

日本を魅力ある臨床開発環境とするために

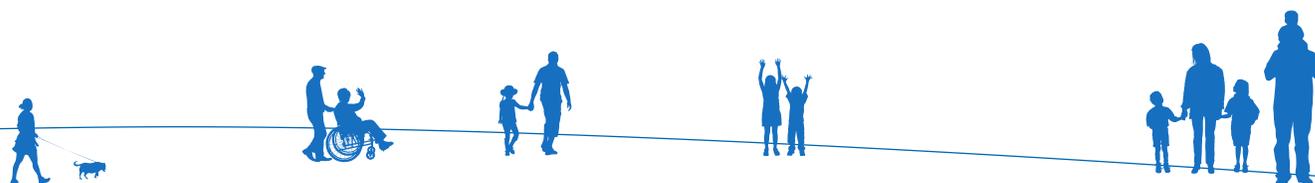
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)

理事長

藤原 康弘

Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご留意ください。

The contents of this presentation represent the view of this presenter only,
and do not represent the views and/or policies of the PMDA.



日本が臨床開発の場として
世界から選ばれるには、
「症例数で勝つ国」ではなく

「質の高い、科学的に不可欠なデータを、迅速に提供する国」
をを目指すべき。

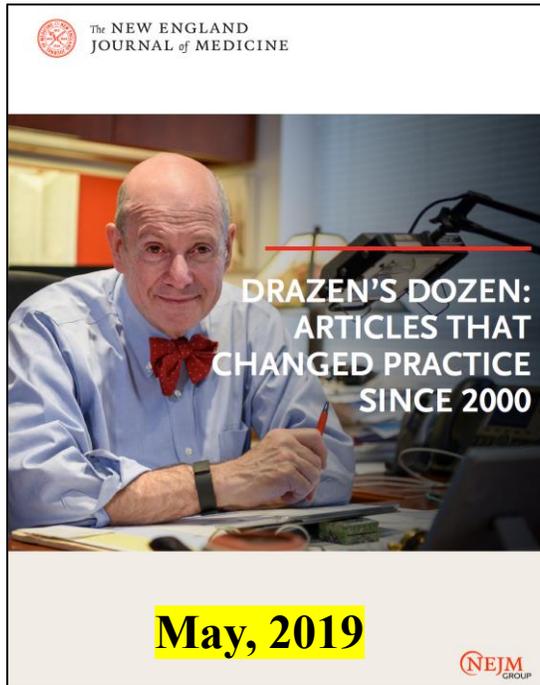
その鍵は以下の4つ

- A. **コスト、スピード**
- B. **人材**(PI/KOL、臨床試験支援人材(含む事務)、流動性)
- C. **制度**(予見性、柔軟性、一貫性、国際協調)
- D. **開発のパラダイムシフト**
(アカデミア発のチョークポイント技術を
ファーストインプロダクトに育てる/ウハウウ醸成)

臨床研究をなぜ我々はやらねばならないのか？

日常診療を進歩・変革するため！

”日常診療を変えたNEJMの12論文”



<https://cdn.nejm.org/pdf/Drazens-Dozen.pdf>

臨床医学領域のトップジャーナルである
New England Journal of Medicine の編集長
19年近くにわたって務められた
ハーバード大医学部のDrazen 教授が選

企業スポンサーだけではなく
新医薬品を使った臨床
生活習慣、手術の意義

診療を変えた12論文”

アスポンサー
ではなく、
のまで様々

日本では、市民・医療者に
この考え方が決定的に不足。

臨床研究は海外でやられ、
その結果で進歩・変革された診療を
輸入することが大半。

ORIGINAL ARTICLE Randomized Trial of EDITORIAL: Pre		16
ORIGINAL ARTICLE Apixaban versus EDITORIAL: A		17
ORIGINAL ARTICLE Reduction in the or Metformin		18
ORIGINAL ARTICLE Colonoscopic (Feb. 23, 2018)		21
EDITORIAL: Co		22
ORIGINAL ARTICLE Sofosbuvir and EDITORIAL: Sir		24
ORIGINAL ARTICLE Hematologic and in Chronic Myeloid		25
ORIGINAL ARTICLE A Novel Coronavirus Associated with Severe Acute Respiratory Syndrome (May 15, 2020)	15	27
EDITORIAL: Choices in Managing Full-Term Pregnancy		28
Labor Induction versus Expectant Management in Low-Risk Nulliparous Women (Aug. 9, 2018)		29
		30
		31

臨床試験とは

米国NIHによる言葉の定義

- A research study in which **one or more human subjects** are prospectively assigned to one or more interventions (which may include placebo or other control) to **evaluate the effects** of those interventions on health-related biomedical or behavioral **outcomes**.

人を対象とし、健康に関わる影響を評価するために、

前向きに治療等の介入に割り付けておこなう研究

- 科学的計画策定と倫理的検討を事前に行い、
実施し、結果を解析し、報告する
人的・組織的体制が必須

ここ数年、海外では

臨床研究ではなく

臨床試験の重要性が叫ばれ、

その振興がなされています。

しかし、

日本では、なされていません。

米国NIHは多額の研究費を臨床試験実施に投下

日本には公的研究費に用途を種別して金額まで
経年的に俯瞰できるデータベースが無い

米国NIH RePORT (Research Portfolio Online Reporting Tools)



Welcome to
Research Portfolio Online Reporting Tools
(RePORT)

In addition to carrying out its scientific mission, the NIH exemplifies and promotes the highest level of public accountability. To that end, the Research Portfolio Online Reporting Tools provides access to reports, data, and analyses of NIH research activities, including information on NIH expenditures and the results of NIH supported research.

Spotlight

Subscribe to the NIH RePORT ListServ to stay up to date on changes to these sites.

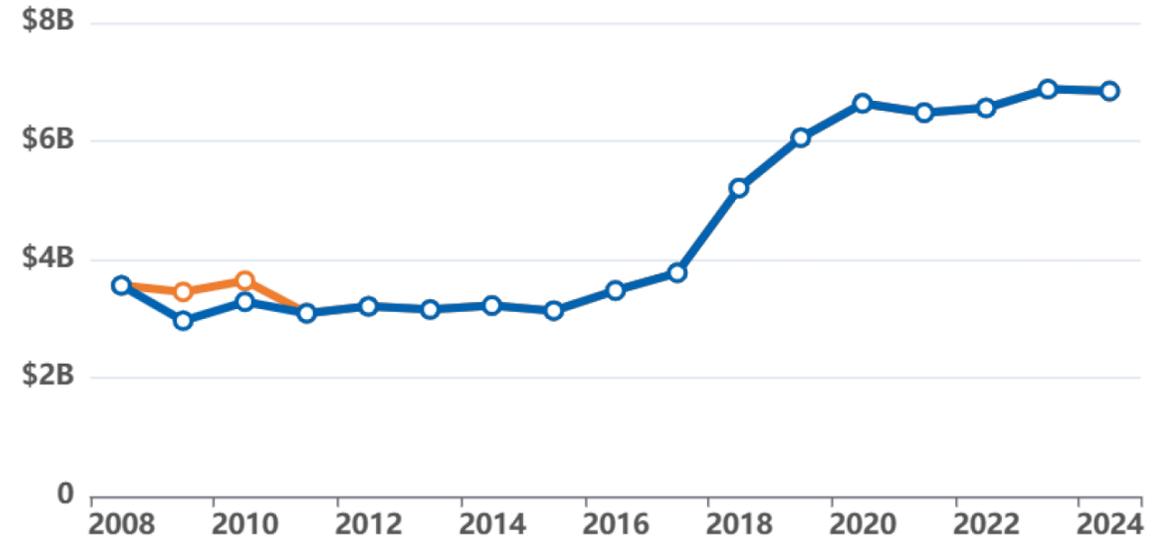


米国NIHでは
臨床試験への研究費
年間 \$6B (9000億円) 1ドル=150円で

米国NIHの臨床試験への研究費総額推移

Clinical Trials and Supportive Activities

○ Actual ○ Actual With ARRA ○ Estimated



<https://report.nih.gov/funding/categorical-spending#/>

2026年3月2日アクセス

EUでも臨床試験実施を強化: ACT-EU

2022年1月～ EU Accelerating Clinical Trials in the EU

An official website of the European Union How do you know? ▾

 ACT EU English

Accelerating Clinical Trials in the EU

Home About ▾ Our work ▾ Newsroom ▾ Documents

Better, faster, smarter clinical trials
Improving the clinical trials environment in the European Union through harmonisation, innovation and collaboration with stakeholders.

Our purpose

The Accelerating Clinical Trials in the EU (ACT-EU) initiative...

https://accelerating-clinical-trials.europa.eu/index_en

2022年5月27日 **WHO WHA 75.8**

WHOも世界各国に**臨床試験**体制整備を呼びかけ



Home / Our work / Science Division / Research for health / Strengthening clinical trials



SEVENTY-FIFTH WORLD HEALTH ASSEMBLY
Agenda item 16.2

WHA75.8
27 May 2022

Strengthening clinical trials¹ to provide high-quality evidence on health interventions and to improve research quality and coordination

The Seventy-fifth World Health Assembly,

Recalling resolutions WHA58.34 (2005) acknowledging that high-quality, ethical research and the generation and application of knowledge are critical in achieving internationally agreed health-related development goals, WHA63.21 (2010) outlining WHO's role and responsibilities in health research, WHA66.22 (2013) and WHA69.23 (2016) on the follow-up of the report of the Consultative Expert Working Group on Research and Development: Financing and Coordination, WHA67.20 (2014) on regulatory system strengthening for medical products, WHA67.23 (2014) on

医薬品の起源は

アカデミア発？
ベンチャー企業、新興企業発？
大企業発？

コロナ禍前 アカデミア発の新医薬品は米国でも10%未満

2015年～2021年に米国FDAのCDERで承認された新医薬品のイノベーションの起源はどこか？
 売上高世界トップ20のバイオ製薬企業について (138品目/全承認323品目)

News & analysis

From the analyst's couch <https://doi.org/10.1038/d41573-023-00102-z>

Investigating the origins of recent pharmaceutical innovation

Alexander Schuhmacher, Markus Hinder, Alexander Dodel, Oliver Gessmann & Dominik Hartl

Leading pharmaceutical companies have historically been engaged in all stages of the R&D pipeline, from target identification through to drug marketing, and thus have been termed fully integrated pharmaceutical companies (FPCOs). In the past decade, externally invented assets gained through partnering or mergers and acquisitions (M&As) have become a prominent component of the pipelines of such companies. Given the long development cycles and the increasing level of collaboration between pharma companies and biotech companies, however, the precise origins of innovation are not obvious, in part as regulatory approvals for innovative drugs by agencies such as the FDA are granted to the company filing the application, which is not necessarily the company that discovered the active pharmaceutical ingredient.

Understanding the origins of innovation provides a deeper understanding of the pharmaceutical business model and could support strategic improvements. We therefore systematically assessed the origins of innovation for all new molecular entities (NMEs) and new therapeutic biologics (NTBs) approved between 2015 and 2021 by the Center of Drug Evaluation and Research (CDER) of the US Food and Drug Administration (FDA) for the top 20 biopharma companies globally by sales in 2020 (see Supplementary information for details).

Origins of pharmaceutical innovation

The FDA approved 323 new drugs between 2015–2021, of which 138 were filed for approval by the top 20 biopharma companies (Supplementary Table 1). The majority (65%) of these new drugs originated from external sources, whilst 28% were invented internally, 5% were discovered collaboratively, and the remaining 2% include other special cases (Fig. 1a, Table 1). Classifying companies as pharma or biotech based on their foundation date, the majority of the 138 drugs (47%) were invented by biotech companies, followed after 27%, whilst 38% were invented by pharma companies founded earlier (Supplementary Figures 1, Supplementary

Table 2). Only a minority of new drugs originated from universities or other academic institutions (7%) or were the output of other third-party drug discovery collaborations (6%) (Supplementary Table 3). Notably, the majority (63%) of the 48 NTBs approved for the top biopharma companies had their origin in biotech companies (founded after 1970), whilst 13 NTBs (27%) were invented in pharma companies (Fig. 1b). For the 90 approved small-molecule drugs, 44% (40 NMEs) originated in pharma companies, 39% (35 NMEs) derived from biotech companies, 6% (5 NMEs) were developed in collaboration with other entities and 10% (9 NMEs) came from other sources, such as non-profit governmental research organizations (Fig. 1c). Finally, analysing the group of 90 drugs, 56 (41%) of these new drugs were gained through M&As and 34 (25%) were in-licensed (Supplementary Table 4).

Discussion

Our analysis indicates that the business model of the top 20 biopharma companies in recent years has largely been built on external innovation, as only 28% of recently FDA-approved drugs were invented and developed internally. Biotech companies were the most important origin of innovation (47% of new drugs) for the top 20 companies. In addition, the internal R&D of the top 20 companies overall has a stronger focus on small-molecule drugs, and they have succeeded the majority of their recently launched biologics from biotech companies. Breaking down these analyses on a single company level (Supplementary Table 5), 15 of the evaluated 20 biopharma companies relied largely on external innovation, with Johnson & Johnson, Sanofi, Takeda and Biogen focusing fully on externally invented new drugs (Table 1). Among companies that leveraged external innovation, in-licensing versus acquisition was far more common, revealing that Pfizer, Gilead, Takeda and Daiichi Sankyo accessed external innovation primarily by M&As, whereas Bayer, Amgen, Novo Nordisk and Biogen focused on in-licensing (Table 1). Although the top 20 biopharma companies in general cover the entire R&D pipeline, from drug discovery to commercialization, and thus are 'fully integrated' per se, the finding that the majority of new drugs launched by the

a Total (138 drugs)

Origin	Percentage
Internal	28%
External	65%
Collaboration	5%
Other	2%

b Biologics (48 drugs)

Origin	Percentage
Internal	27%
External	63%
Collaboration	6%
Other	2%

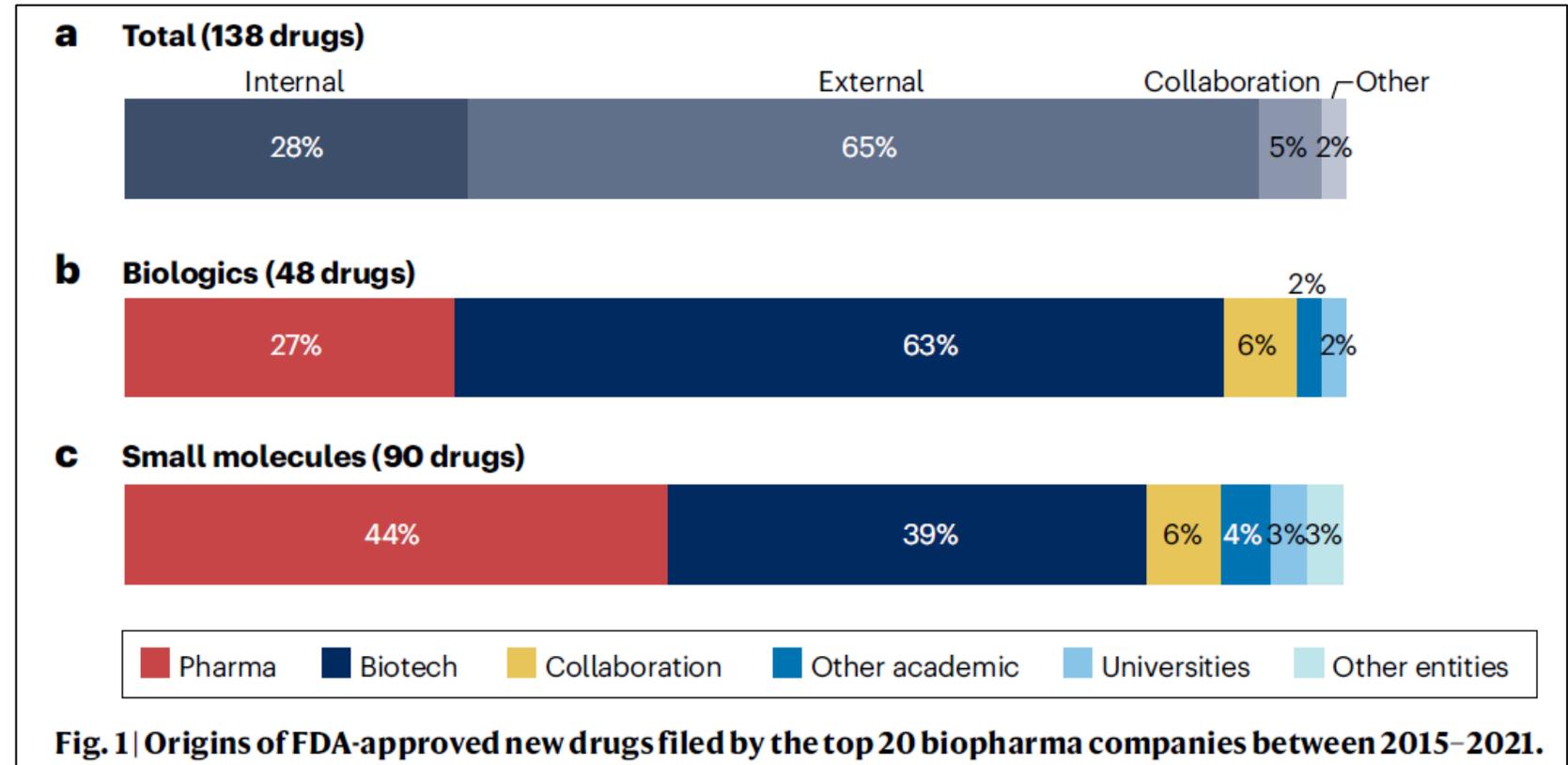
c Small molecules (90 drugs)

Origin	Percentage
Internal	44%
External	39%
Collaboration	6%
Other	4%
Universities	3%
Other entities	3%

Pharma Biotech Collaboration Other academic Universities Other entities

Fig. 1 | Origins of FDA-approved new drugs filed by the top 20 biopharma companies between 2015–2021. Over all, 65% of the new drugs originated from external sources. The majority of biologics (63%) originated in biotech companies (b), while the largest group of small-molecule drugs (44%) originated in pharma companies (c). Other academic institutions include non-profit research organizations and governmental research institutes. For details of the data and analysis, see Supplementary information.

nature reviews drug discovery Volume 22 | October 2023 | 781–782 | 781



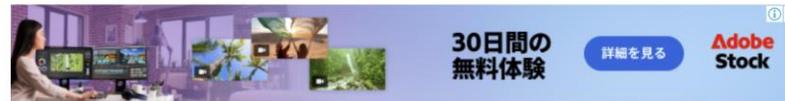
Schuhmacher A et al. *Nat Rev Drug Discov* 22:781–782, 2023 (Oct)
 doi: 10.1038/d41573-023-00102-z

しかし、コロナ禍後から、アカデミア発に回帰の流れも

US Universities Drive 87% of Academic Patents Supporting FDA Drug Approvals from 2020-2024

9 months ago 2 min read

Feedback Share



Key Insights

- US universities contributed patents supporting half of all FDA-approved drugs between 2020 and 2024, demonstrating their critical role in pharmaceutical innovation.
- American academic institutions accounted for 87% of all university-based patents linked to FDA drug approvals during this four-year period.
- The analysis examined patent data from the FDA's Orange Book, revealing the substantial impact of US-based research on global pharmaceutical development.

US universities have emerged as dominant contributors to pharmaceutical innovation, with new analysis revealing their patents supported half of all FDA-approved drugs between 2020 and 2024. Among these academic contributions, American institutions accounted for a striking 87% of university-based patents linked to drug approvals during this critical four-year period.

Academic Institutions Drive Drug Development

The comprehensive analysis examined patent data associated with FDA-approved medications listed in the agency's Orange Book, which catalogs drug products approved for safety and efficacy. The research identified that universities were responsible for key intellectual property supporting half of all drug approvals between 2020 and 2024, highlighting their substantial involvement in pharmaceutical innovation.

This finding demonstrates the critical role academic research plays in advancing medical treatments, with university-based discoveries forming the foundation for numerous therapeutic breakthroughs that reached patients during this timeframe.

US Dominance in Academic Ph



Get scalable and secure hosting that grows with your business

99.9% UPTIME STATUS

Trending News

- 1 Science Corp Raises \$230M Series C to Advance PRIMA Brain-Computer Interface for Vision Restoration
3 days ago
- 2 Servier Acquires Day One Biopharmaceuticals for \$2.5 Billion to Strengthen Rare Oncology Portfolio
2 days ago
- 3 FDA Approves Lantheus' PYLARIFY TruVu for Enhanced Prostate Cancer Imaging
a day ago
- 4 Tangram Therapeutics Initiates First-in-Human Trial of TGM-312 for MASH Treatment
3 days ago
- 5 U.S. Patient with Advanced NSCLC Achieves Disease Stabilization with Ivonescimab in China
a day ago
- 6 SEQSTER Launches 1-Click DataLake Platform to Transform Clinical Trial Design and Recruitment
3 days ago

Harvard Business School Working Paper 24-021

2025年2月17日

Working Paper 24-021

Bringing Science to Market: Knowledge Foundations, Inventor-Founders, and Performance

Justine Boudou
Maria Roche



Harvard
Business
School

https://www.hbs.edu/ris/Publication%20Files/24-021_60d53dfd-78da-43c9-ad6c-7ce4c4130a51.pdf

Bringing Science to Market: Knowledge Foundations, Inventor-Founders, and Performance*

Justine Boudou
Harvard Business School

Maria Roche
Harvard Business School

February 17, 2025

注意が必要

Abstract

In this paper, we examine how a startup's knowledge foundations – embedded in its core technology – influence its performance in the exit market. Using a dataset of 1,006 biomedicine startups founded between 2005 and 2015, we focus on two key factors: (1)

本レポートの要点

- 高度な科学力を持っていても、制度設計を誤れば、医薬品は海外で事業化される時代
- 米国のバイオ・医薬系スタートアップ1,006社を分析
- 高度専門科学知への依存度が高いほど、M&A・IPOの成功率は低下
- Horse (専門知) と Jockey (inventor-founder) の組合せが鍵

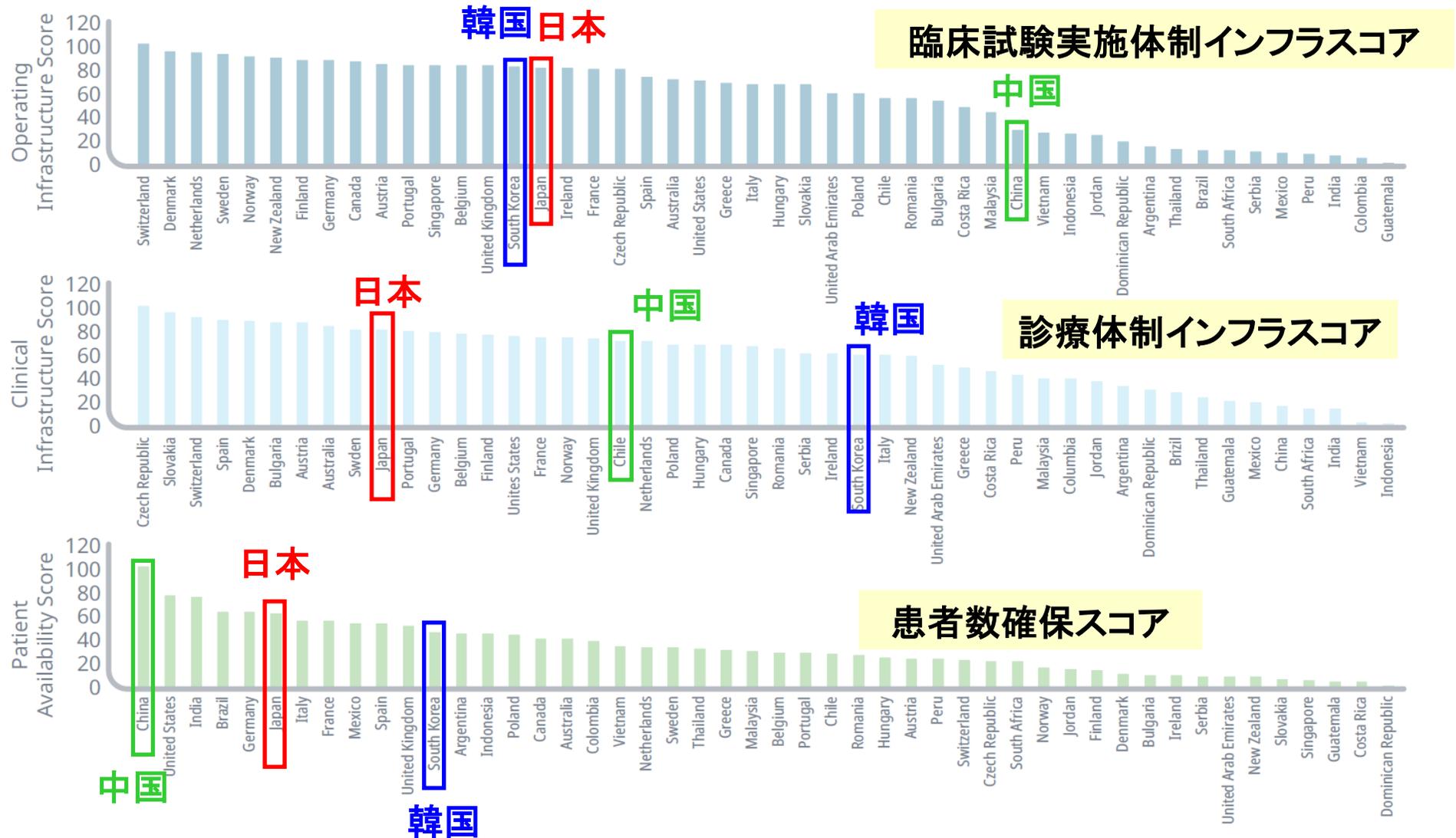
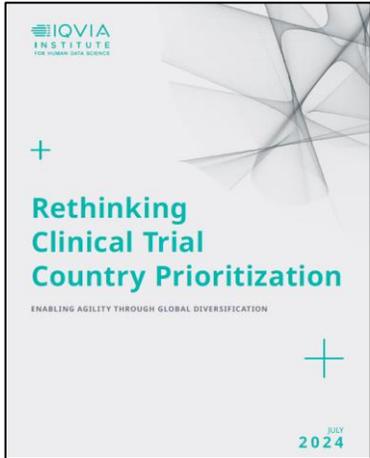
resources shape firm success.

Keywords: *Firm Performance, Exits, Knowledge Foundations, Inventor-Founder, Specialized Scientific Knowledge*

**では、日本を
魅力ある臨床開発環境とするために
何をすれば良いのでしょうか**

Exhibit 17: Country ranking by readiness algorithm component scores

臨床試験の
場としての
日本は？



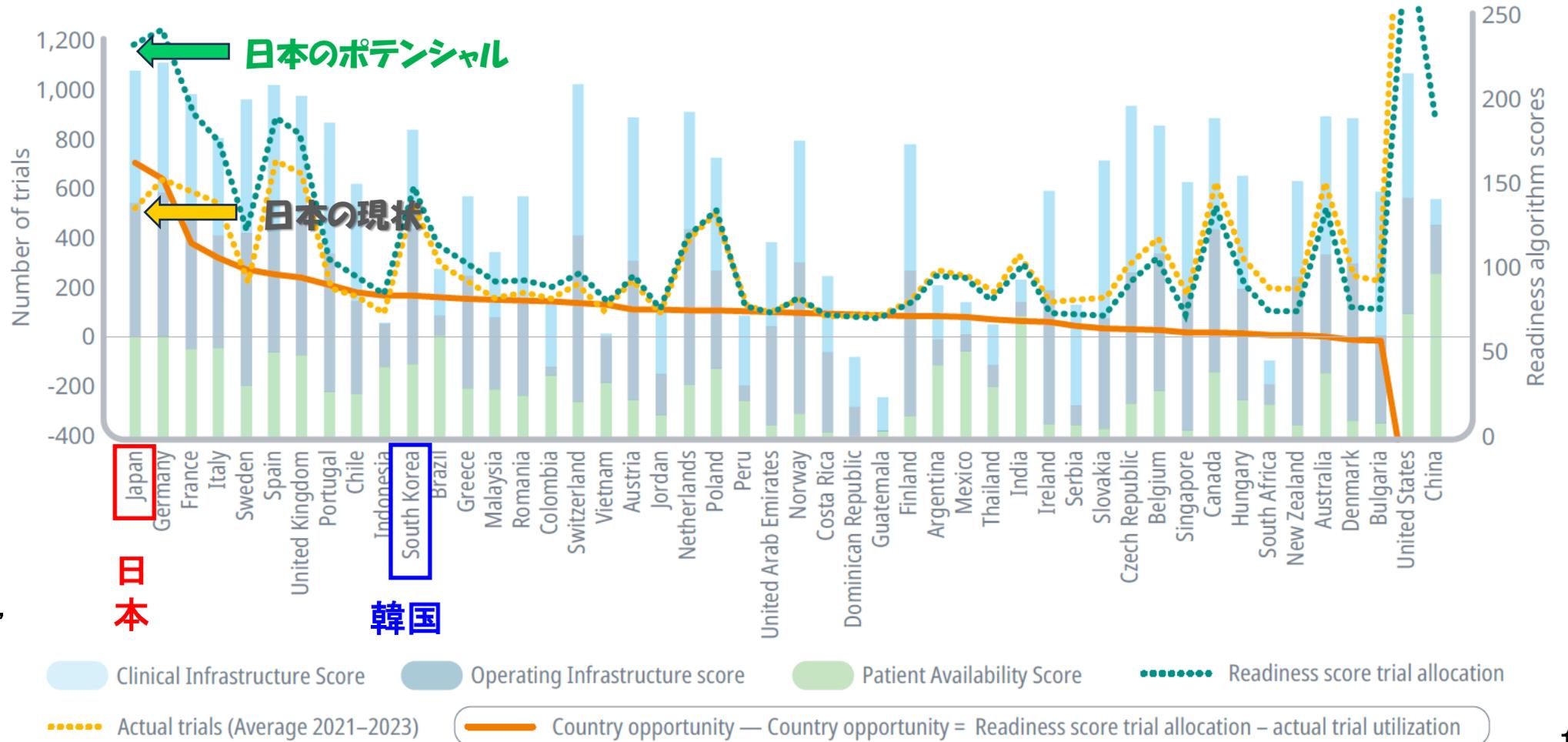
Source: Citeline Trialtrove, Jan 2024; Citeline Sitetrove, March 2024; World Health Statistics⁴, March 2024; World Bank, Development Indicators DataBank⁵, March 2024; World Bank, Doing Business DataBank⁶, March 2024; World Bank, Worldwide Governance Indicators⁷, March 2024; PhRMA, Global Access to New Medicines Report, April 2023⁸; ILO Stat explorer⁹, March 2024; Moore et. al., JAMA International Medicine, Nov 2018¹⁰; Healthcare Access and Quality Index 1990–2019. Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME), 2022¹¹; IQVIA Institute, June 2024.

2024年7月10日 発刊

出典: IQVIA INSTITUTE ,
Rethinking Clinical Trial
Country Prioritization
(無断転用転載禁止)

日本は治験・臨床試験実施のポテンシャルは高いのに、 治験・臨床試験の場として選ばれていないことが課題

Exhibit 19: Readiness Score allocated trials difference to actual 2021-2023 trials by country — all industry interventional Phase I-III trials



出典:IQVIA INSTITUTE, Rethinking Clinical Trial Country Prioritization (無断転用転載禁止)

“日本の治験のコストが高い”

と言われていいますが、

私が昔やった、

医師主導国際共同治験 (効能追加目的) でみると

自験例 海外の方が高い: 保険外併用療養費制度が無いので、 研究費で多額の医療費をカバー

Hata T et al.

Clin Transl Sci 14:1015-1025, 2021

DOI: 10.1111/cts.12965



- ・ 効能追加だったので、規制当局とIRBにおける審査の相違小
- ・ IND（治験届、臨床試験届）添付書類 GMP関連が相違大
- ・ 治験薬/試験薬の管理も相違大
ラベリング、輸出入や税関対応
- ・ 安全性報告の相違は小
- ・ 患者の医療費は相違大

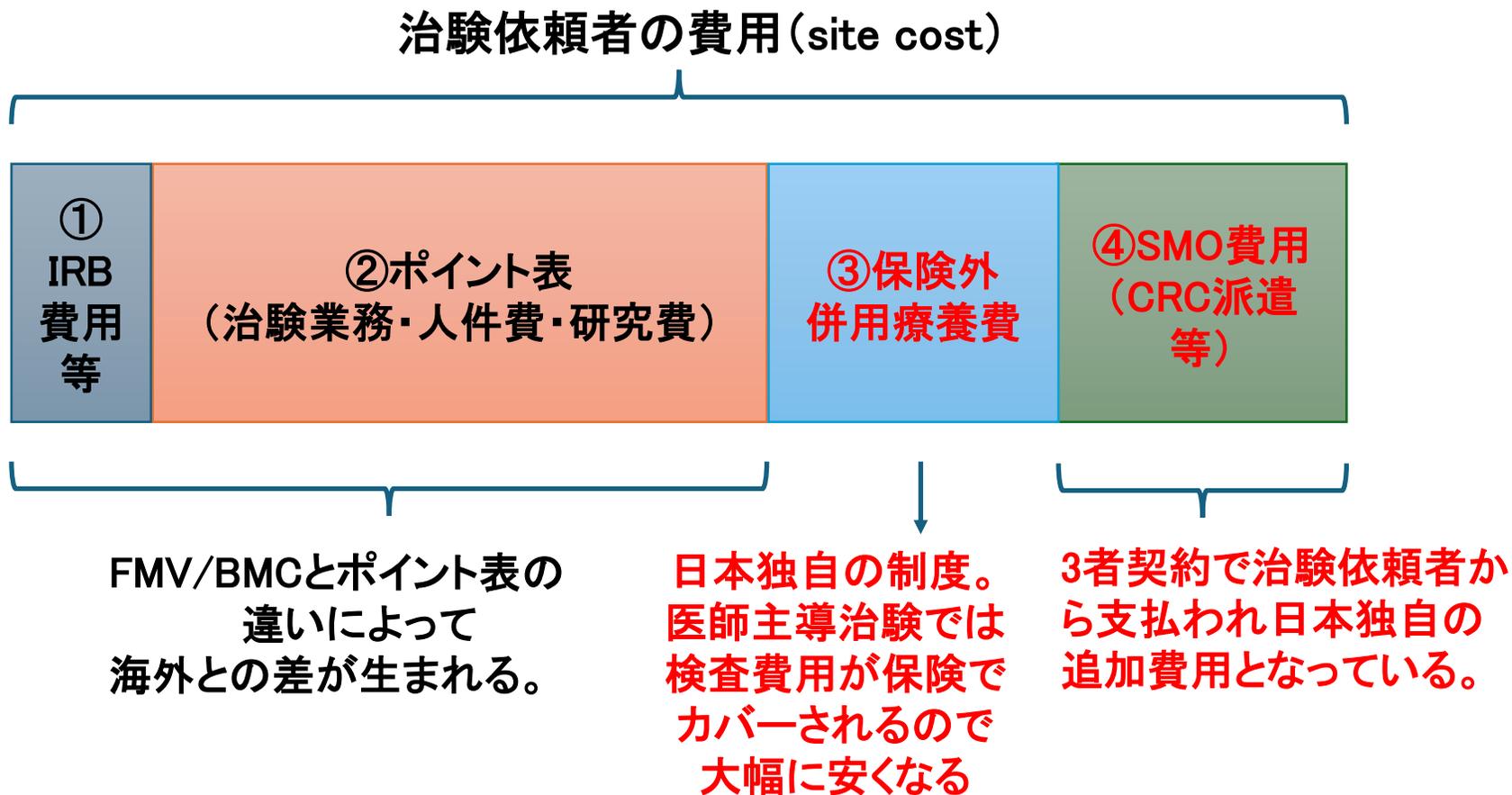
TABLE 6 Subject examination fee borne by study sponsor (based on the PATHWAY investigator-initiated trial experience)

	Estimated reimbursement per subject (Study treatment duration, 13 months)
Japan	US \$0 ^a Special or specified medical care coverage
South Korea	US \$5500–15,000
Taiwan	US \$10,000–12,000
Singapore	US \$10,000–14,000

^aPartial expenses such as infectious disease test, pregnancy test, image copying fee, etc. are borne by each hospital.

医療機関の側からみた日本の企業治験費用の構成

依頼者(製薬企業)からCROに支払われる経費は医療機関からはわかりません



その他

医療機関でのDXにも多くの課題

システムの乱立とデータ分断が引き起こす現場の「IT疲労」



システムの乱立
スポンサーごとに異なるベンダーのシステムが導入され、試験ごとに異なるツールの習熟を強いられる（テクノロジー・オーバーヘッド）。



データマネジメントの分断
院内電子カルテと治験用EDCが未連携。手作業でのデータ転記（Transcription）が残り、非効率とヒューマンエラーの温床に。

まとめ

A. 治験・臨床試験環境の抜本的構造改革

I. コスト構造の抜本的改革

1. 症例分散構造の是正と症例集中型モデルへの転換 (例) Site Network Organizationの導入 (参考資料参照)
2. CRA (モニター) 業務負荷の軽減、Quality by design に基づくRisk-based 運用の徹底
過度な事前問合せ文化を是正し、リスクベースモニタリングを標準化
DXの推進やモニタリング手法の見直しにより、CRAひとり当たりの担当施設数を増やし、コスト効率を改善
3. 医療機関に、成果連動型インセンティブの導入: 病院長が本気で治験を推進したくなるために
治験・臨床試験は病院のリソースを割かれるだけで、経営に貢献しない、という現状からの脱却
病院機能評価指標に治験実績を組み入れる?

II. 治験・臨床試験の迅速化に向けた制度・運用改革

1. 試験立ち上げのスピード向上: 倫理審査、契約事務、臨床検査体制・試験薬管理体制整備等を国際標準かつスピーディーに
2. 中央IRBを基軸とした倫理審査体制の再構築: 治験事務局整備とIT整備に、国からの資金支援が不可欠

B. 人材育成と配置の強化

III. 国際共同治験・臨床試験で戦える人材・施設基盤の強化

1. 国際的に通用する治験責任医師 (PI)・臨床試験の計画・実施に発言力を持つキーオピニオンリーダー (KOL) の育成
国費によるKOL養成プログラム (臨床開発者養成ワークショップ、海外派遣etc) を創設して中長期的に育成
2. CRC、治験・臨床試験事務局 の人材育成と配置の強化
国費によるCRC育成プログラムや国家的な認定資格制度を構築
症例集積の期待できる大規模病院に治験・臨床試験専任チームを配置するための財政支援を実施
3. 創薬・先端医療技術関連人材の 産官学間の人材交流 の活性化: 専門性の強化につながる
クロスアポイント制度の拡充
産官学の人材流動性を高めるためのPMDAと民間との給与格差の是正

まとめ つづき

4. 卒前・卒後教育における臨床開発教育の体系的な導入

- ・医学・看護学等の卒前・卒後教育において、医薬品・医療機器開発(含むデータサイエンス)に関する教育を必須化
- ・薬学においても卒前・卒後教育において、医薬品・医療機器開発(含むデータサイエンス、治験、GMP/QMS)に関する教育を充実させるなど創薬人材の育成を強化

C. 制度の“柔軟かつ一貫性のある”運用と国際協調

1. 薬事審査制度の要求事項の予見可能性、審査期間、運用の一貫性を世界はみている(日本は、まだ優位性あり)
 - ・AI活用による薬事審査等の業務効率化へ
 - ・オーストラリアでは、TGAの関与(CTA)の外で、CTNという臨床試験届をHREC(human research ethics committee)の審査のみで認めて、早期開発を受注。さらに税制等で早期開発を呼び込み、後期は米国へ。(そこまで日本でやるか?)

D. 開発のパラダイムシフト

1. Model Informed Drug Development を促進し、早期開発を合理化
2. 患者中心型の開発モデルへの転換
 - eConsent、リモート臨床試験診療、遠隔SDV、ID管理などの共通基盤を国主導で整備
 - 医療機関のITインフラを標準化し、治験スポンサーごとのシステム乱立を防止
3. 体外診断薬メーカーの育成: 日本国内で信頼性の高い高度な測定ができる検査会社が不足
 - ・近年、臨床試験においてMRDのような複雑なバイオマーカー検査や治療開始時期を同定するための高度な検査が患者層別に用いられるため、創薬ターゲットとなる whole genome sequencing/whole exon sequencing や高度なバイオインフォマティクスを活用する検査キットの医薬品との同時開発が不可欠
 - ・海外へ検体を送るコストや翻訳料金などが発生し、日本で海外企業が新たに検査系を構築しようとする、莫大な初期投資(バリデーション等へ)が必要

參考資料

The NIH Director's Panel on Clinical Research による 臨床研究の分類 (1997)

1. Patient-oriented research

Mechanism of human disease

Therapeutic intervention

Clinical trials “臨床試験”

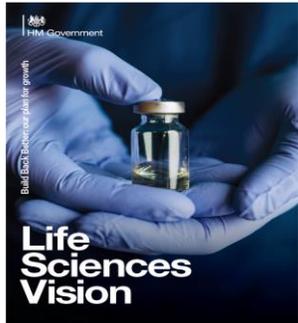
Development of new technologies

2. Epidemiologic and behavioral research

3. Outcomes research and health service research

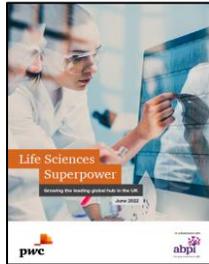
2021年～ 英国政府による **臨床試験** 振興

2021年



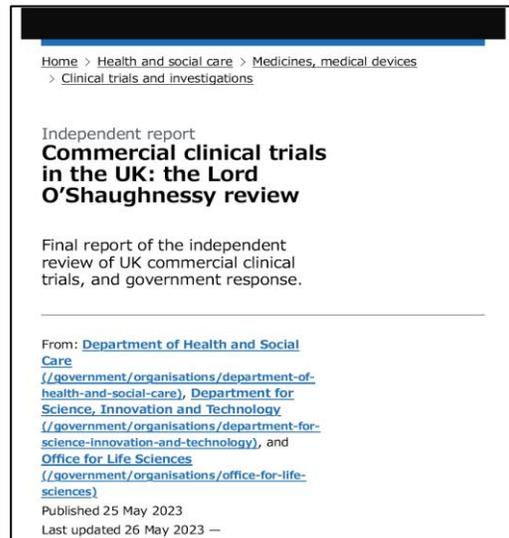
<https://assets.publishing.service.gov.uk/media/61263b4e90e0705437230c3/life-sciences-vision-2021.pdf>

2022年



<https://www.abpi.org.uk/publications/abpi-life-sciences-superpower-report/>

the Lord O'Shaughnessy review 2023年5月



2023年



2023年～

223億円を投入

(1£=184円で算出)

£121 million



政府文書で臨床試験の重要性がちゃんと謳われている

Clinical trials are a critical component of R&D to establish evidence-based practice and deliver benefits to patients. Access to a diverse pool of patients with the ability to conduct trials at pace and scale improves the quality and quantity of research output.

<https://www.gov.uk/government/publications/life-sciences-sector-data-2023/life-sciences-competitiveness-indicators-2023>

IQVIA Country Readiness Scoreとは

Country Readiness Score

= Average (

Operational infrastructure

+

Clinical infrastructure

) X

Patient availability

Operational Infrastructure Score

- Access to water
- Access to internet
- Paying taxes
- Trading across borders
- Safety and stability
- Sound government

Clinical Infrastructure Score

- New drug approvals
- Healthy life expectancy
- Active site density
- Affordability
- Regulatory capabilities
- Start-up efficiency

Patient Availability Score

- Population
- Healthcare access and quality index
- Number of physicians
- Patient need: Inverse new drug reimbursement
- Competition: Inverse trial density

出典: IQVIA INSTITUTE, Rethinking Clinical Trial Country Prioritization (無断転用転載禁止)

2024年7月10日発行



再掲

Harvard Business School Working Paper 24-021

2025年2月17日

Working Paper 24-021

Bringing Science to Market: Knowledge Foundations, Inventor-Founders, and Performance

Justine Boudou
Maria Roche



Harvard
Business
School

https://www.hbs.edu/ris/Publication%20Files/24-021_60d53dfd-78da-43c9-ad6c-7ce4c4130a51.pdf

Bringing Science to Market: Knowledge Foundations, Inventor-Founders, and Performance*

Justine Boudou
Harvard Business School

Maria Roche
Harvard Business School

February 17, 2025

Abstract

In this paper, we examine how a startup's knowledge foundations – embedded in its core technology – influence its performance in the exit market. Using a dataset of 1,006 biomedicine startups founded between 2005 and 2015, we focus on two key factors: (1)

本レポートの要点

- 高度な科学力を持っていても、制度設計を誤れば、医薬品は海外で事業化される時代
- 米国のバイオ・医薬系スタートアップ1,006社を分析
- 高度専門科学知への依存度が高いほど、M&A・IPOの成功率は低下
- Horse (専門知) と Jockey (inventor-founder) の組合せが鍵

resources shape firm success.

Keywords: *Firm Performance, Exits, Knowledge Foundations, Inventor-Founder, Specialized Scientific Knowledge*

当該研究背景・目的と主要結論

- 高度な科学力を持っていても、制度設計を誤れば、医薬品は海外で事業化される時代に入っている。
- 米国のバイオ・医薬系スタートアップ1,006社を分析
- 高度専門科学知への依存度が高いほど、M&A・IPOの成功率は低下

なぜExitで不利になるのか

- 高度専門知は暗黙知が強く、第三者に理解・評価されにくい
- 投資家・買収企業がM&A可能性を判断しづらい
- 問題は科高度な科学力ではなく、マーケットとの翻訳ギャップ

Inventor-Founderの重要性

- ・発明者が創業者のマインドを持っている場合、
VCがベンチャーへ投資判断する際の負の影響は、ほぼ相殺
- ・暗黙知を理解する主体が事業判断・説明・統合を担保
- ・Horse(専門知)とJockey(inventor-founder)の組合せが鍵

政策に与える本レポートの意義

- ・アカデミア創薬そのものの否定ではない
- ・高度専門科学知を事業につなぐ制度・人材・ガバナンスが重要
- ・TTO(technology transfer office)強化、共同創業、経営人材の早期介入が必要

一方で、IRB(治験審査委員会)の書類数によるコストの増大

「米国に比較して10倍以上のIRB関連の書類があり電子化されていない」との製薬企業からの指摘に基づき
その原因について調査を研究班が行った。

調査① 何の書類が多いのか？

調査①1)国際共同治験でのIRB開催数(同一治験)

	2017年	2018年	2019年	2020年	2021年	2022年
日本(総数)	12.4	22.8	18.6	13.5	10.0	9.1
プロトコール	1.0	2.1	0.1	1.0	0.0	1.0
治験薬概要書	2.5	1.2	1.0	1.8	1.7	1.0
安全性情報	11.5	18.8	13.6	8.3	5.4	2.7
	2017年	2018年	2019年	2020年	2021年	2022年
米国(総数)	6.4	9.9	5.1	7.0	3.6	4.1
プロトコール	2.1	0.1	0.1	0.1	0	0
治験薬概要書	1.3	1.6	0.2	0.1	0	0
安全性情報	3.1	0.5	0.5	0.2	0	0.1

調査①2)IRB申請件数(医療機関側:がん専門病院)

IRB申請種別	件数	割合(%)
新規申請	110	1.0%
継続申請	410	3.6%
変更申請	2,816	24.9%
自施設SAE報告	731	6.5%
安全性情報	7,180	63.4%
終了報告	82	0.7%
計	11,329	

**安全性情報
関連文書が
日本では多い**

調査② なんで多いのか？

調査② 安全性情報の規制上のIRB審議の違い

	日本	米国
	J-GCP	21CFR part 312.32 (ICH-GCPをFDA Guidanceとして参照)
安全性情報の提供先	依頼者→医療機関の長 PIに報告	依頼者→PI
IRBへの審議	医療機関の長→IRB依頼 (提出したものがそのままIRB審議)	PIが必要と判断した場合 (治験実施に影響を及ぼす可能性がある場合)

- ・J-GCP(GCP 省令)では医療機関の長の役割が設定
- ・治験責任医師に加えて医療機関の長に安全性情報が報告される
- ・医療機関の長がすべての安全性情報をIRB審議に付する必要はないが実情としてはそれがそのままIRB審議に付される。

日本のGCP上の規制により安全性情報を中心にIRB審議が多くなっており、Single/ Central IRBの普及の遅れと共に事務処理コストの増大につながっている

PATHWAY試験での被験者当たり費用 (site cost) 5.5年間

NCT03423199

country	JPY	# of patient	Per pst cost
KR	79,110,249	31	2,551,944
JP	85,569,540	118	725,166
TW	96,148,637	24	4,006,193
SG	31,829,223	11	2,893,566
total	292,657,648	184	

再掲・抜粋 **もし、治験の費用が高いとするならば・・・他の理由は？**

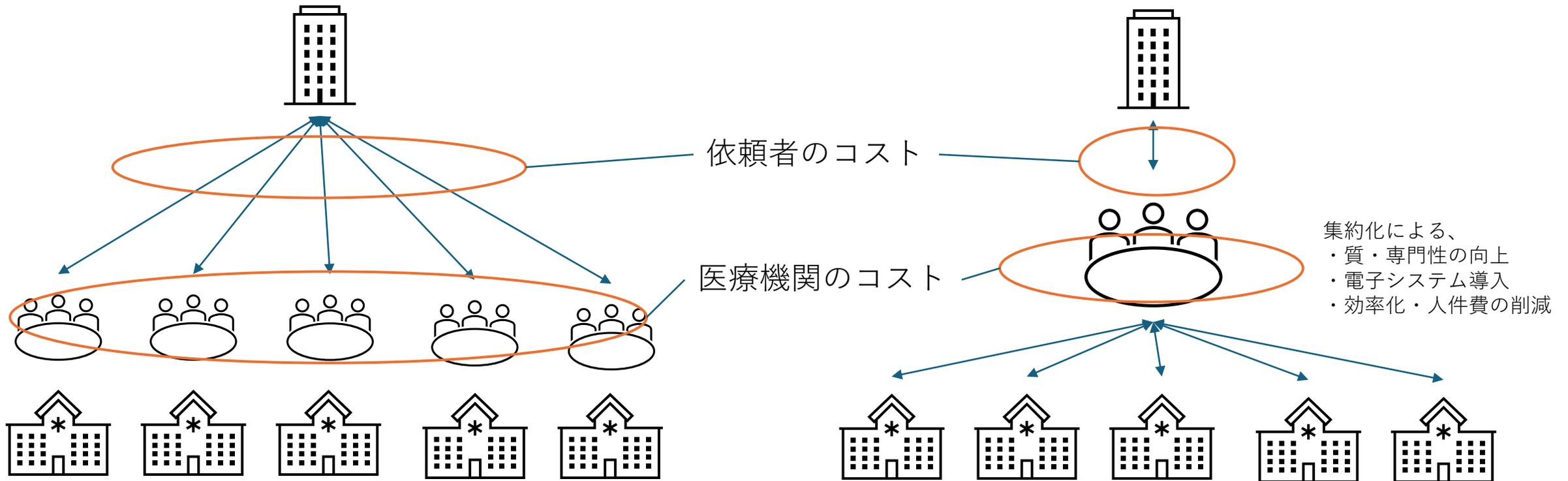
- # 施設毎の治験費用に大きなばらつきあり
 - 1例当たりの単価にばらつきあり
 - 意味不明な費用算定項目が含まれている
- # 各施設の症例登録能力が低く、必然的にオープンサイト数が増えてしまう
 - ●●病院では「うちの施設に治験を持ってこないと、もし、承認されても、販売促進活動などは許さない(≒出禁)ぞ！」とプレッシャーをかける。(同時に企業のマーケティング部門から開発部門に類似の相談があり、不必要に施設数が増えてしまう)
 - 登録症例数:ゼロの施設が頻発
 - その結果、国別の総額で見ると、(1例毎の単価はUSが高いにもかかわらず)結果的に日本が高くなってしまふ
- # CROへの外部委託費用は高額のはずであるが、実際は、この部分は医療機関側ではわからない
 - 日本でFMVを導入するのであれば、ここを明らかにしなければ進まないはず
- # 実施施設におけるSMOからの人材派遣費用を(ほとんどの施設で)依頼者へ要求している・・・結果的に費用が高くなる
- # 日本のCROのレベルに課題あり
 - 現場を担当するCRAの知識・経験が乏しく、結果的に施設側の負担がふえてしまふ



**1施設毎の低い症例登録能力と、それに伴う参加施設の増加(もろもろの理由も含む)によって、
総コストが増えている可能性はあり**

Single/ Central IRBによるコスト削減

日本は現時点でこの状況であり、
事務処理コストが増大している



臨床試験・臨床研究の国際連携と 出口戦略の推進について

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA) 理事長
藤原康弘

Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご留意ください。
The contents of this presentation represent the view of this presenter only,
and do not represent the views and/or policies of the PMDA and NCC

国際共同試験の現状と課題

- 日本主導の国際共同試験を支える仕組みの脆弱さ
 - ✓ すべての臨床研究中核病院に対して国際共同試験の推進が求められているが、機関ごとの取り組み状況が異なる
 - 臨床中核15機関での国際共同研究数:0-69(中央値1)
 - 臨床中核15機関での国際共同試験数(介入研究のみ):0-18(中央値1)
 - ✓ 研究者は国際共同試験をやりたくても、それを支えるAROや研究費の仕組みが未だ脆弱
 - 臨床中核の一部には積極的に体制整備を求めるべきではないか
- 海外主導の国際共同試験を支援する仕組みも弱い
 - ✓ 企業まかせでは開発が進まない領域(希少疾患、小児、感染症等)については、海外主導の国際共同試験ネットワークに参画するための仕組み(研究者、ARO、研究費等)が必要
 - 日本主導の国際共同試験を支えるAROを強化しつつ、海外主導の国際共同試験の調整についてはより多くのAROに役割分担を求めるのもひとつのやり方
- AMEDに臨床分野での国際共同試験のための研究費枠が少ない
 - ✓ R8年度から初めて「革新的がん医療実用化研究事業」に国際共同研究枠が設置(0-1課題)
 - ✓ 国際共同研究費枠の拡充、臨床中核のKPI設定を通じて国際共同試験の推進を後押しすることも重要(観察研究ではなく介入研究を高く評価)

国際共同試験の現状と課題

- CROに委託すればすべて解決か？

- ✓現状ではモニタリング、現地調整機能等のCRO委託費用が極めて高額

- 現状では国内AROの数が少なく、簡単な業務でもCROの「言い値」で外注せざるを得ない状況
- CROに委託したとしても、PMやモニターが頻回に入れ替わるため、結局は委託元であるアカデミアが品質管理を行う必要あり

- 共通資産としての国際ARO機能の整備が必要

- ✓各国の「規制の違い」が本質ではなく、それらの違いを踏まえて調整できる「人材のプール」をアカデミアが共同で持つことが品質を上げてコストを下げる近道

- 臨床研究中核病院の一部に国際研究機能を集約し、他機関の研究者からの国際共同試験の相談・支援を受託できる体制を整備
- 同時に海外の大学病院等に存在するAROとネットワークを形成し、相互に委託を行ってaffordableなコストで国際共同試験を実施する仕組みが望まれる
- 海外機関との人材交流や外国人人材の積極的な登用も有効な施策

参考：臨床研究中核病院での国際共同試験（介入ありのみ）

2026年1月時点で
実施中のもの

企業治験は除外
医師主導治験は包含

	介入試験総計
国立がん研究センター東病院	1
国立がん研究センター中央病院	18
東京大学医学部附属病院	2
慶應義塾大学病院	0
順天堂大学医学部附属順天堂医院	5
名古屋大学医学部附属病院	2
京都大学医学部附属病院	3
大阪大学医学部附属病院	13
九州大学病院	1
総計	45

最大：18
最小：0
（中央値1）

※ 他の6つの臨床研究中核病院はゼロ

新しい形の治験体制の導入が必要

従来モデル



進化型モデル (Site Network Organization)



- 単一の大規模病院に依存するモデルからの脱却。
- 複数のクリニック（かかりつけ医）を束ね、広域で効率的に患者をスクリーニングする新しいネットワーク機構の推進。
- 分散する患者をシームレスに治験実施施設へ誘導するリファラル・エコシステムの構築。

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



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

再掲・抜粋

● “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。