

## 4) 臨床応用基盤研究事業

### 4-1) 臨床応用基盤研究(基礎研究成果の臨床応用推進研究)

事務事業名	基礎研究成果の臨床応用推進研究経費
担当部局・課主管課	医政局研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

#### (1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	先端医療実現のための基盤技術の開発
実現目標	世界に冠たる先端技術の迅速かつ効率的な臨床応用による革新的医療の実現

#### (2) 事務事業の概要

##### 事業内容(一部新規)

我が国で生み出された基礎研究成果を臨床現場に迅速かつ効率的に応用していくために必要な技術開発、探索的な臨床研究等を推進するとともに、画期的かつ優れた治療法の確立を目指すことを目的とする。

具体的には、主任研究者又は分担研究者が出願している薬物又は医療技術等の基本特許を活用して、画期的かつ優れた治療法として3年以内に探索的な臨床研究に着手しうることが明らかな薬物又は医療技術に関する研究を応募にあたっての条件としている。ただし、平成17年度からは、がんに関する研究は採択対象外としている。

また、平成18年度からは、探索的臨床研究成果を発展させることで迅速な実用化が見込まれる研究についても公募対象とする。

##### 予算額(単位:百万円)

H14	H15	H16	H17	H18
1,250	1,100	1,034	1,004	(未確定値)

#### (3) 趣旨

##### 1) これまでの研究事業の成果

本研究事業により、癌ペプチドワクチンの初期段階の臨床試験の実施(試験終了。良好な臨床効果)、重症突発性肺胞蛋白症に対するGM-CSF吸入療法臨床研究の実施、国内初の自己骨髄細胞を用いた肝臓再生療法の臨床試験の開始、虚血性疾患患者への血管内皮前駆細胞移植の臨床研究の開始等の数々の成果が得られている。

##### 2) 残されている課題

本事業等の支援により、探索的臨床研究実施可能な(もしくは数例実施済み)状況に到達する等、一定の成果を挙げているにも関わらず、次のステップである実用化に向けた本格的な臨床研究にスムーズに移行できない事例が多くあることが判明した。

しかし従来の研究事業の中ではそのような段階の研究は採択の対象外となるため、適切な支援をすることが出来ない。そこで円滑に実用化へ移行することができるような対応が必要である。

##### 3) 今後この事業で見込まれる成果

基礎的な段階に留まっている優れた研究成果について実用化を促進することにより、臨床現場への有用な医薬品・医療技術等を迅速に提供する機会が増加することが見込まれる。

## 2. 評価結果

### (1) 必要性

日本の生命科学基礎研究の進歩は目覚ましく、その成果は欧米に劣るものではないが、それらを応用する保健医療分野の臨床研究は、一部に特出した研究があるものの、欧米に比べて一般に活発ではない。このため、治療技術等として医療現場において実用化できる可能性のある画期的な基礎研究成果が、日本で実用化されるよりも前に欧米で実用化される例も見られる（例：乳がんに対する画期的な抗がん剤であるハーセプチン）。

また、日本においては、企業が治験等の実用化直前の研究に研究費を多く向ける傾向があり、基礎研究成果の実用化の可能性を見極める研究については投下される資金が少ない。

このような中、本研究事業により基礎的な段階に留まっている研究成果について実用化が促進され、国民に有用な医薬品・医療技術等を提供する機会が増加することが見込まれる。こうしたことから、基礎研究成果を臨床に応用することについて、その有用性を見極めや臨床応用に際しての課題を解決することを目的とした当該研究を推進する必要がある。

### (2) 効率性

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、国民に新たな有用な医薬品・医療技術等を提供する機会が増加することを目標としており、それに対しての寄与によって達成度が示される。これにより、効率的な運営がなされていると考えられる。

### (3) 有効性

「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」を踏まえ、本研究事業に関する評価指針を策定し、専門家等による評価（事前評価、中間・事後評価）を実施している。

さらに、当該研究事業の成果によって、優れた医薬品・医療技術等が国民に提供されることにつながり、保健医療への貢献度は高い。

### (4) 計画性

基礎レベルでとどまっている研究成果の臨床応用を促進するため、応募する研究者が薬物又は医療技術等の基本特許を持ち、その特許を活用して、画期的かつ優れた治療法として研究期間内に探索的な臨床研究に着手しうることができる研究を公募し、外部評価委員等が評価して採択している。また、これまでの事業実績に基づいて必要と考えられる研究分野への支援についても対応するなど、計画的に事業を実施している。

### (5) その他

特になし

## 3. 総合評価

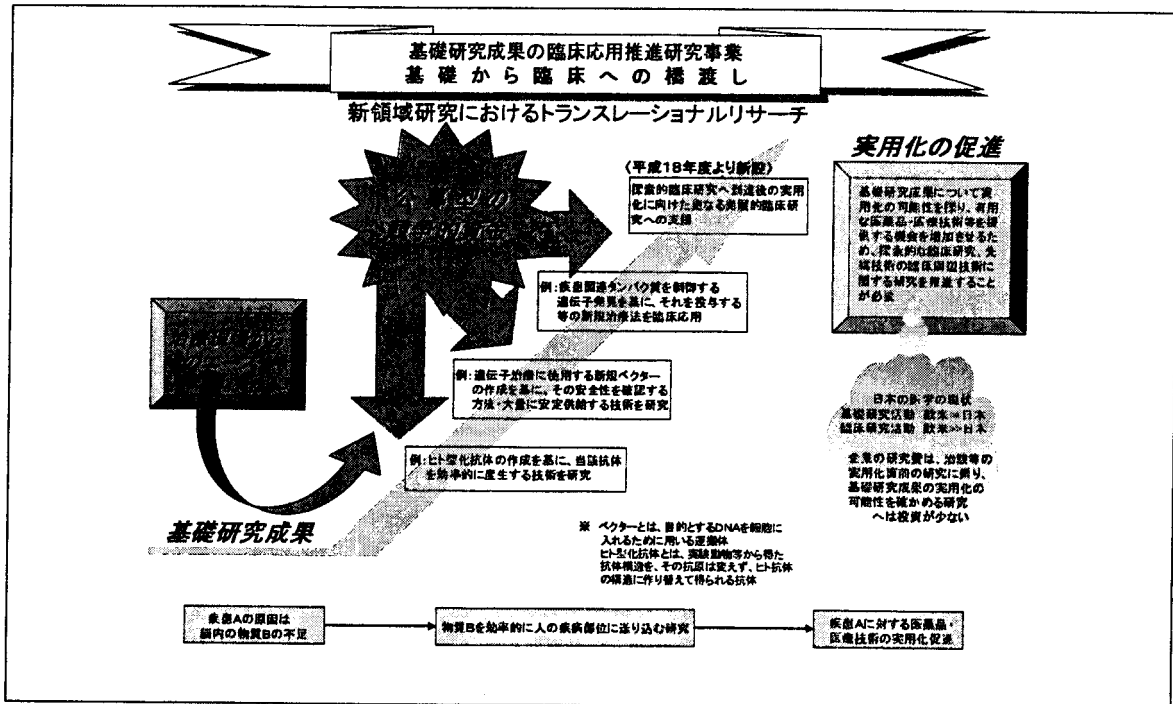
近年、医薬品の研究開発を巡っては製薬企業間によるグローバルな競争が激化しているが、残念ながら、創業環境として我が国の市場は国際的に魅力的なものとはなっておらず、我が国における医薬品等産業の国際競争力の弱体化が懸念されている。さらに、日本においては、企業が治験等の実用化直前の研究に資金を多く向ける傾向があり、基礎研究成果の実用化の可能性を見極める研究については投下される資金が少ないのが実態である。

このような状況において、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・医療技術等を提供する機会が増加することが見込まれる。こうしたことから、基礎研究成果を臨床に応用することについて、その有用性を見極めや臨床応用に際しての課題を解決することを目的とした研究を推進することは重要と認められる。

平成14年度から開始された事業であるが、すでにいくつかの研究においては、基礎研究成果の臨床応用が開始されておりさらなる成果が期待される。

今後も、基礎研究成果の迅速かつ効率的な臨床応用に向けてより一層の充実が望まれる。

4. 参考 (概要図)



#### 4-2) 臨床応用基盤研究 (医療技術実用化総合研究)

##### 4-2-1) 臨床応用基盤研究 (医療技術実用化総合研究) : 小児疾患臨床

事務事業名	医療技術実用化総合研究経費 (小児疾患臨床研究) (仮称)
担当部局・課主管課	医政局 研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

#### (1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	臨床研究 (治験) 基盤の整備の推進
実現目標	国民ニーズに合った安全かつ効果的な革新的医療の臨床現場への速やかな提供

#### (2) 事務事業の概要

##### 事業内容 (継続)

小児科領域の現場では、医薬品の7割～8割が小児に対する適用が確立されていない状況で使用されている。小児疾患のように企業が開発し難い疾患分野にあつては、行政的にその研究を支援する必要がある、さらに小児科領域における根拠に基づく医療 (EBM = Evidence Based Medicine) の推進を図るため、倫理性及び科学性が十分に担保された質の高い臨床試験の実施を推進することが重要である。

このような状況をふまえ、本研究事業は、小児科領域における倫理性及び科学性を十分に担保した質の高い臨床研究を実施し、根拠に基づく医療 (EBM) の推進を目指している。さらに、平成17年度からは、当初からの事業内容に加え、小児への適応が未確立な医薬品に対する、安全性・有効性の確認、用法・用量の検討・確立等に関する研究枠を一般公募型として新設した。平成18年度においても予算を増額し、支援する研究事業を増加させ、小児領域の標準的医療技術の確立及び医薬品の適正使用の推進する。

##### 予算額 (単位: 百万円)

H14	H15	H16	H17	H18
240	199	194	174	(未確定値)

#### (3) 趣旨

##### 1) これまでの研究事業の成果 (継続の場合)

これまでに、麻酔薬、抗腫瘍薬について用法・用量、有効性、安全性等について評価を行い、医師主導型治験を実施するための標準業務手順書を作成する等の成果が得られた。この成果を活用することにより、医師主導による治験の実施に結びつく等の成果を挙げて

いるところである。

## 2) 残されている課題

小児疾患に関しては、医薬品の7～8割が小児に対する適用が確立されておらず、医療の現場では適応外で使用されている。次世代を担う子供に対して、エビデンスに基づく医療を提供することは、厚生労働行政における重要な課題である。すなわち、小児科領域における根拠に基づく医療を推進するため、倫理性及び科学性が担保された臨床研究の実施をより一層推進する必要がある。このため、所要の予算額の確保が最も重要な課題である。

## 3) 今後この事業で見込まれる成果

海外に比べ日本の臨床研究環境は、スピード、費用、質の面で劣っているという指摘があるが、本研究事業を実施することにより、臨床研究の成果を評価・蓄積し、小児疾患分野について根拠に基づく医療（EBM）の推進が図られ、小児分野の標準的医療技術の確立及び医薬品の適正使用に貢献することが期待される。

## 2. 評価結果

### (1) 必要性

小児疾患に関しては、医薬品の7～8割が小児に対する適用が確立されておらず、医療の現場では適応外で使用されているのが現状であり、企業が開発し難い疾患分野にあっては、行政的にその研究を支援する必要がある。さらに小児科領域における根拠に基づく医療の推進を図るため、倫理性及び科学性が担保された臨床研究のさらなる実施を目指す必要がある。

### (2) 効率性

小児領域における倫理性及び科学性が十分に担保された質の高い臨床試験を実施し、エビデンスを収集して根拠に基づく医療（EBM）を推進することによって、患者へのより安全・安心な医療技術の提供に結びつけることを目標としており、これらの目標に対する寄与によって達成度が示される。これにより、効率的な運営がされていると考えられる。

### (3) 有効性

本事業に関する評価指針を策定し、小児疾患に係る根拠に基づく医療（EBM）の実現を図るため、研究課題を専門家等により、厳正に評価（事前評価、中間・事後評価）しているところである。さらに、当該研究の成果の活用により、確固としたエビデンスに基づく医療を小児に対して提供できるようになると考えられ、保健医療に対する貢献度は高い。

### (4) 計画性

本研究事業は、小児科領域における倫理性及び科学性が十分に担保された質の高い臨床研究を実施し、エビデンスを収集して根拠に基づく医療（EBM）の推進を目指している。この目的を達成するため、公募による競争的資金により研究の支援を行っている。研究課題の採択にあたっては、公募により広く課題を収集し、その中から優れた研究を選択している。また、平成17年度からは従来の研究内容では対応しがたかった課題に対応するため新

たな研究分野を設けるなど計画的に事業を推進している。

(5) その他

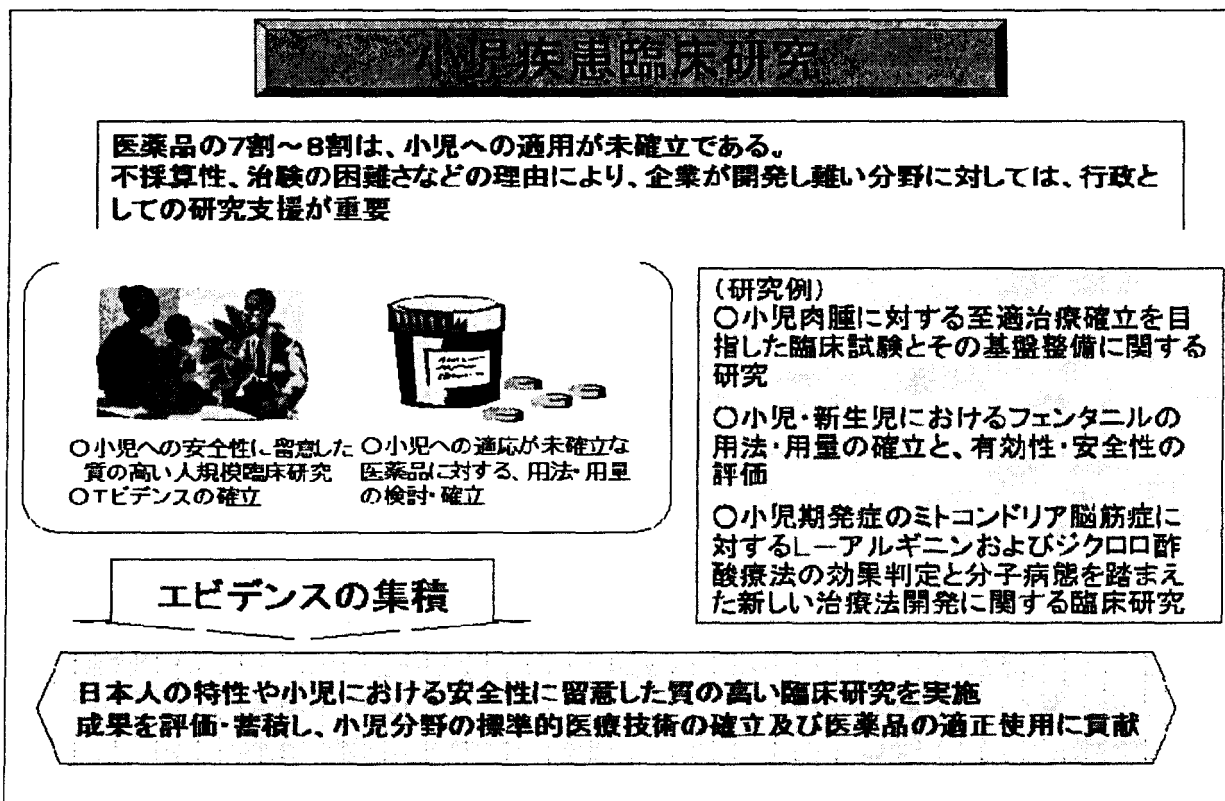
特になし

### 3. 総合評価

現在、小児科領域の現場では、多くの医薬品について小児に対する適用が確立されていない状況で使用されている。小児疾患のように企業が開発し難い疾患分野にあっては、行政としてその研究を支援していく必要があり、根拠に基づく医療（EBM）の推進を図るため、倫理性及び科学性が十分に担保された質の高い臨床試験の実施を目指す必要がある。

海外に比べ日本の臨床研究環境は、スピード、費用、質の面で劣っているという指摘があるが、本研究事業を実施することにより、小児疾患分野についてEBMが推進され、小児分野の標準的医療技術の確立及び医薬品の適正使用、患者へのより安全・安心な医療技術の提供が図られることを強く期待する。

### 4. 参考（概要図）



#### 4-2-2) 臨床応用基盤研究（医療技術実用化総合研究）：治験推進

事務事業名	医療技術実用化総合研究経費（治験推進研究）（仮称）
担当部局・課主管課	医政局 研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

##### (1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	臨床研究（治験）基盤の整備の推進
実現目標	国民ニーズに合った安全かつ効果的な革新的医療の臨床現場への速やかな提供

##### (2) 事務事業の概要

###### 事業内容（継続）

国際基準に則った新 GCP 施行や外国臨床データ受け入れ拡大等の影響から、我が国での治験の実施数が減少している（「治験の空洞化」といわれている）。これにより、国内における医薬品等の開発が遅れ、画期的な治療薬に治験の活性化を図るとともに、患者がアクセスできないなどの問題が生ずると考えられる。このような問題に対応するため、治験環境の整備を行い、医療上必須かつ不採算の医薬品・医療機器に関しては、医師主導の治験を行うこと等により、患者に必要な医薬品・医療機器の提供を迅速に行うことが必要である。

本研究事業は質の高い治験が実施されるように、症例数が速やかに確保されるような体制が整備し治験環境の充実を図るとともに、欧米で標準的な医薬品等に対する日本国民のアクセスを改善するため、モデル事業として医師主導治験の実施を支援することを目的としている。

###### 予算額（単位：百万円）

H14	H15	H16	H17	H18
	850	1,082	1,082	(未確定値)

##### (3) 趣旨

###### 1) これまでの研究事業の成果（継続）

- ・ 大規模治験ネットワークを通じて治験インフラの整備を行った。（平成16年度末の登録医療機関数は991施設）
- ・ 臨床現場で必須であるが、市場性の問題などから適用外で使用されている医薬品を日本医学会を通じて情報を収集しリストアップした。この中から上記の大規模治験ネットワ

ークにおいてモデル事業として医師主導の治験を実施することとした。平成16年度までに8医薬品についての医師主導治験課題が採択され、3課題について治験届を提出し治験を開始した。

## 2) 残されている課題

大規模治験ネットワークについて登録施設数が順調に増加している。今後はさらなる治験インフラの整備に努め、ネットワークの質を向上させていく必要がある。医師主導治験の採択課題数も増加しており、治験が順次開始されていく予定であり、十分な研究資金が確保される必要がある。

## 3) 今後この事業で見込まれる成果

大規模治験ネットワーク参加医療機関に対する治験情報の提供、国民に対する治験理解促進のための啓発等を推進事業において行い、治験及び臨床研究の環境の整備を行う。更に、平成16年度までに研究課題として採択した医師主導治験を引き続き実施するとともに、平成17年度においても新たに医師主導の治験を推進する。これにより、医療に必須の医薬品等に対する国民のアクセスの改善が図られる。

## 2. 評価結果

### (1) 必要性

国際基準に則った新 GCP 施行や外国臨床データ受け入れ拡大等の影響から、我が国での治験の実施数が減少している（「治験の空洞化」といわれている）。これにより、国内における医薬品等の開発が遅れ、画期的な治療薬に治験の活性化を図るとともに、患者がアクセスできないなどの問題が生ずると考えられる。このような問題に対応するため、治験環境の整備を行い、医療上必須かつ不採算の医薬品・医療機器に関しては、医師主導の治験を行うこと等により、患者に必要な医薬品・医療機器の提供を迅速に行うことが必要である。

### (2) 効率性

本事業に関して、全体的な管理・運営等を実施する総括事務局を設置している。また、外部委員よりなる評価委員会を設置しモデル事業の採択等について評価を行っている。これらにより、効率化が図られている。

### (3) 有効性

本事業によって、治験環境が充実することにより質の高い治験が多数実施されるようになり、優れた医薬品等に対する患者のアクセスが促進される。さらにモデル事業である医師主導治験の実施により、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が適切に行なわれるようになると考えられ、患者に必要な医薬品等の提供を迅速に行うことができるようになり、保健医療への貢献度は高い。

### (4) 計画性

日本医師会治験促進センターを事務局とし、900 を越える医療機関からなるネットワークを通じて治験インフラの整備を行う。これらの大規模治験ネットワーク登録施設において、



現在実施している医師主導治験を引き続き実施するとともに、さらに日本医学会から要望された適用外の医薬品等について、今後も新たに医師主導治験の課題を採択していく。採択にあたっては外部委員よりなる評価委員会において、検討を行なっており、計画的に進められていると考えられる。

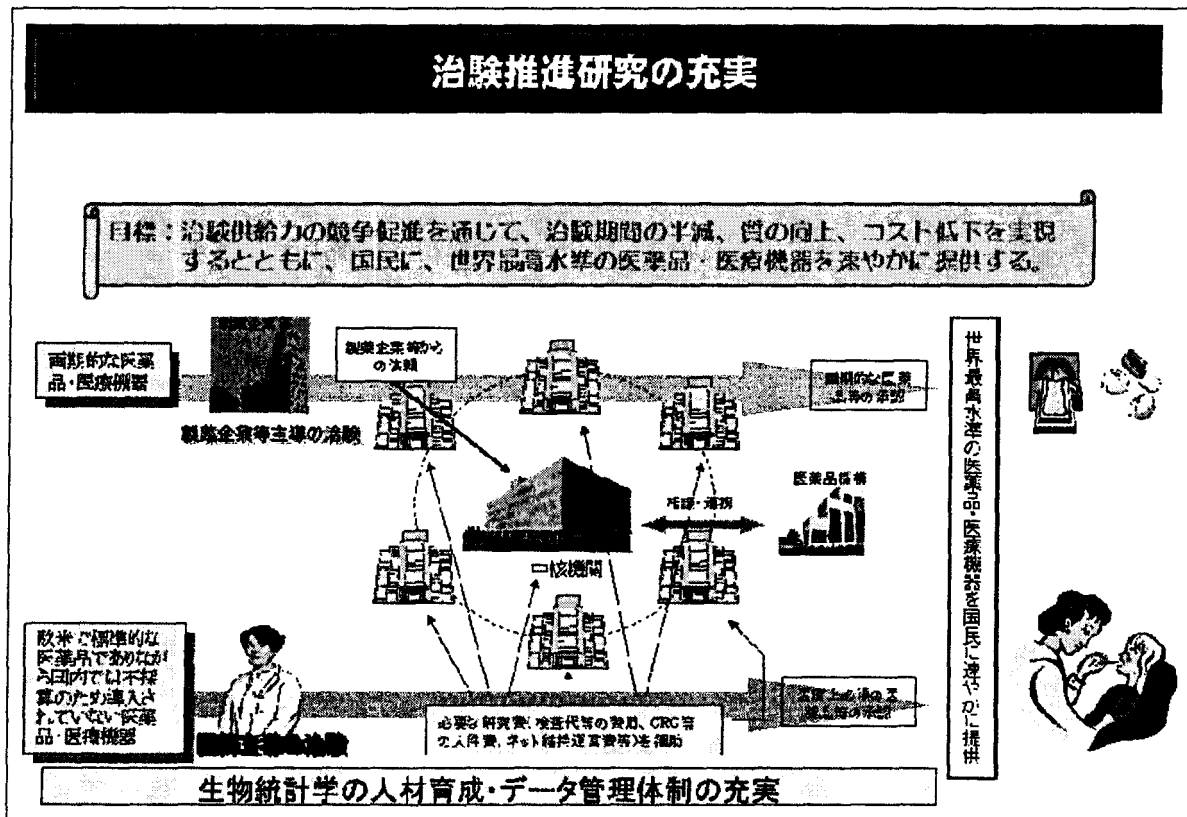
(5) その他

特になし

### 3. 総合評価

治験環境の充実により、治験が活性化され、最新の医療に患者がアクセスできるようになることや、医師主導の治験実施を通じ、医療上必須かつ不採算の医薬品等が迅速に我が国で使用できるようになることは重要である。そのために、本研究を通じ、総合事務局としての機能をもつ日本医師会治験促進センターと大規模治験ネットワークが整備され、医師主導治験課題が採択されて実際に治験が開始されたことは評価できる。今後は、引き続き、質の高い治験が実施でき、症例数が速やかに確保されるような体制が整備されるように治験環境の一層の充実に努め、併せて医師主導治験の実施を推進するべきと考える。

### 4. 参考 (概要図)



#### 4-2-3) 臨床応用基盤研究（医療技術実用化総合研究）：臨床研究基盤整備推進

事務事業名	医療技術実用化総合研究経費（臨床研究基盤整備推進研究）（仮称）
担当部局・課主管課	医政局 研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

##### (1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	臨床研究（治験）基盤の整備の推進
実現目標	国民ニーズに合った安全かつ効果的な革新的医療の臨床現場への速やかな提供

##### (2) 事務事業の概要

###### 事業内容（新規）

我が国においては、治験を含めた臨床研究全般の実施体制及びその支援体制が脆弱である。このため、大規模な臨床試験によるエビデンス収集や、そのエビデンスに基づく優れた医療の提供が行われていない。このような状況に対して、臨床研究基盤の強化・充実を通じて、若手医師等を中心として EBM の推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究の質の向上を図る。

当該事業においては臨床研究の拠点となる施設に、若手医師等から構成される臨床試験実施チームを配置し、EBM の推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究の実施に適した院内組織作り、多施設共同臨床研究の推進、臨床研究に関する教育（プロトコール作成、臨床疫学に関する教育、インフォームド・コンセントに関する研究、「臨床研究に関する倫理指針」等に関する教育）、国内外の当該臨床研究情報の収集、臨床研究成果の公開等を通じて、臨床研究の質の向上を図る。

###### 予算額（単位：百万円）

H14	H15	H16	H17	H18
				(未確定値)

##### (3) 趣旨

###### 1) これまでの研究事業の成果（継続の場合）

新規の研究事業である。

###### 2) 残されている課題

新規の研究事業である。

###### 3) 今後この事業で見込まれる成果

臨床研究の拠点となる施設に、若手医師等から構成される臨床試験実施チームを配置し、EBMの推進に不可欠な人材の育成を行うことによりEBMの推進が図られ、我が国発の新しいエビデンスによる新規治療法の開発が見込まれる。それにより、優れた医療の提供を実施が期待される。

## 2. 評価結果

### (1) 必要性

我が国では医薬品の製造承認申請のための「治験」の体制整備が先行して進められてきた経緯があるが、治験を含めた臨床研究全般の環境は未だ不十分であり、大規模な臨床試験によるエビデンス収集や、そのエビデンスに基づく優れた医療の提供が行われていない。

このため我が国における臨床研究の基盤整備を行い、質の高い、国際的に評価される臨床研究データを創出できる体制を整える必要がある。若手医師等を中心としてEBMの推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究基盤の強化・充実を図る必要がある。

### (2) 効率性

若手医師等を中心としてEBMの推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究の実施に適した院内組織作り、多施設共同臨床研究の推進、臨床研究に関する教育、国内外の当該臨床研究情報の収集、臨床研究成果の公開等の方策を通して、臨床研究基盤の強化・充実を図ることとしている。これらの目標に対する寄与によって達成度が示される。これにより、効率的な事業がなされるものと考えられる。

### (3) 有効性

厚生労働省においては、本研究事業について、「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」を踏まえ、本研究事業に関する評価指針を策定し、専門家等により研究課題を適切に評価（事前評価、中間・事後評価）する予定であり、妥当と考えられる。

### (4) 計画性

研究課題を広く公募し、厳正な事前評価を行うことにより、研究期間において、若手医師等を中心としてEBMの推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究基盤の強化・充実を図ることとする。

### (5) その他

<個別項目に関するご指摘・評価意見等>

特になし

## 3. 総合評価

我が国では治験を含めた臨床研究全般の環境は未だ不十分であり、大規模な臨床試験によるエビデンス収集や、そのエビデンスに基づく優れた医療の提供が行われていない。

このため我が国における臨床研究の基盤整備を行い、質の高い、国際的評価に耐える臨床研究データを創出できる体制を整える必要がある。本研究事業において、若手医師等を

中心として EBM の推進に不可欠な人材の育成を行い、臨床研究基盤を強化することが期待される。

#### 4. 参考 (概要図)

