22日  
臨床開発環境整備推進会議 了承

### ○目標

- レギュラトリーサイエンスに基づき、**疾患登録システムを活用した革新的な医薬品等の開発環境を整備**することにより、**我が国の医薬品・医療機器等の開発競争力を強化**する。
- 透明性及び個人情報に配慮した上で、**診療で得られるリアルワールドデータを収集・解析する体制・システムを整備**し、**創薬や医療の場で有効に活用**する。
- 以上により、新薬等を速やかに国民に提供することを通じて、健康寿命を延伸する。

### ○基本方針

- 疾患登録システムを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進し、**我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進**するため、以下の取組を行う。
  - 我が国で整備が進む**疾患登録システムに関する情報を整理**するとともに、治験・市販後調査・臨床研究を推進するための**課題解決を行う体制を構築**する。
  - レギュラトリーサイエンス研究に基づき、海外の規制当局の動向も踏まえて、**疾患登録システムを治験・市販後調査に活用するための国際連携等の環境整備**を行う。疾患登録システムの要件（用途別）及び信頼性基準の確立とそれに基づいて、**薬事承認・再審査に疾患登録システムを用いるためのガイドラインを策定**する。
  - 検証結果を踏まえ、**受益者負担による疾患登録システムの維持管理体制を構築**する。

### ○各年次 重点項目

#### 2016 連携体制の整備

横串研究班（武田班、林班）の設置、NC-WG、PMDA-WG、AMEDシンポジウムの開催

#### 2017 レギュラトリーサイエンスに基づいた疾患登録システムの構築

市販後調査及び治験対照群としての活用を目指した新たなレジストリの構築（2016年度に医薬品3課題、医療機器1課題を採択）

承認審査に資する疾患登録システムの評価基準の検討

ワンストップサービス拠点の整備を開始

#### 2018 臨床研究・治験の推進

2020のガイドライン作成等に資する検証的臨床研究・治験を実施

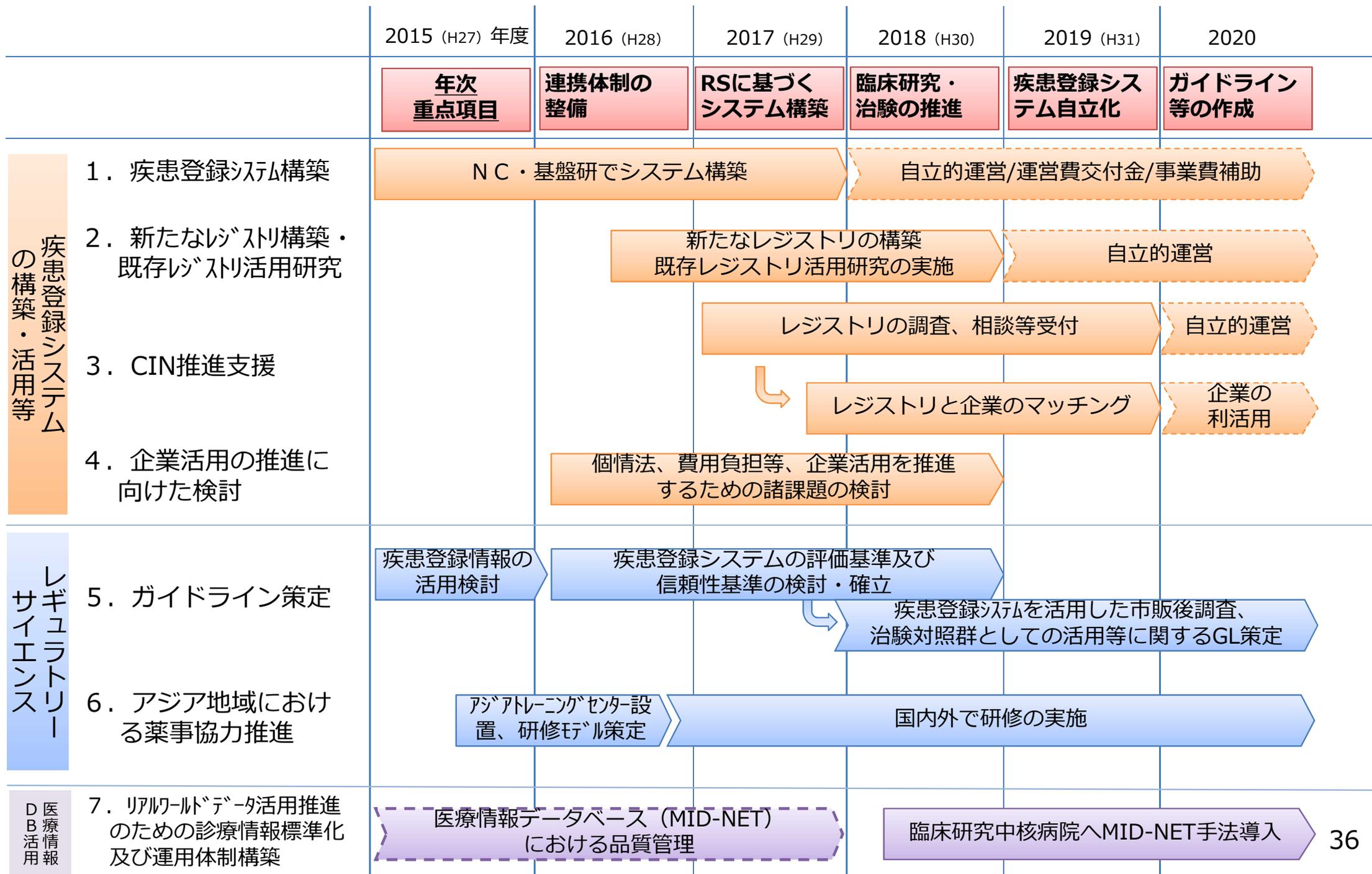
#### 2019 疾患登録システムの自立化に向けた検討

疾患登録システムの自立化に向けた検討、ターゲット年度に向け疾患登録システムのデータ登録等を加速

#### 2020 ガイドライン等の作成

疾患登録情報を活用した治験・臨床研究に関するガイドライン等の作成

# リアルワールドデータ活用に係る取組 (2) CINのロードマップ



# リアルワールドデータ活用に係る米国FDAの取組 (1)

米国FDAでは、2016年12月に成立した21st Century Cures法に基づき、リアルワールドエビデンスの活用について検討を進めているところ。この検討の一環で、昨年12月に、**リアルワールドエビデンスを新薬や既存薬の効能追加の承認等に活用できるかを評価・検討する際のFDAの考え方（フレームワーク）を公表**

【主な内容】 ※本文からの抜粋とその概要

(Introduction)

**The 21st Century Cures Act** (Cures Act), signed into law on December 13, 2016, **is designed to accelerate medical product development and bring new innovations and advances faster and more efficiently to the patients who need them.** Among other provisions, the Cures Act added section 505F to the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (FD&C Act). Pursuant to this section, **the Food and Drug Administration (FDA) has created a framework for evaluating the potential use of real-world evidence (RWE) to help support the approval of a new indication for a drug already approved** under section 505(c) of the FD&C Act or to help support **or satisfy drug postapproval study requirements.** In addition to drug and biological products approved under section 505(c), this framework is also intended for application to biological products licensed under the Public Health Service Act. The framework does not cover medical devices.

⇒

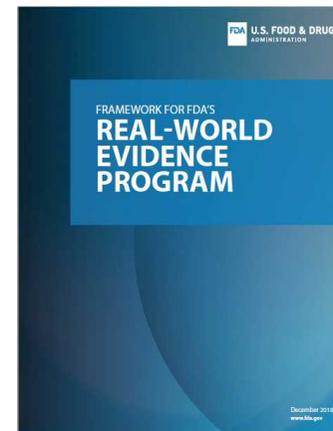
- **Cures法は、医薬品、医療機器等の開発を促進し、革新的で先端的な品目をより早く効率的に患者に提供するように規定**
- **法の規定に基づき、FDAは、リアルワールドエビデンスを新薬や既存薬の効能追加の承認や、製造販売後の安全対策の際に活用できるかを評価・検討するためのフレームワークを作成**

(Current Use of RWD for Evidence Generation)

In limited instances, **FDA has accepted RWE to support drug product approvals, primarily in the setting of oncology and rare diseases.** When approval is based on a single-arm interventional trial — **often when using a parallel assignment control arm is unethical or not feasible and usually when the effect size is expected to be large, based on preliminary data** — the supportive RWE has consisted of data on historical response rates drawn from chart reviews, expanded access, and other practice settings.

⇒

- **FDAは、主になんがん領域や希少疾病領域において、リアルワールドエビデンスを受け入れてきた（例えば、コントロール群への割付けが非倫理的であったり、実施困難である場合）（例）Blincyto (blinatumomab)**



# リアルワールドデータ活用に係る米国FDAの取組 (2)

## Framework for Evaluating RWD/RWE for Use in Regulatory Decisions

政策決定のためのリアルワールドデータ/エビデンスを評価・検討するためのフレームワーク (考え方)

### Using Trials or Studies with RWD/RWE for Effectiveness Decisions

As previously noted, there is considerable interest in using RWD to generate RWE to support regulatory decisions about the effectiveness of drug products. **FDA has used RWD primarily in its evaluation of safety and only in limited circumstances to inform decisions about effectiveness. FDA's RWE Program will therefore focus on exploring the potential of RWD/RWE to support regulatory decisions about product effectiveness.** Specifically, FDA's RWE Program will evaluate the potential use of RWE to support changes to labeling about drug product effectiveness, including adding or modifying an indication, such as a change in dose, dose regimen, or route of administration; adding a new population; or adding comparative effectiveness or safety information.

### The framework will include consideration of the following:

フレームワークには以下の観点からの考察が含まれている

1. **Whether the RWD are fit for use** : リアルワールドデータが使用に合致しているか
2. **Whether the trial or study design used to generate RWE can provide adequate scientific evidence to answer or help answer the regulatory question** : リアルワールドエビデンスを生み出す試験デザインが制度上の疑問に答えるための十分な科学的根拠を提供できるものか
3. **Whether the study conduct meets FDA regulatory requirements (e.g., for study monitoring and data collection)** : 試験が、FDAが設定する制度上の要件を満たしているか

FDA intends to use this three-part approach to evaluate individual supplemental applications, as appropriate, and more generally to guide FDA's RWE Program. The RWE Program will involve the establishment of demonstration projects, engagement with stakeholders, the use of internal processes that bring senior leadership input into the evaluation of RWE and promote shared learning and consistency in applying the framework, and the development of guidance documents to assist sponsors interested in using RWE to support their work.