

第 2 回がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議に対する意見 平成 31 年 3 月 8 日

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
理事長 末松 誠

第 2 回がんゲノム推進コンソーシアム運営会議に際し、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の理事長として、がんゲノム医療のより効果的な推進に向けた取組について以下の 2 点の意見を申し上げる。

1. 新たな開発コンセプトの実装に向けた開発側と審査側の意見交換
2. C-CAT におけるデータシェアリング（データ提供）のさらなる推進

#### 1. 新たな開発コンセプトの実装に向けた、開発側と審査側の意見交換について

「ゲノム検査に基づく治療の推進」（資料 1 の 3 ページ）については、特に頻度の低い遺伝子変異に対する医薬品の開発が大きな課題ととらえている。

この領域においては、近年いわゆるアンブレラ-バスケット型といわれる、変異遺伝子に基づくがん種横断的な承認を目指した開発などが増えきている。しかし、これは新たな開発コンセプトであることから、開発側からみると、現時点では PMDA における承認例もわずかであり、どのような evidence を出せば承認されるかが不明確であり、開発に高いリスクを抱えている状況である。一方、審査側においては具体的な事例なしには必要な evidence の判断ができず、両すくみ状態となって開発が進まない懸念がある。

このような新たな開発コンセプトをスムーズに実装していくためには、開発側である AMED や製薬協などと、審査側である PMDA や厚労省が開発手法の課題やその解決策、必要な evidence 等について、具体的かつ実効性のある意見交換を行うことが重要と考えるので、ご検討頂きたい。

#### 2. C-CAT におけるデータシェアリング（データ提供）のさらなる推進について

C-CAT に集められるゲノムデータについては、がんゲノム医療を受ける全ての患者を対象とするため、研究開発において非常に貴重なデータベースとなる。

AMED は、発足以来データシェアリングの推進を進めてきているが、がんゲノム医療においてもデータの適切な活用が、幅広い研究者の参画と研究の活性化、データのより効果的な収集につながるものと考えている。

このため、特にデータを提供するがんゲノム医療中核拠点病院、がんゲノム医療連携病院において、できる限り C-CAT と同じ条件でデータに簡便にアクセスできる環境を整えることが重要である。具体的には、資料 2-2 「C-CAT 集積データ二次利活用ポリシー骨子案」の中に、がんゲノム医療中核拠点病院等のデータ提供側への二次データの提供を、より積極的かつ効果的に行うよう明確に位置づけていただきたい。

C-CAT のデータベースは、公費で立ち上げられることから、確実に「活用」されるデータベースとなるよう具体的な運営を行って頂きたい。