

創薬力向上に向けて強調したいこと

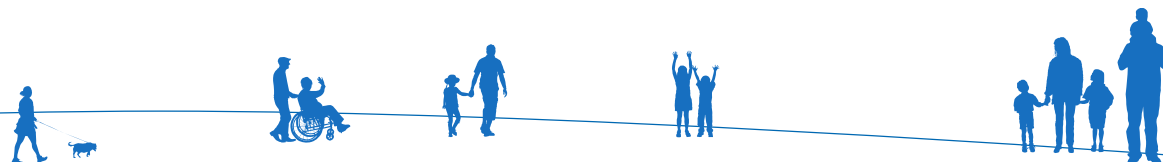
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)

理事長

藤原 康弘

2025/6/26

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.



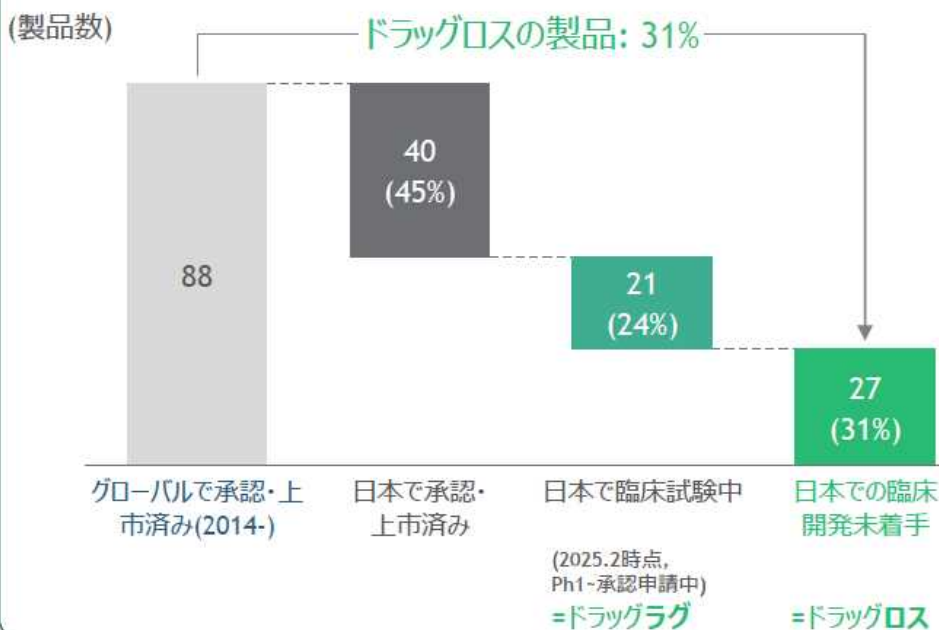
新規モダリティ* 品でのドラッグラグ・ロスの状況(現在/将来)

*新規モダリティ：ADC（抗体薬物複合体）、細胞・再生医療、ゲノム編集など

2030年頃には現在の27品目から97品目に拡大

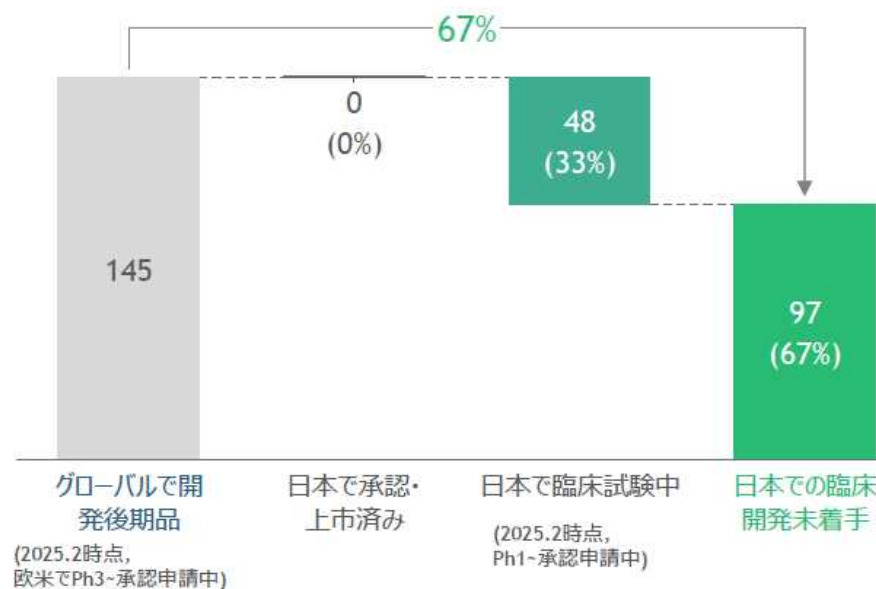
現在のラグロス

(2025年2月現時点のドラッグラグ/ロス製品数)



将来のラグロス

(~2030年頃にドラッグラグ/ロスに陥る可能性がある製品数)



Note: いずれも日本にも存在する疾患を適応症とする製品

Source: EvaluatePharma; BCG analysis

分析
前提

- 集計は製品名単位で実施 (複数の適応症がある場合も1つとカウント)
- 複数の適応症を持つ場合は最初の承認年を参照

1. 国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備

- 臨床研究者（特にClinical Trialist）及び臨床試験支援人材【クリニカル・リサーチ・コーディネーター（治験コーディネーター）、生物統計学家、データマネージャー、治験事務局員等】の育成強化
- 医師・看護師に対する臨床試験・臨床開発の実施意義と実施方法に関する卒前・卒後教育の強化
- キャリアパス整備（特に臨床試験支援人材）
- 経済的インセンティブの付与（特に臨床試験支援人材）

例えば、CRCの国家資格化、リサーチナース（臨床試験看護）の看護協会認定などの実現
研究倫理審査委員会や治験審査委員会の事務局の既存の医療職と遜色のない水準への
処遇改善（常勤化や独自俸給表の整備）

**2006年3月28日に閣議決定された第3期科学技術基本計画の下、同日に発出された第3期の分野別
推進戦略の中で、今回の第3期健康・医療戦略の25ページと全く同様の記載がされています。**

**19年経っても、なぜ同じフレーズが記載されるのでしょうか？
さすがに打開すべき時期だと思います。**

2. 情報公開と国民の理解促進

● “臨床試験”を実施する意義の啓発

- 世界中で、我が国だけが、治験、特定臨床研究、臨床試験、臨床研究とさまざまな用語が乱立している。“臨床試験”という用語に統一。
- 「日常診療の適正化や進化には臨床試験の実施が不可欠」であると、国民及び医療者に啓発。ヘルスリテラシーの更なる向上。

薬学教育モデル・コア・カリキュラムでは治験の計画や実施のノウハウや意義を教える内容になっているが、医学、看護学の教育モデル・コア・カリキュラムにそのような記載はゼロ。次回改訂時には要改変。

● 臨床試験への信頼感の醸成のために、“臨床試験登録”の重要性の啓発

- 研究成果のPublicationバイアスによる不透明化を防ぐと共に、研究計画の策定・変更の透明化を目的として、“臨床試験登録番号(NCT number, jRCT number等)”の薬事領域での認知度を向上。
薬事領域の臨床試験については、届出、申請、承認審査の様々な場面において、“臨床試験登録番号”を併記するなど。
- “臨床試験”の研究課題を包括的に把握するため、米国NIHで導入しているRePORT (Research Portfolio Online Reporting Tools) の日本版構築と科学研究費集計における“臨床試験数”の正確な把握。

參考資料

「創薬力の向上により
国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」
中間といまとめを経ての思い

藤原康弘

独立行政法人 **医薬品医療機器総合機構(PMDA)**
理事長

ドラッグロス対策として

短期的には、

臨床試験・治験に関するリテラシー（“臨床研究の意義”への理解度）向上、
医療機関及び医療者の

国際水準の臨床試験・治験実施能力の獲得に向けて
卒前・卒後教育の抜本的変革と業績評価改革、体制整備が**必要**

長期的には、わが国の創薬を巡る基礎研究力の強化が必要

Site selection（海外Emerging biopharma (EBP)から試験実施施設として選ばれる）に堪える医療機関体制整備

産官学での人財の流動性の増加： 海外EBPの支援者となる国内CRO（医薬品開発業務受託機関）において、
グローバルR&Dで通用する専門性の高い医師（CMO; Chief Medical Officer）が不足
CMO Summit 360° @Boston 来年は、Apr 7－8, 2025

目指すべきは、創薬シーズ数の増加ではなく、臨床試験・治験が開始された創薬シーズ数の増加である

創薬ベンチャーエコシステム強化事業で目指すべきこととして、M&Aや製薬企業への導出件数の増加である

PMDAが行う直近のドラッグロス対策

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

- ◆ 希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応
 - ⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先也可）
- ◆ 小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応
 - ⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付）
 - ⇒ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業を開始予定（相談枠の新設（実施要綱公表済み）／相談手数料の補助）
- ◆ 先駆的医薬品指定制度：総審査期間6か月を目指す
- ◆ 先駆け総合評価相談：申込み全件対応
- ◆ 治験エコシステムの早期導入を推進
 - ⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（事業実施機関を公募中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ 海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施
- ◆ PMDAの米国事務所（年内設置予定）を窓口、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施
- ◆ 国際共同治験参加に関する治験相談における的確な助言
 - ⇒ 参加前に日本人第Ⅰ相試験が必要ない場合を通知で明示

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(厚生労働省・医薬局)

(令和6年4月24日報告書といまとめ)を踏まえた検討状況

検討テーマ

検討状況

開発促進	希少疾病用医薬品の指定のあり方	①いわゆる「輪切り」の要件に当たらない場合の明確化、②医療上の必要性が認められる範囲の明確化、③指定時期を非臨床段階まで早期化することなどが了承された。令和6年1月16日に改正通知を発出した。
	小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方	成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画の策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入することなどが了承された。令和6年1月12日及び3月29日に関連通知等を出した。
臨床試験	我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理	海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験については、原則不要とすることが了承された。令和5年12月25日に通知・QAを出した。 極めて患者数の少ない疾患に用いる薬剤であって、外国において検証的な臨床試験が完了しているなどの要件を満たす場合に日本人での臨床試験を不要とすることや、条件付き承認制度の活用を促進するため要件を明確化することなどが了承された。令和6年10月23日に通知を出した。
	治験の更なる効率化（エコシステム）	中央IRBの活用が望ましいとする考え方の文書化、治験費用の算定方法の合理化、治験運用の更なる合理化について、今後、医療関係者の意見を聴いて行政・業界において検討を進めることとなった。
市販後 安全対策	製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方 リアルワールドデータの活用のあり方	製造販売後調査のあり方について、リサーチクエストにに応じた適切な調査等を計画・実施するべきであって、単に治験の症例数が少ないこと等のみでは使用成績調査や全例調査を実施する根拠にはならないこと、調査等の実施計画については承認前ではなく市販後の適切な時期に検討できる場合があることなどが了承された。令和6年10月4日に通知を出した。
品質	医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方	欧米と同様に、中リスクの変更カテゴリや年次報告の仕組みを試行的に導入することなどが了承された。令和6年9月27日に関連通知等を出した。 医薬品製造業者等による不正事案への対応として、行政による薬事監視について議論し立入調査・検査の強化の方向性について了承された。
情報発信	我が国の薬事制度に関する海外への情報発信	我が国の薬事制度についてPMDAの米国事務所の設置などを通じて積極的・能動的に海外に情報発信していくことが重要であることなどが議論された。

我が国の創薬力向上に向けての 課題と対策

藤原康弘

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)
理事長

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須

- #1 長年、様々な公的研究費を投入し続けてきたシーズ開発だけでは我が国の創薬力維持・回復は不可能
- #2 世界に通用する臨床試験成績を早く取得でき、有望なシーズが国際的な目線で選別される開発環境を醸成する施策が重要
- #3 そのため、国際レベルの“臨床試験”の実施を振興
- #4 具体的には、以下に投資すべき

- ・病院における臨床試験実施 (Phase 1 施設の場合にはトランスレーショナルリサーチ実施能力も合わせ持つことが必須)を米国水準で行える体制整備

(臨床試験センター: phase 1であれば、NIH Clinical Center がモデル)

- ・人材育成

(医師のみならず、生物統計家、リサーチナース、CRC*、データマネージャー、モニター、監査担当者に加え、英語で契約書等をやりとり出来る事務職員などの多職種人材)

* CRC: Clinical Research Coordinator、臨床研究コーディネーター
治験コーディネーターとも呼称

- ・医薬品の製造と品質管理

- #5 医療機関における各種契約・審査書類について英文を許容する

<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/dai2/gijisidai.html>

日本の創薬力向上には、 日本の臨床試験実施能力の格段の強化が必須。 続き

#6 日本の治験のコストは本当に高いのか？

⇒私が実施した国際共同医師主導治験の経験からは、**NO**

ただし、日本の医療機関のCRO*¹、SMO*²への過度の依存と、医師の臨床試験実施に関する知識や機関の自立性の乏しさは、治験のコスト増加の要因にはなっている。医療機関との契約においてFMV(fair market value)にもとづく、ベンチマーク型コスト算定(BMC)の導入は検討*³

*1 CRO: Contract Research Organization *2 SMO: Site Management Organization *3 R4年度厚生労働行政推進調査事業費補助金(厚生労働科学特別研究)「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」

#7 日本の薬事規制は欧米に比べて保守的であるがために、

日本発のイノベーションの発展が阻害されているのか？ **NO**

【原因】日本のアカデミアには、臨床試験実施経験や薬事に関する知識が不足している方がいる。
それゆえに、規制を悪いと言ってしまう。

- 医学・看護学等の卒前・卒後教育の改革が必要
- 生物統計家、データサイエンティストの教育体制の充実と飛躍的増員

#8 治験について、Single IRB(1か国1か所の治験審査委員会)での審査を原則にする(臨床研究法同様に)

#9 臨床研究法、薬機法及び再生医療の臨床試験まわりは統合運用

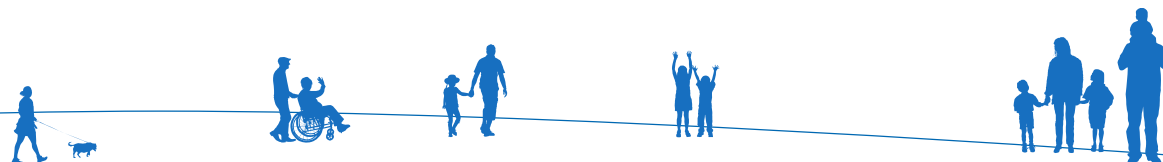
Key Focus Areas for Boosting Drug Development Power

Yasuhiro FUJIWARA, M.D., Ph.D.

**Chief Executive
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency**

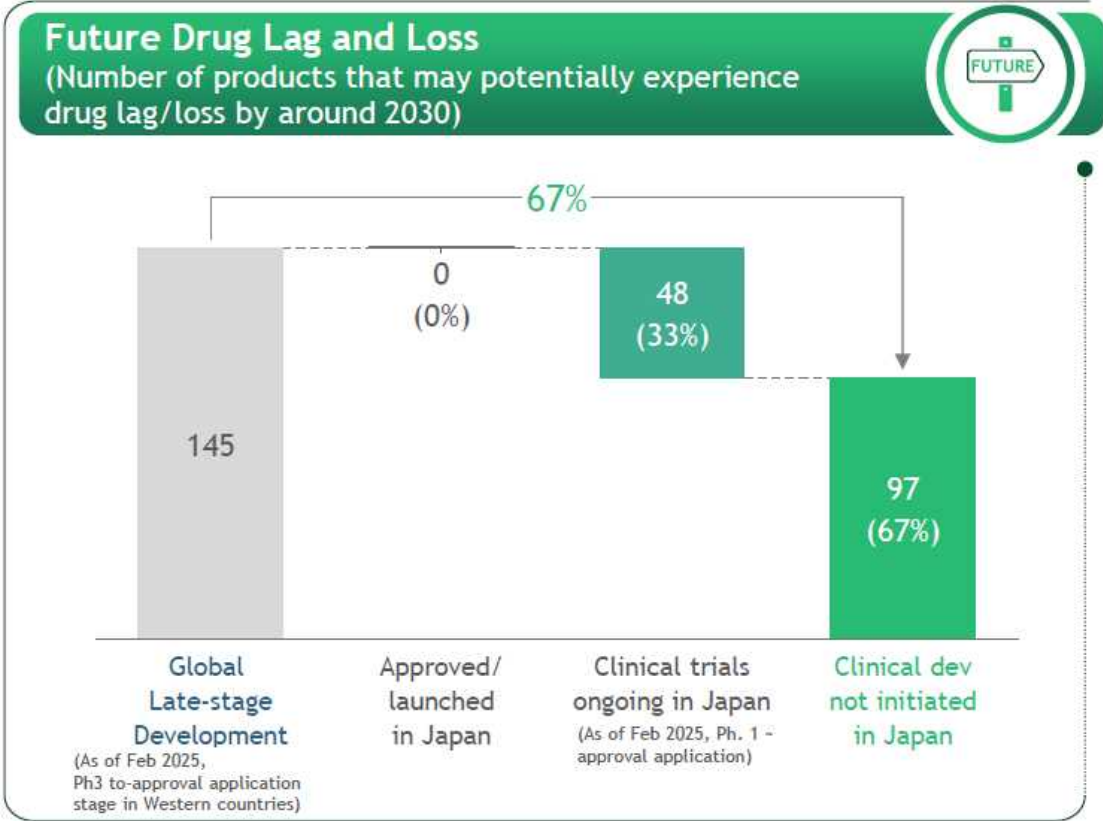
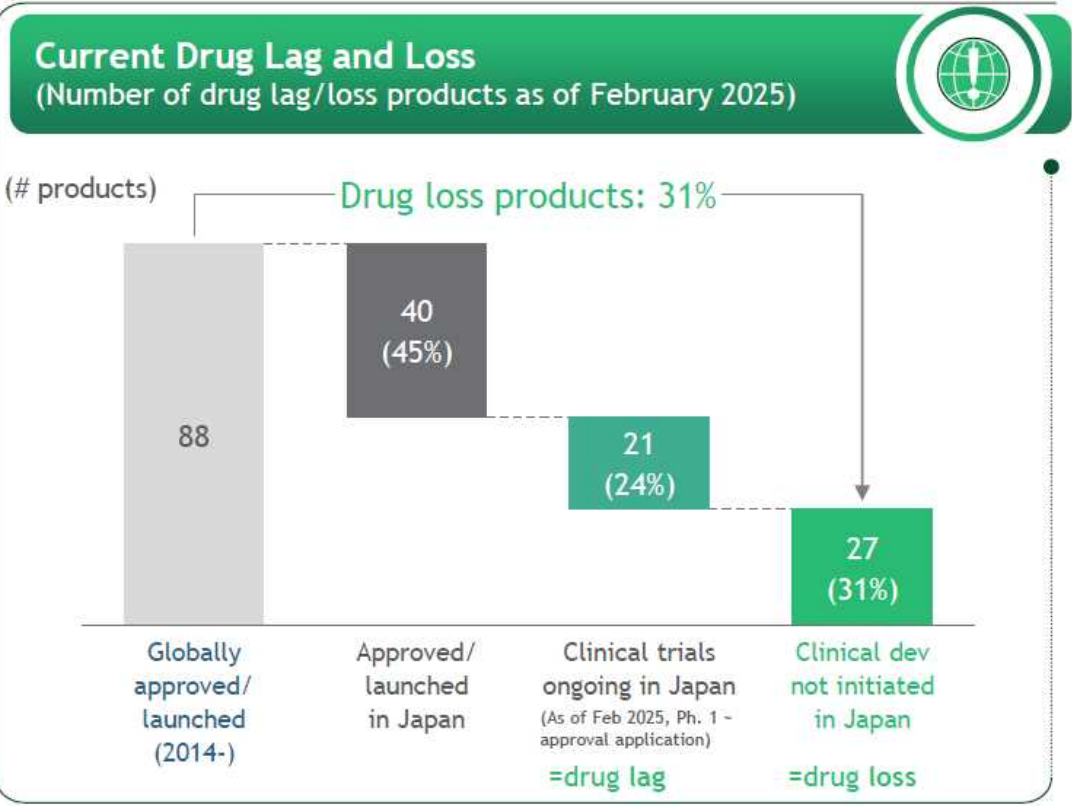
26th June, 2025

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.



Current and Future Status of Drug Lag and Loss for New Modality Products

The number of products is expected to expand from the current 27 to 97 by around 2030



Note: Products with indications for diseases that exist in Japan
Source: EvaluatePharma; BCG analysis

- Analysis method
- Aggregation is conducted on a per-product basis (counted as one even if there are multiple indications)
 - For products with multiple indications, the year of the first approval is used as the reference

* New Modality Products: Antibody-drug conjugate, Regenerative medicine, Gene editing, etc.

1. Enhancing Clinical Trial Infrastructure to International Standards

- Securing and Developing Human Resources for Clinical Trial:
 - Clinical Research Coordinators (CRCs / Clinical Trial Coordinators)
 - Biostatisticians
 - Data Managers
 - Administrative staff, etc.
- Improving Education about Clinical Trial Methodology & Significance of Clinical Trial: Pre- & Post-graduation education at medical school & school of nursing
- Establishing Career Paths for Clinical Trial Supporting Staff
- Providing Economic Incentives:

Examples: National qualification for CRCs, certification of research nurses by Japanese Nursing Association.

Improving remuneration for administrative staff of Research Ethics Committees and Institutional Review Boards to a level comparable to existing healthcare professionals (e.g., full-time employment, establishment of independent salary scales).

Under The 3rd Field-Specific Strategy issued on March 28, 2006, based on the 3rd Basic Plan for Science and Technology, approved by the Cabinet on the same day, exactly the same description as on page 25 of the current 3rd Healthcare policy is stated.

**Why is the same phrase still being used after 19 years?
I believe it's time for a breakthrough.**

2. Information Disclosure and Promoting Public Understanding

● Raising Awareness of the Significance of “Clinical Trials”:

- Japan is the only country in the world where various terms like “Chiken,” “Tokutei Rinsho Kenkyu,” “Rinsho Shiken,” and “Rinsho Kenkyu” are used indiscriminately. It’s time to unify the terminology under “Clinical Trials (Rinsho Shiken).”
- Educate the public and healthcare professionals on the recognition that “the conduct of clinical trials is indispensable for the proper optimization and evolution of clinical practice.”

While the Pharmacist Education Model Core Curriculum includes content on the planning, know-how and significance of clinical trial, there is no such description in the Medical School and School of Nursing Education Model Core Curricula.

● Raising Awareness of the Importance of Clinical Trial Registration for Building Trust in Clinical Trials:

- Improving awareness of “Clinical Trial Registration Number (NCT number, jRCT number, etc.)” in the pharmaceutical regulatory field, to prevent research results from becoming opaque due to publication bias and ensure transparency of the protocol amendments.

For example, the Clinical Trial Registration Number should be indicated in various documents such as clinical trial notification, and applications/dossiers for marketing authorization/approval.

- Establishing a Japanese version of the RePORT (Research Portfolio Online Reporting Tools) adopted by the US NIH and identifying the exact number of clinical trials from the aggregated data of the Grants-in-Aid for Scientific Research and AMED grant to comprehensively grasp clinical trial research topics.

Appendix

Re-post

My reflections on the Interim Report Executive Summary

of the Council of the Concept for Early Prevalence of the Novel Drugs to Patients by Improving Drug Discovery Capabilities

Yasuhiro FUJIWARA, M.D., Ph.D.

**Chief Executive
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency**

30th July, 2024

Gate Opening Summit for Innovative Drug Discovery

<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/shiryou/1-2-22.pdf> (only in Japanese)

Re-post

As a measure against drug loss:

Short-term:

- Improvement of literacy regarding clinical trials (understanding the “significance of clinical research & clinical trial”).
- Fundamental reform of pre- and post-graduate education, performance evaluation reform, and infrastructure development for medical institutions and healthcare professionals to acquire capabilities of international-standard clinical trial implementation.

Long-term: Strengthening basic research capabilities surrounding drug discovery in Japan.

- Developing a Medical Institution System capable of Site Selection (being chosen as a trial site by overseas Emerging Biopharma (EBP)).
- Increasing the fluidity of human resources among industry, government, and academia: Domestic CROs (Contract Research Organizations) supporting overseas EBPs lack highly specialized physicians (CMOs; Chief Medical Officers) who are globally competent in R&D. (CMO Summit 360° @ Boston is held Apr 7–8, 2025 next year.)
- What should be aimed for is not an increase in the number of drug discovery seeds, but an increase in the number of drug discovery seeds for which clinical trials have been initiated.
- What should be aimed for in the Drug Discovery Venture Ecosystem Enhancement Project is an increase in M&A and out-licensing to pharmaceutical companies.

Recent Measures by PMDA against Drug Loss

1. Support for practical application of orphan drugs, pediatric drugs, etc.

- ◆ Orphan drugs: addressing new systems including **earlier designation**
- ◆ Pediatric drugs: addressing new systems **for facilitation of development**
- ◆ Establishment of the **Consultation Center for Pediatric and Orphan Drugs Development** (dated July 1, 2024)
- ◆ SAKIGAKE designation system: aiming for a 6-month total review time
- ◆ Promotion of early introduction of clinical trial ecosystem

2. Establish an environment and disseminate information for the development and introduction of foreign-origin innovative drugs in Japan

- ◆ Disseminate information on Japan's regulatory system and conduct RS (Regulatory Science) general consultations for overseas venture companies etc. at international conferences.
- ◆ Provide consultation and support to overseas venture companies etc. through the PMDA Washington DC Office.
- ◆ Provide accurate advice regarding participation in global clinical trials in consultation meetings.

Study Group on Pharmaceutical Regulations to Strengthen Drug Discovery and Ensure Stable Supply (MHLW)

(2023.7.10~2024.3.21)

	Discussion Topics	Current Status of Discussion
Promotion of Development	How to Designate Orphan Drugs	Agreement to 1. clarify cases not falling under the so-called "slicing" requirements, 2. clarify the scope where medical necessity is recognized and 3. expedite the designation timing to the non-clinical stage. Revised notification issued on January 16, 2024.
	Pharmaceutical Reviews Contributing to the Promotion of Pediatric Drug Development	Agreement to introduce a system allowing for optional creation of pediatric development plans during adult drug development, subject to PMDA confirmation. Related notifications issued on January 12 and March 29, 2024.
Clinical Trials	Arrangement of Necessity of Japanese Data for Approval Review in Japan	For drugs with prior clinical development overseas, it was agreed that a Japanese Phase I trial before initiating a MRCT is, in principle, not required. Notification and Q&A issued on December 25, 2023. It was agreed that Japanese clinical trials may be unnecessary for drugs used for extremely rare diseases if they meet requirements such as completion of confirmatory clinical trials in foreign countries. Clarification of requirements to promote the utilization of the conditional approval system was also agreed upon. Notification issued on October 23, 2024.
	Introduction of Further Efficiency in Trials (Ecosystem)	Documentation of the concept that utilizing a central IRB is desirable, rationalization of clinical trial cost calculation methods, and further rationalization of clinical trial operations will be further discussed by the authorities and industries, taking into account opinions from healthcare professionals.
Post-Market Safety Measures	Approach to Post-Marketing Use-Results Surveys and Use of Real-World Data in Regulatory Affairs System	It was agreed that post-marketing surveys should be planned and implemented appropriately according to research questions. The mere small number of cases in clinical trials alone does not constitute a basis for conducting use-results surveys or all-case surveys. It was also agreed that implementation plans for surveys can sometimes be considered at an appropriate post-marketing stage rather than before approval. Notification issued on October 4, 2024.
Quality	Approach to Regulatory Reviews on Drug Manufacturing Methods, etc.	Agreement to provisionally introduce medium-risk change categories and an annual reporting system, similar to those in Europe and the US. Related notifications issued on September 27, 2024. It was discussed on regulatory oversight by the administration and agreed on the direction of strengthening on-site inspections/audits, in response to misconduct cases by drug manufacturers, etc.
Information Dissemination	Disseminating Information on the Japanese Regulatory System Abroad	The importance of actively and proactively disseminating information on Japan's regulatory system overseas, including through the establishment of PMDA's Washington DC office was discussed.

Re-post

Issues and Countermeasures for Improving Japan's Drug Discovery Capabilities

Yasuhiro FUJIWARA, M.D., Ph.D.

**Chief Executive
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency**

Council of the Concept for Early Prevalence of the Novel Drugs to Patients by Improving Drug Discovery Capabilities

8th Feb. 2024

<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/dai2/gijisidai.html> (only in Japanese)

Significant strengthening of Japan's clinical trial execution capabilities is essential for enhancing Japan's drug discovery power

- #1: Maintaining and restoring Japan's drug discovery capabilities is impossible through seed development alone, despite many years of public research funding.
- #2: It is crucial to foster a development environment that can quickly obtain globally acceptable clinical trial results and allows promising seeds to be selected from an international perspective.
- #3: Therefore, we must promote the conduct of international-level "clinical trials."
- #4: Specifically, we should invest in the following:
- Establishing a system capable of conducting clinical trials in hospitals at US standards (for Phase 1 facilities, it is essential to also have translational research capabilities)
(Clinical Trial Center: For Phase 1, the NIH Clinical Center is a model)
 - Human resource development (Not only physicians, but also biostatisticians, research nurses, CRCs*, data managers, monitors, auditors, and administrative staff who can handle contracts in English, etc. – multi-professional personnel)
*CRC: Clinical Research Coordinator (also referred to as Study Coordinator)
 - Drug manufacturing and quality control
- #5: Allowing English for various contracts and review documents at medical institutions.

Re-post

Continued: Significant strengthening of Japan's clinical trial execution capabilities is essential for enhancing Japan's drug discovery power

#6: Is the cost of clinical trials in Japan really high?

→ Based on my experience with international collaborative investigator-initiated trials, **NO**

- o However, Japanese medical institutions' excessive reliance on CROs*1 and SMOs*2, and physicians' lack of knowledge regarding clinical trial and institutional independence, are factors contributing to increased clinical trial costs.
- o Consideration of introducing benchmark-based cost calculation (BMC) based on FMV (fair market value) in contracts with medical institutions. *3

*1 CRO: Contract Research Organization *2 SMO: Site Management Organization *3 FY2022 MHLW Administrative Promotion Research Project Grant (MHLW Special Research Grant) "Research on the latest trends in the environment surrounding clinical trials in Japan and overseas"

#7: Is the development of Japan-origin innovation hindered because Japanese pharmaceutical regulations are more conservative than those in the US or Europe? **NO**

[Reason]: Some Japanese academics lack experience in conducting clinical trials and knowledge of regulatory affairs. Therefore, they tend to criticize regulations.

→ Reform of pre- and post-graduate education at medical school & school of nursing, etc., is necessary.

→ Enhancement of educational systems for biostatisticians and data scientists, and a dramatic increase in their numbers.

#8: For clinical trials, the principle should be "Review by a Single IRB (one IRB per country)", similar to the Clinical Research Act.

#9: Integrated clinical trial operation by the Clinical Research Act, PMD Act, and Regenerative Medicine-related act.