

V. 「革新的新薬創出のための集中期間」（5年以内）に行う具体策

1. 政府における取組の強化・推進

(1) 政府全体としての総合的な対応

- ・ 医薬品産業の国際競争力の強化を図っていく上で国の果たすべき役割は極めて大きく、政府において総合的かつ戦略的な取組を引き続き強化・推進していくことが重要である。
- ・ これまでも内閣総理大臣の主導あるいは関係閣僚等の協力により様々な取組が行われてきたが（2002年12月の「バイオテクノロジー戦略大綱」（小泉総理時策定）、2004年5月の「健康フロンティア戦略」（与党幹事長・政調会長会議）など）、昨今、内閣総理大臣が経済成長に貢献するイノベーションの創出に資する分野として医薬分野を第一に例示するなど、医薬品産業への期待は高まってきており、2007年には「新健康フロンティア戦略」、「イノベーション25」（いずれも安倍総理時）が策定された。「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」についても、政府全体の方針として位置付けられている。
- ・ また、内閣総理大臣、科学技術政策担当大臣のリーダーシップの下、総合的・基本的な科学技術政策の企画立案及び総合調整を行うことを目的として設置された総合科学技術会議においては、2006年4月より、計画期間における効果的な研究開発投資の拡充と抜本的な科学技術システム改革の実行などを提示した第3期科学技術基本計画を策定・実行しており、我が国の科学技術行政をより一層総合的に推進・強化していくことが期待される。
- ・ 特に、ライフサイエンス分野の研究の推進に当たっては、引き続き研究費の増額に努めるとともに、総合科学技術会議における科学技術基本計画に基づき、研究分野の一層の戦略的重点化と研究費の弾力的な配分を進めていくことが必要である。
- ・ また、知的財産に関しては、2002年2月、総理大臣の下に「知的財産戦略会議」が設置され、11月には知的財産立国を目指して「知的財産基本法」が制定された。2003年3月には、内閣に設置された「知的財産戦略本部」が7月に「知的財産の創造、保護及び活用に関する推進計画」を公表し、知的財産立国実現のための施策の方向性を具体化した。この計画は毎年更新しており、2007年5月には「知的財産推進計画2007」がとりまとめられた。
- ・ 政府においては今後も、国際環境の激しい変化に対応して必要とされる支援を迅速

かつ的確に実施できるよう、一層の総合的・機動的な対応に努めていくことが求められている。

(2) 関係省庁等における積極的な取組

- ・ 医薬品産業の発展に影響を与える行政で、他省庁等が所管しているものは少なくないが、特に重要なものとして、特許等の知的財産制度、教育・人材育成、企業の事業環境整備が挙げられる。
- ① 知的財産の保護
 - ・ 製薬企業にとって、知的財産権を保護する特許制度は極めて重要な制度であり、その在り方如何によっては医薬品の研究開発や経営に大きな影響を与える。
 - ・ 医薬品についてはその特性に鑑みると、できるだけ基本特許を取得することが大切であるが、機能が解明された遺伝子やタンパク質などの上流特許の取得や先端分野における特許取得が下流の医薬品開発に大きな影響を与えるため、上流特許や先端分野における特許が円滑に利用されない場合、研究開発を阻害するおそれがある。
 - ・ このため、個別の知的財産の保護と産業全体の研究開発競争のバランスをどう図るかが今後の重要な課題である。これに関係する具体的な課題として、医薬品業界から、1994年の日米合意に基づく「利用関係の裁定実施権の制限」の見直し指摘されているが、諸外国との国際協調等の観点から、今後も慎重に検討すべきこととされている。
 - ・ 今日、再生医療、細胞治療、遺伝子治療等の技術革新とともに、培養皮膚等の再生医療製品を扱うベンチャー企業が興りつつある。先端医療分野の技術革新やベンチャー企業の創出を推進していくためには、こうした技術に対して速やかに特許を付与していくことが重要であることから、2003年、審査基準において遺伝子組換え製剤などの医薬品及び培養皮膚シート等の医療材料を製造するための方法は同一人に戻すことを前提としている場合であっても特許の対象とすることが明示された。
 - ・ また、「知的財産推進計画2007」においては、2005年4月に改訂された「医薬の製造・販売のために医薬の新しい効能・効果を発現させる方法」の技術に係る特許審査基準の運用状況等を注視すること、2007年度以降、先端医療分野における技術動向やその特許保護に関する国際的な議論の動向について、継続的な情報の収集、分析に努めることとされた。さらに、同計画には、遺伝資源等の国際的な知財政策に関する検討体制の強化や、医薬品等の製造販売業者が医薬関係者に医薬品等の適正使用に必要な情報提供を行う際の著作権の権利制限規定の整備に関する検討等についても盛り込まれた。
 - ・ 経済のグローバル化等に伴い、企業の諸外国における特許権の取得ニーズが高まっ

ており、複数の国で特許権を得るために、同一内容の出願が複数の地域に出願されている。このような状況下で、審査の効率化を図り、迅速な権利化を実現するため、日本と各国の特許庁間で、国際的な審査協力を進めている。例えば、特許庁間の審査協力の枠組みとして、「特許審査ハイウェイ」を開始した。

② 教育の充実と人材育成

・ 創薬研究は製薬企業が主体となって行うべきだが、基礎研究の推進や研究開発基盤の整備については大学や国立試験研究機関など国の果たすべき役割も大きい。優れた医薬品を研究開発するためには、如何に優秀な研究者を確保するかが重要な鍵とされている。魅力ある研究環境の整備等により世界各国から優秀な研究者を我が国の研究所や研究機関に集めることも必要だが、大学等の教育機関において若くて優秀な人材を育成することも重要である。

・ 今後、臨床薬理学、生物統計学、バイオインフォマティクス等の個別の分野での人材育成とともに、医学、薬学、理工学、生物統計学等が連携した教育研究の取組が求められる。また、大学等において、医師、薬剤師、看護師等の医療職に対し、臨床研究に係る教育の機会の確保・増大を図る必要がある。

・ さらに、臨床研究・治験においては、その実施をサポートする専門家の存在も重要であり、臨床研究コーディネーター、生物統計家等、臨床研究を支援する専門家の育成を図る必要がある。なお、種々の開発される医薬品等が適切に使用される医療環境の整備も重要であり、医療施設の整備の他、薬物療法や患者への説明、服薬指導等を適切に行うことができるようにするためという観点からの、医師、薬剤師等の医療関係者の人材育成も必要である。

③ 企業の事業再構築や産業再編のための環境整備

・ 産業活力再生特別措置法等の整備により、企業が機動的に経営資源の戦略的なアロケーションや集中投資などを行い、事業の再構築を進めやすくするとともに、競争力強化につながる産業再編を円滑に進めていくことが必要である。

・ また、創薬シーズの発見等に重要な役割を果たすベンチャー企業を育成するという観点から、金銭面、人材面、制度面等において、ベンチャー企業支援策を講じていくことも必要である。

2. 本ビジョン実現のためのアクション・プラン

(1) 研究開発に対する支援

前回ビジョンのアクション・プランに基づく取組

- ・ 医療の視点に立った基礎研究を推進し、特に、産学官連携の下、「疾患関連タンパク質解析プロジェクト」や「トキシコゲノミクスプロジェクト」を実施してきた。
- ・ (独) 医薬基盤研究所を設立、(財) ヒューマンサイエンス振興財団を認定 TLO とするなど、技術移転・産学官連携を推進してきた。
- ・ 日本版バイ・ドール制度の導入を含め、ベンチャー企業や製薬企業等に技術移転された研究成果を含めた最先端の研究成果の実用化研究を(独) 医薬基盤研究所(2004年度は(独) 医薬品医療機器総合機構)において委託研究事業として実施している。
- ・ ヒト組織などの研究資源の確保のための研究用試料バンクは、保存資源数が年々増加し、試料提供医療機関の増加にも努めている。
- ・ 企業の研究開発への取組に対する支援策として、試験研究費の総額に係る税額控除制度やオフドラッグ等の研究開発に係る試験研究費の税額控除制度の創設等を行ってきた。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

- ① 医薬品開発につながる予算への重点化・拡充(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)
 - ・ 欧米と比較して、日本におけるライフサイエンス関連予算は規模が小さいとの指摘がある。このライフサイエンス関連予算の拡充を図り、特に、ライフサイエンス関連予算の中で医薬品分野へ重点化・拡充するとともに、その中身についても、ア) 臨床研究・実用化研究(臨床への橋渡し研究を含む)、イ) がん・精神神経疾患・難病等の重大疾病領域、希少疾病領域、ウ) 新たな技術(バイオマーカー、疾患モデル化、テラーメイド医薬、再生医療等)の領域を重視する必要がある。(2007年度～)
- ② 競争的研究資金の拡充・見直し(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」ほか)
 - ・ 厚生労働科学研究費補助金等の競争的研究資金については、「第3期科学技術基本計画」(2006年3月28日閣議決定)や「イノベーション25」、「競争的資金の拡充と制度改革の推進について」(2007年6月14日総合科学技術会議基本政策推進専門調査会)により、競争的環境下において基礎研究を強化するとともに、最先端でハイリスクな研究を推進するため、以下の取組を行うこととされている。

- ア) 競争原理により研究の質を向上させるため、競争的資金の拡充に向けた取組。(2007年度～)
- イ) 国内外を問わず、国際的にも研究活動を活発に行っている評価の高い研究者が審査する体制等、評価の手法についての早急な見直し。(2007年度～)
- ウ) 競争的資金の配分機能を独立した配分機関(原則として独立行政法人)に移行。(2007年度～)
- エ) 競争的資金を獲得した研究者の属する機関に対して研究費の一定比率が配分される間接経費(研究の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費に充てるもの)については、30%とする措置の早期実現。(2007年度～)
- オ) 特に、臨床研究の実施において不可欠な人件費について、競争的資金から人件費を支給できる研究者の対象を拡大する。また、競争的資金獲得者や優れた研究成果を挙げた人に対する経済面での処遇などについて、研究機関の自主的取組を促進する。(2007年度～)

③ 研究開発独立行政法人の役割の強化

- ・ ライフサイエンス関連予算の中で医薬品・医療機器開発分野へ重点化する等、研究開発資源の効率的・効果的利用の促進や重点化において、政府等の研究開発資源の配分機能が合理的に行われることを確保する必要がある。
- ・ (独) 医薬基盤研究所においても、バイドール委託方式による保健医療分野の基礎研究費、医薬品・医療機器の実用化段階の研究を行うベンチャー企業等への研究資金の提供、オーファンドラッグの開発助成金など、研究開発を支援する配分機関としての独立行政法人としての役割を担っているが、医薬品・医療機器の研究資金を展望した支援体制の強化が期待されている。
- ・ 同時に、ビジネス化や医薬品開発における相談・知識の提供等の医薬ベンチャーの支援機能、施設・機器のベンチャーとの共通利用等のベンチャー支援策、その他官民共同研究の支援をはじめとした医薬品研究開発基盤の構築による創薬技術の利用促進を図るため、(独) 医薬基盤研究所が一定の役割を担うことが期待されている。
- ・ 研究開発支援を行う公益法人などとの役割分担を明確にし、国立研究機関等の知的財産のライセンス活動、ライフサイエンス分野の動向調査研究、バイオ企業人材養成・育成及び研究資金の配分機関としての役割等の医薬品研究開発基盤の構築のための取組のそれぞれが、一貫して実施できる体制の構築を検討する必要がある。(2008年度～)

④ 創薬バイオマーカー探索研究と生物資源・創薬動物モデル研究事業の推進

- ・ ゲノム研究及びポストゲノム研究の進展により、遺伝子、タンパク質及び糖鎖等

の高次機能解析などの創薬ターゲットが新たに発見されることが期待される。特に、患者由来のゲノム解析による疾患関連遺伝子、医薬品の作用に関連する薬剤反応性関連遺伝子及びタンパク質の探索と機能解析、病態モデル動物の確立と人の病態との関連性の解明、バイオマーカーの探索による効率的な医薬品の有効性、安全性の評価が加速的に進行すると考えられている。

- ・ 疾患関連たんぱく質の探索、構造解析及び機能解析、トランスクリプトームの解析等により、たんぱく質の高次機能の解明とレギュラトリーサイエンス基盤データの構築に資する創薬バイオマーカー探索研究を推進する。また、この結果を臨床研究で検証することにより、創薬のバイオマーカーの実用化が実現し、創薬の開発の効率化が期待される。(2008年度～)

- ・ また、動物開発施設において、がん、心筋梗塞、脳卒中、認知症等の領域で開発が望まれる新規の疾患モデル動物の開発の推進や開発した疾患モデル動物を創薬研究に有効に活用するために、当該疾患モデル動物のデータベースを構築して生物資源・創薬モデル動物研究事業を推進する。この生物資源の拡充により、創薬や新規医療技術への寄与が期待できる。(2008年度～)

⑤ 次世代ワクチンの開発

- ・ 欧米においては新規ワクチン開発が加速している一方で、大学、国立研究機関にはワクチン・シーズがあると予想されるにもかかわらず、これまでの予防接種での被害やリスクが大きいといった理由から、国内でのワクチン開発は実用化に至るところまで進んでいない。
- ・ しかしながら、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンへの期待が寄せられ、世界のワクチン需要は向10年で現在の3倍以上と予測される中、このままでは日本は世界の競争に乗り遅れてしまう。「ワクチン産業ビジョン」を強力に推進することにより、ワクチン開発の新しいターゲットを、アルツハイマー等の疾患の予防・治療、がん等の疾患の予防・治療、新たな小児・成人・高齢者感染症の予防、新型インフルエンザ対策等とし、これまでの注射による古典的な予防接種技術のみならず、効率的培養法、抗原タンパク製造法等の新しい生産・製剤化技術の開発及びその臨床評価により、経鼻等の新投与経路によるワクチンやさらに効果的なワクチンとしてDNAワクチンの開発につながる次世代ワクチン開発研究を推進する必要がある。(2008年度～)
- ・ また、この研究において、新たなワクチン産業の担い手としてバイオ・ベンチャーや大手製薬企業の参入が期待される。さらに、このような次世代ワクチンの開発により21世紀の予防医療の実現への期待も高まる。

⑥ ベンチャー企業の育成（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

ゲノム・ポストゲノム技術の進展により、製薬企業はバイオテクノロジー等の従来と異なる新たな技術を創薬プロセスに取り入れることが必要となってきたが、バイオ分野においては、これまでの創薬技術とは異なり、技術の獨創性、個別性が高く、応用が予想される市場が細分化されている等の特殊性ゆえに実用化に至るまでのリスクも高い。

このような創薬シーズ及び要素技術の全ての技術を自社開発だけで対応することは更なる研究開発費用の増大や投資家から見た投資効率の低下等を招くこととなるため、近年、アメリカにおいては独自の革新的なバイオテクノロジー技術を有するベンチャー企業と製薬企業とのアライアンス及びM&Aが増えている。しかしながら、日本でのバイオベンチャーは数が少なく、十分に成熟していない状況にあり、日本の製薬企業は主にアメリカのバイオベンチャーをアライアンスパートナーとしている。しかし、今後の日本の医薬品産業の国際競争力を強化するためには、ベンチャー企業の育成が不可欠である。

それゆえ、ベンチャー企業育成策として、ベンチャー企業を対象とした研究開発資金のファンディングの拡充、ベンチャー企業を対象とした施設・機器の共用化や共同研究の促進、医薬品の専門知識を有するOB人材を活用し、ベンチャー企業が助言を受けられる仕組みの構築等の萌芽技術をビジネスにつなげるための支援策など、ベンチャー企業の支援策を講ずるなど、より実用性の高い技術を創出できる環境整備が必要である。（2007年度～）

⑦ 研究における特許使用の円滑化

大学等や民間企業は遺伝子改変動植物のスクリーニング方法等の研究の道具となるリサーチツール特許を所有しているが、これらが研究において円滑に使用されない場合、研究開発に支障が生じる可能性がある。そのため、総合科学技術会議において、大学等や民間企業がリサーチツール特許を研究場面で円滑に使用するための「ライフサイエンス分野におけるリサーチツール特許の使用の円滑化に関する指針」（2007年3月）を決定し、その使用の円滑化を図ることとされた。

これを受けて、本指針の普及等のために関係府省が取り組むとされた事項（本指針の周知等、研究開発の公募における対応、対価に関する実務の支援等）について必要な措置を講ずる（2007年度～）とともに、ライフサイエンス分野のリサーチツール特許の使用促進のため、大学等や民間企業が所有し供与可能なリサーチツール特許や特許に係る有体物等について、その使用促進につながる情報（リサーチツールの種類、特許番号、使用条件、ライセンス期間、ライセンス対価等）を公開し、一括して検索を可能とする統合データベースを構築する（2008年度～）。

⑧ 研究開発促進税制の充実・強化（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

2003年に創設された総額試験研究税制（試験研究費の総額について一定割合を税額控除できる研究開発促進税制。2006年に恒久措置。）は、控除限度額が当期の法人税額の20%であり、多くの製薬企業においては控除限度額に達してしまうため、当該税制を十分に活用できていない。さらに、2006年に増加試験研究税制の控除率が縮小され、総額試験研究税制等への上乗せを可能としたが、法人税額20%という控除限度額内での措置のため、同様に十分活用できていない。

現行の研究開発促進税制では、企業が積極的に研究開発に取り組み、研究開発費用を増やそうとする際の支援策として不十分である。研究開発に多額の資金を要する医薬品開発の特性を踏まえ、研究開発等に係る税制の充実・拡充を図るよう検討する必要がある。（2007年度）

(2) 治験・臨床研究の推進

前回ビジョンのアクション・プランに基づく取組

治験の迅速化と質の向上を図るため、「全国治験活性化3か年計画」を策定し、次に掲げる施策の実施に努めた。

ア 「大規模治験ネットワーク」の構築に努め、1,312医療機関（2007年3月現在）がネットワークを形成した。また、大規模治験ネットワークでは、国内未承認医薬品、小児用医薬品、オーファンドラッグ等について医師主導治験を実施し、現在承認申請中のものもある。

イ 治験の質の向上に寄与するCRCは、2006年度までに約5,000名が養成研修を修了した。また、SMOの位置付けや業務内容の明確化等を行った結果、治験実施医療機関が業務の一部を医療機関の外部（SMOを含む。）に委託可能となった。

ウ 患者の治験参加の支援として、治験の意義等を掲載した「治験ホームページ」の公開等により治験に関する普及啓発に努めてきた。

医師主導治験の制度化や「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」を策定した。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 医療クラスターの整備（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」ほか）

「新健康フロンティア戦略」、「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を踏まえ、国民に重大な影響を与える疾患（重大疾病領域、希少疾病領域）に対し、先駆的な技術・モノ・システムの開発・実用化を図るため、国立高度専門医療センターを中心に、産官学が密接に連携して臨床研究・実用化研究を進める「医療クラスター

一」を整備する。なお、2010年度に独立行政法人化されるにあたっては、国立高度医療専門センターが各分野において的確に機能を発揮できるようにする。(2008年度～)

産官学が密接に連携できるよう、「医療クラスター」を中心として、臨床研究病床、実験機器等の整備を行い、企業や海外の研究者の受入れ等を行うことにより共同研究を推進し、企業や大学等研究機関の集積を進める。

医薬品開発において、この「医療クラスター」が、基礎研究から臨床応用の実用化プロセス及び臨床からの研究開発への橋渡しを行う機能を有し、有望な創薬シーズを提供する日本発のベンチャー等を育成する研究・開発の開放型の拠点として、製薬産業における新たなシーズ供給源として活用されることへの期待は大きい。

② 中核病院・拠点医療機関の体制整備（「新たな治験活性化5カ年計画」）

「全国治験活性化3カ年計画」等により、大規模治験ネットワーク等が形成されてきたが、それだけでは治験・臨床研究の活性化には十分つながっていない現状が明らかとなり、これまでに構築された治験ネットワークの形成や支援に加えて、専門とする領域や医療機関連携の特色を有する等の治験・臨床研究の中核病院や拠点医療機関の整備が必要とされた。

そのため、「新たな治験活性化5カ年計画」に基づき、中核病院・拠点医療機関40か所程度に治験・臨床研究の人材を集中的に投入し、技能の集約化とスタッフの育成を図るとともに、効率的かつ迅速に国際共同治験・臨床研究が実施できる連携体制を構築する。具体的には、中核病院として10か所の医療機関、拠点医療機関として30か所の医療機関に対し、それぞれ整備のための助成を行う。(2007年度～)

③ 医療機関の治験・臨床試験の実施体制の充実等（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」・「新たな治験活性化5カ年計画」）

養成したCRCの多くが治験・臨床研究の業務に直接従事していないという現状や医師等の治験・臨床研究に係る技能向上のための研修の機会が十分でないことが指摘されており、質の高い治験・臨床研究を推進するに当たっての課題とされている。それゆえ、医師、CRC等スタッフの質的向上による治験・臨床研究の円滑化を図るとともに治験・臨床研究に係るインセンティブを確保することが急務とされている。(2007年度～)

具体的には、

ア) 大学等において、医師、薬剤師、看護師等の医療職に対し、臨床研究に係る教育の機会の確保・増大を図る。(2007～2011年度)

イ) 医師等の臨床業績の評価を向上させるための取組を行う（我が国における臨床研究に係る海外主要誌への論文掲載数等、臨床研究の質の向上に資する

評価基準の目標設定を含む。）、(2008年度～)

ウ) CRC等、臨床研究を支援する専門家の育成を図る。CRCについては、新規に3,000人の養成を行う。(2007～2011年度)

エ) 公的な研究費で行われる臨床研究の採択に当たり、研究者の臨床研究・治験の業績や、生物統計家等の専門職の参画を評価する。(2008年度～)

こと等が必要である。

また、治験を迅速化し、コストを下げるため、ITを利用した施設間のネットワーク作りや治験に係る書類様式の統一化を図る。(2007～2011年度)

④ 患者の治験参加を支援する施策（「新たな治験活性化5カ年計画」）

これまでの治験体制の整備により、治験経験者の治験に対する前向きな意識の向上や「治験の実施状況を知りたい」、「治験に参加する段階では医療関係者から適切な説明を受けたい」という希望が強いこと等が明らかとなった。治験に対する一般の国民や患者からの要請に応え、治験についての普及・啓発等については、一層の充実を図る必要がある。

具体的には、

ア) 臨床研究登録データベースのポータルサイトの提供。(2007年度～)

イ) 医療機関・製薬企業等により、治験後に被験者に効果があった場合の治療継続、被験薬の承認情報のフォローアップ等を行うことを促す。(2007年度～)

ウ) 中核病院・拠点医療機関において患者と医療従事者とのコミュニケーションを促進する「患者向け相談窓口機能」が設置されるよう促す。(2007年度～)

こと等を実施していく。

⑤ 再生医療拠点の整備（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

再生医療技術は、日本の技術が世界をリードしている分野であり、「新健康フロンティア戦略」においても、先進的予防・診断・治療技術の一つとして開発・普及が期待されている。再生医療技術を支えるのは大学やベンチャー企業等だが、多くの大学において細胞調整・被験材料製造設備（セルプロセッシングセンター）を所有していないため、実用化の障害となっていたり、ベンチャー企業等との設備の共用が難しいという現状がある。

この分野の研究者の裾野を広げ、より競争的な実用化研究の環境を提供し、日本発の再生医療技術を増やすことを目標として、

ア) 実用化促進の拠点病院の整備・ネットワーク化（再生医療専門の臨床研究病床、実験・分析機器等の整備等を行う。）、(2008年度～)

- イ) 世界をリードする技術開発研究の推進（実用化を目指した幹細胞操作利用技術開発・幹細胞バンク整備・ナノテクノロジー、材料工学との連携促進等の取組を行う。）、(2008年度～)

等を実施していく必要がある。

⑥ 国際共同治験の推進（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 国際共同治験に日本の医療機関も参加することによって、海外と同時に第Ⅲ相試験等がスタートでき、広範囲の地域から大量かつ迅速な試験データの収集が可能であり、地域差の比較が容易となる、共通の治験実施計画に基づく治験を実施することにより、データの重複の排除などの効率化や有効活用が可能となる等のメリットが得られ、国内外で開発された新薬を世界で最も早く、又は同時に国民に提供することが実現可能となり、国民の最先端医療のアクセスの遅れを改善することができる。

- ・ そのため、日本における国際共同治験が推進されるように、次のような取組を進める。

ア) 中核病院、拠点医療機関との連携強化等の臨床研究・治験環境の整備を通じて、症例集積の向上、治験コストの低下等を図ることにより、国際共同治験に組み込まれる環境の整備。(2007年度～)

イ) 国際共同治験が実施できる人材（外国の治験ルールに精通した人材等）の育成のための取組。(2007年度～)

ウ) 承認審査の際の国際共同治験に関する基本的考え方の作成。(2007年度～)

⑦ アジアとの連携（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 世界同時開発を行うに当たっては、人口・市場規模が大きく、日本人との人種差が欧米人と比べて少ないアジア諸国との連携が重要であることから、

ア) がん等の重要な疾病に係る医薬品について、アジア諸国との共同研究を推進するための取組を行う。(2007年度～)

イ) 東アジアで収集された臨床データの評価・活用方法について、共同研究を行う。(2007年度～)

こと等を進めていく。

⑧ 臨床研究倫理指針の見直し（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」・「新たな治験活性化5か年計画」）

- ・ 現行の「臨床研究に関する倫理指針」については、臨床研究の質を公的に確認する仕組みがない、被験者保護にも欠けるとの指摘があるため、臨床現場の実態等を踏まえつつ、法制面の検討を含め、臨床研究開始時の届出制を導入する等その在り方を見直す必要があり、その検討を行うこととする。(2007年度) なお、その際には臨床研究の推進を阻害することのないよう留意する。

(3) 承認審査の迅速化と質の向上等

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

- ・ 承認審査の迅速化と体制強化のため、(独)医薬品医療機器総合機構を設立、審査員の計画的増員を図るとともに、審査事務処理期間の短縮目標を設定し、透明性の高い審査を実施してきた。また、医療の必要性の高い医薬品の優先的な治験相談も実施している。
- ・ 承認・許可制度について見直し、欧米同様、製品製造の全面的な委受託を可能とした。
- ・ 生物由来・自己由来製品について、品質・安全性の確保のため、薬事法に「生物由来製品」及び「特定生物由来製品」を新たに位置づけ、規制の強化を図る一方、開発段階での指導、相談内容の充実にも努めてきた。
- ・ 市販後の副作用の情報収集・分析、安全確保措置の決定等体制に係る基準を製造販売業の許可要件とした。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 承認審査の迅速化と体制強化（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

- ・ 薬事制度については、生命科学の進展に応じたレギュラトリー・サイエンスの充実と医薬品の安全性の一層の確保の観点から、審査基準の見直し等制度の改善・充実に努めていくことが重要である。

- ・ 新薬の承認審査に関しては、「ドラッグ・ラグ」の解消が求められているため、2011年度までに開発期間と承認審査期間をそれぞれ1.5年、1.0年短縮することで、ドラッグ・ラグを合計2.5年短縮し、新薬の上市をアメリカ並みとすることを目指すこととする。(2007～2011年度)

- ・ (独)医薬品医療機器総合機構で実施している治験相談や承認審査の体制に関しては人材不足、特に適切で効率的な審査に資する人材や臨床経験のある医師及び生物統計家の不足が指摘されており、治験相談や承認審査の遅延の要因の一つと考えられている。その解消を図り、治験相談や承認審査の迅速化・効率化を図るため、

ア) 新薬の審査人員を3年間で倍増する(236名増)、(2007～2009年度)

イ) 治験相談の質・量の向上を図る、(~2011年度)

ウ) 申請の事前評価システム導入、審査チームの増設等による審査の迅速化その他審査業務の充実・改善を図る(その際には、優先審査と通常審査を別のチームで実施する、いわゆる2トラック制度を含め合理的な審査体制の在り方を検討。)、(~2011年度)

エ) 民間出身者の活用の在り方について検討する、(2007年度)

ことが必要である。

② 新たな技術に対応した審査基準（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

・ 医薬品開発を効率的に進めるため、医薬品の疾患に対する有効性や安全性をサロゲートするバイオマーカーや、新たな画像診断手法などの診断技術の研究開発が欧米を中心に進んでおり、これらの新しい医薬品の評価手法など医薬品の開発を効率化・迅速化する研究をアメリカのFDAは「クリティカルパスリサーチ」と呼んでいる。

・ また、ヨーロッパにおいては、非常に低い投与量で薬物のヒト試験を行い、比較的安全性が高く、体内での薬物動態を調べようとするマイクロドージング技術についてヨーロッパ医薬品審査庁では医薬品評価技術としての利用を積極的に検討しており、臨床第Ⅰ相試験で脱落する新薬の数を大幅に減少させ、新薬開発コストの削減につながると期待されている。欧米では、すでにマイクロドージングに関するガイダンス等が公表されており、ICHにおいても2006年秋、マイクロドージングに関する議論を開始した。

・ 日本においてもトキシコゲノミクスデータベースなどの国際的に類をみない創薬バイオマーカー研究が進展しているところであるが、そのほかのバイオマーカーや診断技術、さらに、疾患モデル動物等の開発・利用により、医薬品開発プロセスの効率化及び審査における科学的評価の効率化・迅速化を図っていくことが今後の大きな課題であり、これらの新たな技術を用いた製品の評価手法について研究開発を進め、こうした新技術に対応した審査基準の策定を行うことが急務である。（2007年度～）

③ コンパッシュネートユース制度（CU制度）の活用

・ 緊急時には、国の承認を経ない開発途上の医薬品や外国の承認薬を使用したいという医療現場のニーズが存在すると考えられるため、重篤な疾病かつ代替治療法がない場合等については、限定的に未承認薬の製造、輸入、販売等の禁止の解除（CU制度）の導入）の検討が必要である。

・ すでにCU制度を導入しているEUでは、生命に関わるような患者の救済を基本目的としており、他国も含めた承認薬に限らず、治験薬も対象となる。アメリカでは薬事法規に基づき、FDAへの届出をしなければ原則として未承認薬の流通を禁止しているが、一定条件を満たせば、特例的な手続きにより、未承認薬の流通を認めるCU制度を設けている。

・ 我が国でも、「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」において、国内に必要な治験を行った上で、国が承認するとの原則を堅持すべきであるとしつつ、CU制度の基本的考え方（対象とすべき未承認医薬品の範囲や対象者）、国・製薬企業・医師の役割分担、医療保険上の取扱い等について、CU制度の導入に向けて検討すべ

きとされた。（2007年度～）

④ 国際共同治験に対応した承認審査（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

・ 国際共同治験の推進にあたっては、国内の治験環境の整備だけでなく、国内外の治験データの有効活用の促進など、承認審査においても国際共同治験に対応した措置を講ずるべきである。現時点では、

ア） 承認審査の際の国際共同治験に関する基本的考え方の作成を行うこと、（2007年度）

イ） 複数国が参加する国際共同治験に関して、優先的に治験相談を実施すること、（2006年度～）

ウ） 日米欧審査当局との間での共同治験相談の導入協議を検討すること、（2008年度～）

等を行うこととしているが、さらに、国際共同治験の推進のために必要な措置を検討していく必要がある。

⑤ 治験相談体制の充実

・ （独）医薬品医療機器総合機構により行われる治験相談について、欧米並みに希望通りに治験相談が行われていない状況にあり、また、相談内容も企業の満足が十分得られているとは言えず、企業活動上必要とされる適時的確な治験相談体制とは乖離した状況である。

・ このような治験相談体制について、全ての治験相談にタイムリーに対応可能な相談体制の構築のため、（独）医薬品医療機器総合機構において、新たな審査・相談体制に向けたガイダンスの整備、相談可能件数枠の大幅増加、申し込み待ち時間の短縮、相談メニューの拡充、申請内容の事前評価も含めた新たな相談・審査体制の導入等を目標に掲げ、取組を進めることとしている。（2008年度～）

⑥ 自家細胞・組織利用製品に対する規制の在り方

・ 自家細胞・組織利用製品については、ア）処理工程に不随する感染リスク、イ）処理した製品そのものががん化等有効性・安全性に関するリスク、ウ）品質の一定性のリスク等のリスクが内在するとともに、様々な製造プロセスを経て完成した最終製品は、本質的に元々の細胞・組織とは異なるものとなるため、公衆衛生上、一定の規制を要すると考えられる。

・ この考えに基づき、以下の短期的な実用化推進策への取組を進めている。

ア） 自家細胞・組織利用製品の安全性等評価基準の策定（提供者由来の感染症や免疫適合性の問題のない自家の特徴を反映した評価基準を策定。）（2007年度）

イ） （独）医薬品医療機器総合機構におけるきめ細かい相談業務の実施（細胞・

組織利用製品に関する相談区分を増設するなど、相談業務の改善を図る。) (2006年度～)

- ウ) 治験実施手続きの合理化(治験実施に当たり、確認申請と治験計画届で求める添付資料の重複を排除し、手続の合理化、迅速化等を図る。)(2006年度～)
- エ) 製造・品質管理に関する規制の整備(自家細胞・組織利用製品等に係る製造・品質管理に関する規則(GMP)を当該製品の特徴を踏まえて策定する。併せて、治験段階のGMPのあり方についても整理する。)(2007年度)

・ 今後の細胞・組織利用製品の適切な規制の在り方について「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」においては、今後、上記の取組を進めつつ、再生医療の進展を踏まえ、必要に応じ、検討すべきとされた。

⑦ 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令(GCP省令)の見直し(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」・「新たな治験活性化5か年計画」)

・ GCP省令については、国際的な標準(ICH-GCP)と比較して、運用上多くの必須文書が求められている等の指摘があり、治験事務の効率化や国際共同治験の推進等の観点から被験者の保護等に支障がない範囲でその合理化を図ることが関係者からも望まれている。このような現状を踏まえ、GCP省令の運用改善を行い、治験の円滑化が図られるよう検討することとしている。(2007年度)

(4) 薬価制度・薬剤給付の今後のあり方(「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」)

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

- ・ 我が国の薬価制度については、中央社会保険医療協議会(中医協)における議論も踏まえ、逐次、薬価算定ルールの見直し及び透明化に努めてきた結果、薬価差の大幅な縮小、薬剤費比率の大幅な低下の一定の成果が得られた。
- ・ 平成14年度薬価制度改革において、先発品の価格の適正化等の措置、補正加算の加算率の引上げによる画期的新薬等の評価の充実等の措置を行った。
- ・ 平成18年度薬価制度改革において、画期性加算及び有用性加算の要件の緩和及び加算率の引上げ並びに補正加算における傾斜配分の見直しを行うとともに、補正加算として「小児加算」を新設した。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

- ・ 薬価制度については、医薬品産業の振興及び発展という観点から、薬価基準の下では継続的に価格が下がり続ける、先発医薬品の特例引下げなどの市場価格に依らない仕組みは健全な競争を阻害する等の指摘がされている。

・ こうした指摘は、患者に良質な医薬品を届けるには、イノベーションの価値が適切に評価され、さらに、革新的な良薬を速く開発するための十分な収益と研究開発原資の確保が不可欠であるという考えに基づくものである。また、一方で、現行の薬価制度を含む医療保険制度は、全国民の医療アクセスを経済面で保障する役割を果たしており、制度の持続可能性の観点からも、自ずと負担には限界があるとも言える。

・ 一方、ドラッグ・ラグを解消するためには、治験環境、審査制度の改革を進めるとともに、国際的に競争力のある市場環境を目指していくことが重要である。

・ この観点からみると、現在の薬価制度の下では、特許期間中でも薬価が継続的に下落し得る構造になっており、また、そのような価格を比較対照として薬価を算定した場合、加算後の薬価であっても欧米主要国の新薬の薬価水準よりも低い傾向があり、外国平均格調整で引下げとなる場合よりも引上げとなる場合が多くなる傾向がある。このように、海外で我が国よりも高い薬価が期待できる医薬品については、海外で先に上市した方が薬価算定に有利であり、国内先行開発に不利な算定方式になっている等の指摘がある。

・ 以上の指摘を踏まえれば、イノベーションを適切に評価し、国際的に競争力のある市場とし、同時に医療保険財政の持続可能性を確保していくためには、特許期間中にリスクとイノベーションに見合うリターンが得られ、かつ特許期間満了後は再審査期間を経た上で、後発医薬品に着実に置き換わるという仕組みに向けた検討が必要である。(2007年度)

・ なお、薬価制度の検討・運用に当たっては、医薬品の安定供給等に配慮が必要である。

(5) 後発医薬品市場の育成

前回ビジョンにおけるアクション・プラン

・ 後発医薬品の使用促進のため、診療報酬上の後発医薬品の使用環境の整備を図った。平成14年度改定では、①後発医薬品を含む処方に対する処方せんの高い評価、②薬局における後発医薬品の調剤や情報提供について調剤報酬に加算する等の措置を行った。

・ 平成18年度改定では、医師が後発医薬品に変更して差し支えない旨の意思表示を行いやすくするため、処方せん様式を変更した。

・ 後発医薬品の信頼性向上への支援策として、①品質や価格に関する情報を医療関係者・国民に広く提供するため、厚生労働省HPにおける「診療報酬における後発医薬

品」の一覧表の提供等、②安定供給の確保、添付文書の情報の充実、情報提供体制の整備及び迅速かつ適切な情報提供の実施に努めるよう後発医薬品企業への指導を行ってきた。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

- 革新的新薬が医療の質の向上に資する一方、良質で安価な後発医薬品の使用は患者の経済的負担を減らし、医療保険財政の効率化が図られることから、先発医薬品と後発医薬品がバランスよく流通していることが重要である。現在の医薬品市場は後発医薬品の果たすべき役割を十分発揮するような状況とはなっていない。
- その原因としては、①安定供給の確保、情報の提供等が不十分な後発医薬品企業の存在により、医療関係者の信頼を十分に獲得できていないこと、②現場の医療関係者における品質に係る疑義を解消する必要があること、③薬局において、備蓄医薬品及び不良在庫の増加や情報提供にかかる手間の増加などが後発医薬品の使用を促進するに当たっての懸念であること等が指摘されている。
- このため、安定供給、情報提供等の課題に対する取組も含め、厚生労働省として、「医療・介護サービスの質向上・効率化プログラム」(2007年5月 厚生労働省)に定められた「平成24年度までに、後発医薬品のシェア(数量ベースで16.8%(平成16年度)を30%(現状から倍増)以上に)という目標を着実に達成するため、総合的な施策を講じることとする。(2007年度～)

(6) 一般用医薬品市場の育成

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

- セルフメディケーションが期待される分野について、薬局や薬店の薬剤師等の専門家による適切なアドバイスの下で国民が自ら正しく使用できるスイッチOTC医薬品の推進を図るなど、国際的整合性を図りつつOTC医薬品市場の活性化に努めるという観点から、「セルフメディケーションにおける一般用医薬品のあり方について」(一般用医薬品承認審査合理化検討会中間報告書)の提言等を踏まえ、一般用医薬品としての使用が適当なものについて適宜承認することとした。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

- セルフメディケーションの考え方を、さらに進める観点から、一般用医薬品の有効活用を進めていくことが重要であるが、近年、一般用医薬品市場は減少傾向にある。一方で特定保健用食品市場は伸びており、国民の関心は病気予防や健康増進に向けら

れ、健康食品・サプリメント等の購入につながっているものと考えられる。

- 他方、高齢者の全人口に占める割合がさらに増加し、国民の健康ニーズも多様化している中で、今後、一般用医薬品の有効活用を進めていくためには、国民の新たなニーズに対応し得る一般用医薬品及び医薬部外品の育成やスイッチOTC医薬品の開発の促進が必要である。
- 特に、医療用医薬品からの転換による「スイッチOTC医薬品」や新規効果を持つOTC医薬品の開発の促進が進むことにより、従来一般用医薬品に求められていた効果・効果を超え、国民が求める健康等新たな志向(例えばメタボリックシンドロームの予防、スキンケア効果など)に応えることができると考えられる。一方で、スイッチOTC医薬品は、医療用医薬品のオリジナル開発企業にとっては、スイッチ化により消費者が自由にその医薬品を購入できることとなり、市場が広がるとともに製造販売承認取得後、通常3年間の安全性調査が課せられるため、結果としてその期間は市場を独占できることとなり、新薬のライフサイクルを考えた場合、一つの魅力的な市場分野であると考えられ、一層のスイッチOTC医薬品の促進が期待されている。
- しかしながら、スイッチOTC医薬品については、開発のリスクが大きいことなどから、最近5年間に新たにスイッチOTC医薬品として承認された品目は限られているなど、医療用医薬品の有効成分の一般用医薬品への転用が円滑には進んでいないのが現状である。
- このため、本年3月に厚生労働省の一般用医薬品部会において審議・了承された医療用医薬品の有効成分の一般用医薬品への転用に係るスキームに従って、定期的に医療用医薬品の有効成分のうち一般用医薬品として転用することが適当と考えられるものについて、医薬品関係学会にその概要案のとりまとめを依頼し、医療関係学会の意見を聴いた上で、薬事・食品衛生審議会において討議・公表することにより、その転用を、透明性を図りつつ、積極的に推進することとする。(2007年度～)
- また、スイッチOTC医薬品の承認申請に当たり障害となっている事項や、速やかな上市に向け、迅速かつ透明性に優れた審査体制の整備について検討する必要がある。
- さらに、セルフメディケーションの普及やOTC医薬品の選択肢拡大の推進に当たって、国民の支持の下に進めることが重要であり、それに向けた産官学の協力体制整備についても検討する必要がある。

(7) 流通機能の効率化・高度化

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

・ 医薬品の流通・在庫管理業務の効率化や医療機関・薬局における業務の電子化、生物由来製品等の安全性確保のためのロット番号の表示等への対応として、医薬品流通分野におけるIT化・標準化を推進し、医薬品の取り違え事故の防止及びトレーサビリティの確保の観点から医療用医薬品へのバーコード表示についての実施要領を策定した。

・ 医薬品に係る取引価格の未妥結・仮納入等の不適切な取引慣行の是正については、「医療用医薬品の流通改善に関する懇談会」（2004年6月設置）において、「中間とりまとめ」（同年12月）、「返品取り扱い」（2006年3月）についてとりまとめた。また、平成18年度薬価制度改革の骨子（中医協了解）において、長期にわたる未妥結・仮納入の是正を図ることとされたため、保険医療機関、保険薬局、医薬品卸売業者等の関係団体の長に対し、その趣旨を踏まえた指導通知を発出するとともに、定期的な価格妥結状況調査により現状を把握し、当該取引当事者に対し改善を要請してきた。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 医療用医薬品の流通適正化のための取組と不適切な取引慣行の是正

・ 未妥結・仮納入や総価取引など現行の薬価制度・薬価調査の信頼性を損ないかねない不適切な取引慣行の是正を図るため、「医療用医薬品の流通改善に関する懇談会」において、個別テーマ毎に、引き続き、改善策の取りまとめに向けた検討を行っていく。（2007年度）

・ また、価格妥結状況調査等を定期的に行い、その調査結果を公表するとともに、その調査結果を踏まえた当該取引当事者に対する改善要請を行うこととする。（2007年度～）

② IT化・標準化の更なる推進

・ 医療用医薬品のコード表示標準化は、市販後のトレーサビリティや医薬品の取り違え事故防止などの医療安全の確保とともに、医薬品の流通・在庫管理業務の効率化の観点から製造販売業者における個装単位でのバーコード表示が求められている。

・ 医療用医薬品のコード表示については、2006年9月に「医療用医薬品へのバーコード表示の実施について」が定められ、原則、2008年9月以降出荷する全ての製品の必須表示とされた表示項目について、適正にバーコード表示を行うよう周知を図っている。今後も各製薬企業における実施状況を調査するなど確実な取組を指導していく。（2008年度～）

・ また、任意表示とされた項目についても、偽造医薬品対策や製品の迅速かつ確実な回収など流通管理の効率化の観点から、当該表示項目のバーコード表示の表示状況及び利用その他取組状況を確認把握するために併せて調査を行い、各製薬企業に対し販売包装単位での早期の取組を促すとともに、その後の表示範囲の拡大について検討する。（2008年度～）

(8) 医薬品の適正使用の推進

前回ビジョンに基づくアクション・プラン

・ 「医薬品情報提供のあり方に関する懇談会」の提言を踏まえ、安全性情報及びその評価について医療関係者及び患者・国民への情報提供のため、(独)医薬品医療機器総合機構において、「医薬品医療機器情報提供ホームページ」を作成し、公開している。また、同HPには最新の添付文書情報や患者・国民向けの医薬品ガイドも掲載している。

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

・ 薬事法では、医薬品を安全に供給するために、製造販売業者に対して、添付文書等に必要事項を記載すること等の義務を課している。また、医療現場では、添付文書等の情報を収集し、患者に対する最適な医療を選択されているものと考えられる。

・ 医薬品の市販後の安全対策について、「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」においては、製薬企業は、添付文書等を通じ、医薬品に関する必要な情報を医療現場に提供する一義的な責任を負っており、添付文書の記載については、できるだけ分かりやすく配慮したものとすることが必要であるとされ、

ア) 添付文書上の警告事項については、「患者の生命に重大な影響を与える警告事項」を目立たせメリハリをつけるなど、患者に対する影響の程度に応じて必要な内容を明確かつ端的に知ることができるよう工夫すること、

イ) 「患者向医薬品ガイド」をさらに積極的に作成し、活用するなど患者への情報提供を進めること

が必要とされた。（2007年度～）

(9) 官民の推進体制の整備（「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」）

今回の医薬品産業ビジョンにおけるアクション・プラン

① 官民対話の実施

・ 2007年1月31日に、厚生労働大臣主催のもと、文部科学大臣・経済産業大臣、製

薬業界、教育・研究機関の関係者等が参集し、医薬品分野のイノベーション創出と医薬品産業の国際競争力の強化について共通認識を持つことを目的として、「革新的医薬品のための官民対話」を設置した。さらに、2007年4月26日に2回目の官民対話を行い、この場で「革新的創薬のための医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を決定した。今後は、年1～2回のペースで官民対話を実施するとともに、定期的に、5か年戦略について進捗状況を確認していくこととしている。(2007年度～)

また、関係省、研究機関及び産業界による連携組織を官民対話の下に作り、医薬品・医療機器分野内での重点研究開発領域、ベンチャー企業の育成策、臨床研究・治験環境の整備をテーマとして意見の調整等も行うこととしている。そのほか、今後も必要に応じてあらゆるレベルでの官民対話の場を設け、今後の医薬品産業について議論することについても検討する必要がある。(2007年度～)

② 研究開発推進体制の整備

本ビジョン及び「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を強力に推進するため、厚生労働行政において、医薬品・医療機器の研究開発・実用化の促進や産業の国際競争力強化に係る体制を強化することとする。(2008年度～)

終わりに

医薬品産業が取り扱う医薬品は、国民の生命・健康に重大な影響を与え、医療保険財政との関わりも強いことから、一般の産業にもまして、高い倫理性、信頼性及び透明性が必要である。また、昨今、医薬品及び医薬品産業に対する国民の意識の変化が見られ、成長産業として政府の期待感が示されるなど、これまでになく医薬品産業に注目が集まっており、より一層の公正な企業行動、開かれた企業体質、企業倫理の遵守など、国民の信頼を裏切らないように努めることが求められている。行政としても、国民に世界最高水準の医薬品が迅速に提供されるよう、医薬品産業を支援するとともに、国民の視点に立った施策を進めていくことが必要である。