

規制改革による 成長産業育成を目指して

平成25年2月15日

大阪大学大学院医学系研究科
臨床遺伝子治療学教授
森下 竜一

規制改革の方向性

医薬品
医療機器



審査の迅速化・明確化
(日本版SPA)

条件付き
承認制度

オーファン
制度拡充

イノベーション促進薬
価制度

大学発VB育成

産学連携推進

難病治療薬開発
(アジア向け)

サプリメント
ヘルスケア用品



効能表示

機能性表示
制度
安全性表示

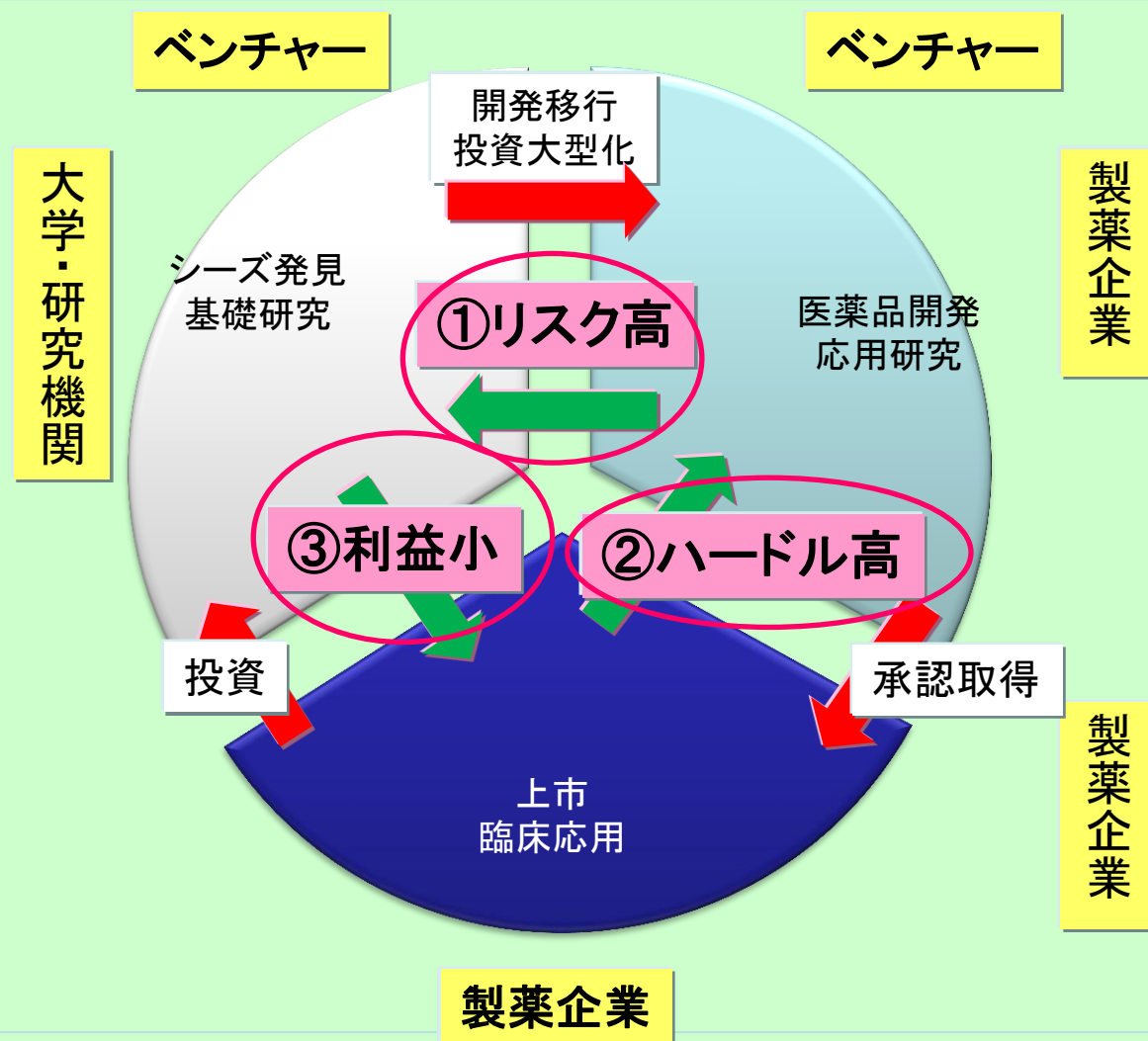
医療費削減

輸出産業
育成

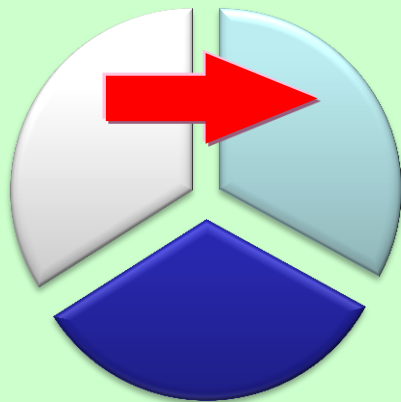
国内雇用
促進

(現状では認められない)

医薬品・医療機器における規制改革 プレーヤーとサイクル阻害要因



提言①



基礎研究、POCから後期開発へ
(製薬企業への導出)

大型投資のリスクを下げるために

・ オーフアンドラッグの開発振興制度の拡充

- (1) 患者数が5万人未満 ← 通常は「診断名」で判断。「重篤な〇〇」は原則NG
- (2) 医療上の必要性が高いこと。
- (3) 開発の可能性が高いこと。 ← 臨床データが必要。FIM試験段階では原則NG

どんどん進む海外でのイノベーション医薬品

欧州	Glybera® uniQure社 2012年11月承認
ロシア	Neovasculgen® HSCI社 2011年7月承認
中国	Gendicine® Sibiono GeneTech社 2003年10月 承認 Oncorine® Sunway Biotech社 2005年11月 承認

提言②



後期開発から、上市・臨床応用へ
(承認取得)

承認取得までたどりつくために

• 日本版SPA制度の新設

SPA (Special Protocol Assessment) とは、FDA と申請者の間で第Ⅲ相臨床試験前に、対象疾患、目的、試験デザイン(エンドポイント(評価項目)、用法・用量、症例数)、解析方法などの詳細な取り決めに関して事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認めるという米国の制度

• 条件付販売承認制度の新設

条件付き販売承認: 生命を脅かす病気に対して有望と考えられる薬剤を、患者さんへのベネフィットが正式に証明される前であっても、予備的証拠に基づき承認し販売可能とする欧州EMAの制度

提言③



上市・臨床応用から、再投資へ
(事業性の確保)

事業継続可能な利益を確保するために

・ 薬価算定ルールの見直し・特例の追加

1) 類似薬の無い新薬の場合

原価算定方式(およそ原価の約3倍が薬価) ← 事業性がなくなるケース

2) 類似薬のある新薬の場合

類似薬効比較方式

例) 昨年11月に欧州で承認されたGlybera (LPL欠損症治療、AAV遺伝子治療)

1度の筋注で長期間(5年間)有効性が持続する

想定薬価: 1億円以上*

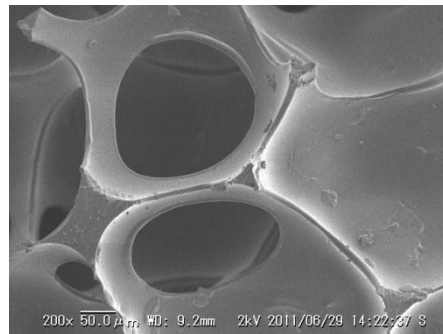
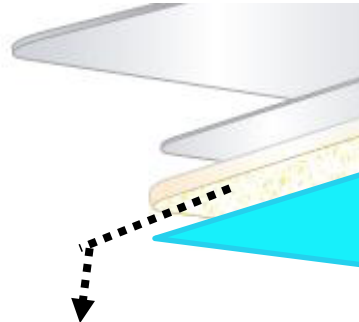
日薬連提言の「類似治療比較方式(仮称)」のような制度が必要

*: リスファクス(2012/11/5)、<http://biopharmconsortium.com>

「イノベーション促進薬価制度」: 再生医療や遺伝子治療などのイノベーティブな医薬品に特別薬価制度

(事例1)抗菌ペプチド含有被覆材(クラスⅢ、抗菌性+褥瘡用)

支持体(ウレタンフィルム)



パッド下部

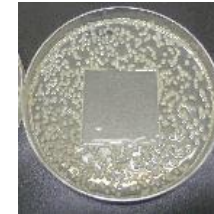
固着防止フィルム

電顕写真(×200、多孔質構造)

パッド中部(ウレタンフォーム)

パッド上部(機能性ペプチドフィルム)

・抗菌性



臨床で問題となる多剤耐性菌に対する効果を確認



医薬品？医療機器？：創傷面につかない設計で医療機器に決定

現状では、効能表示できない(感染症予防と表記は、違法)

規定を明確にすれば、もっとイノベーティブな医療機器開発が可能！

感染症予防効果のある抗菌ペプチド配合被覆材(案)

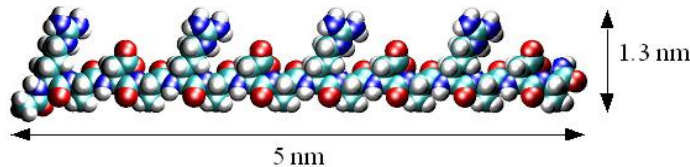
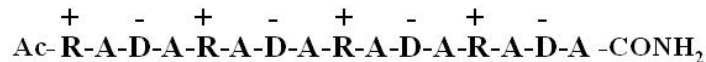
(事例2) 感染リスクのないアミノ酸による人工合成止血材

現在の止血剤

フィブリノゲン製剤 (ヒト血液製剤)
コラーゲン使用止血材
(ウシコラーゲン)

生物由来製品による感染リスク
血液凝固因子製剤 (薬害エイズ)
ヒト硬膜製品 (薬害ヤコブ病)
フィブリノゲン製剤 (薬害肝炎)

ウイルス感染 (C型肝炎等)・BSEなどの感染リスクがない止血剤が必要



アルギニン(R)、アラニン(A)、アスパラギン酸(D)



内視鏡術での適用



株式会社スリーディーマトリックスが開発

アミノ酸から人工合成したペプチドを原材料としている。
透明な液体で体液に接触すると速やかにゲル化する。
術野も見やすく、手術の安全性が高まる。
体内で分解され、排出される。

2011年5月
製造販売承認申請

「感染症リスクのない止血剤」(現状では、効能表示できない:違法)

早期承認制度・効能表示を可能にすれば、世界に展開可能!

ヘルスケア用品へのエビデンス表示で想定される例

◇創意工夫で新規商品開発

◇アジアへの輸出商品開発



膀胱炎を防ぐおむつ
臭わないおむつ



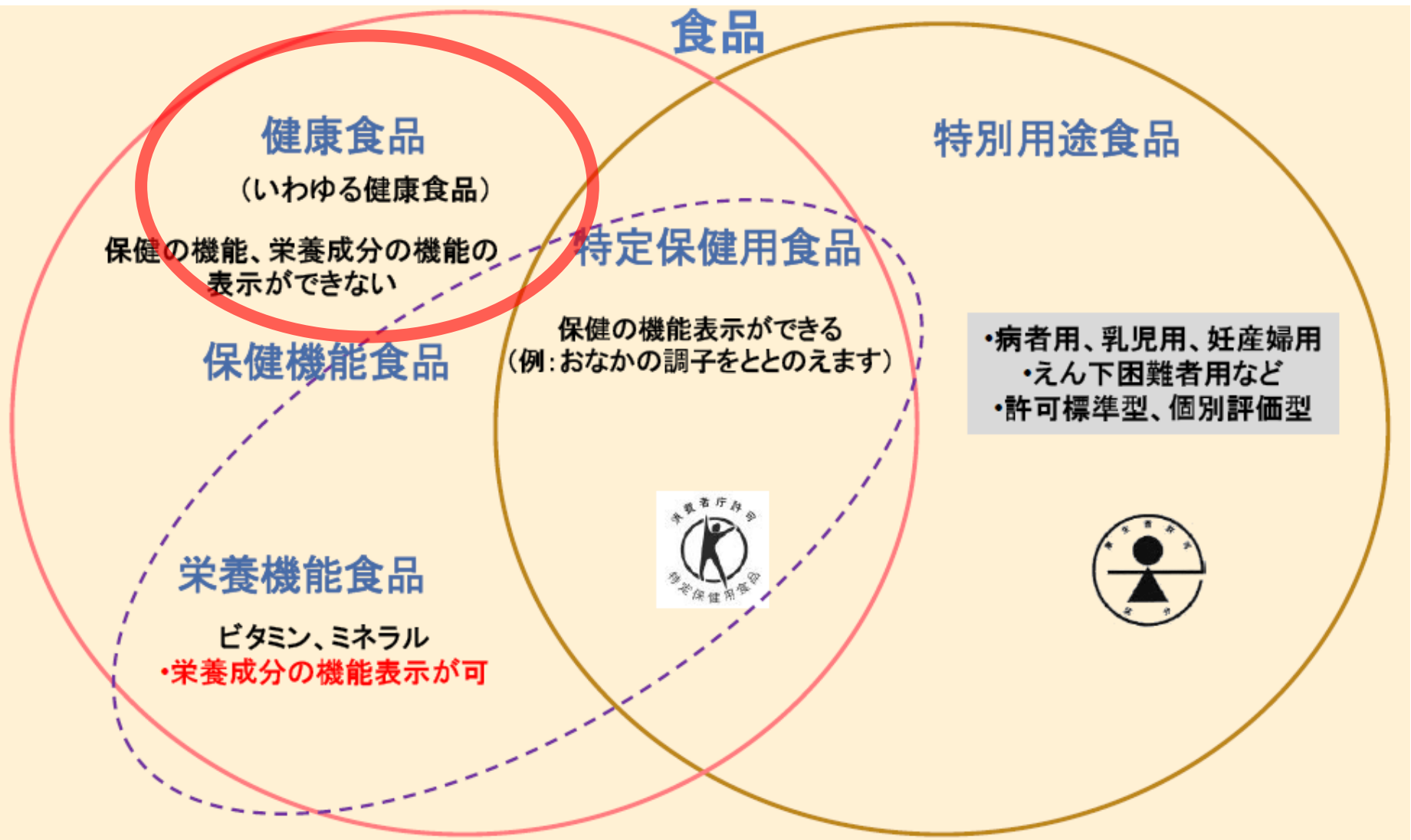
褥瘡を防ぐベッド
睡眠作用のあるまくら



花粉症予防マスク
インフルエンザ予防マスク

サプリメント・ヘルスケア用品における規制改革

日本における健康食品の位置づけ



主要国の健康食品に関連する法律

- 米国：
 - 栄養表示教育法: Nutrition Labeling and Education Act(NLEA)
 - 栄養補助食品健康教育法: Dietary Supplement Health and Education Act (DSHEA)
 - **FDA**近代化法: Food and Drug Administration Modernization Act (FDAMA)
 - 限定的ヘルスクレーム: FDA Qualified Health Claims
- EU:
 - EUフードサプリメント指令: Directive on Food Supplements
 - EU健康・栄養表示法: EC Regulation on Nutrition and Health Claims
- 中国: 保健食品登録管理法
- 台湾: 健康食品管理法
- 韓国: 健康機能食品に関する法律

**海外では、機能性表示が一般的
日本では、禁止
そのため、どれが本物か分からない？**

米国での機能性表示例

- ・米国では、1990年に制定された栄養表示教育法(NLEA)において、可能な健康強調表示が定められている。
- ・また、1994年に制定された栄養補助食品健康・教育法(DSHEA)では、栄養補助食品の表示に関する事項が定められている。

【米国の栄養表示教育法により認められている健康強調表示】 Nutrition Labeling and Education Act (NLEA)

- (1) カルシウムと骨粗鬆症のリスク低減
- (2) 食事脂肪と癌のリスク低減
- (3) 食事飽和脂肪、コレステロールと冠状動脈心疾患のリスク低減
- (4) 非う蝕性糖質甘味料とう蝕のリスク低減
- (5) 食物繊維を含む穀類、果物、野菜と癌のリスク低減
- (6) 葉酸と神経管欠損症のリスク低減
- (7) 果物、野菜と癌のリスク低減
- (8) 果物、野菜、穀類(特に水溶性食物繊維を含む)と冠状動脈心疾患のリスク低減
- (9) ナトリウムと高血圧症のリスク低減
- (10) ある種の食品(オーツ麦、サイリウム種子)の水溶性食物繊維と冠状動脈心疾患のリスク低減
- (11) 大豆たんぱく質と冠状動脈心疾患のリスク低減
- (12) スタノール/ステロールと冠状動脈心疾患のリスク低減

【米国の栄養補助食品健康・教育法の概要】 Dietary Supplement Health and Education Act (DSHEA)

＜栄養補助食品の定義＞

栄養補助食品とは、ビタミン、ミネラル、ハーブその他の植物、アミノ酸、食事として摂取されるもの又はこれらを濃縮・代謝・構成・抽出したものをいう。

＜構造・機能強調表示＞

「構造・機能強調表示」とは、食品によるヒトの構造・機能への影響に関する表示をさす。

栄養補助食品について、構造・機能強調表示しようとする者は、

- ・製品の販売後30日以内に連邦食品医薬品局(FDA)に届出なければならない。
- ・製品には、「この表示は、FDAによる評価を受けたものではありません。この製品は、疾病の診断、処置、治療又は予防を意図したものではありません。」と表示しなくてはならない。
- ・表示の記述が真実であり、誤解されるものではないという証拠を有していなければならない。

＜その他＞

栄養補助食品(構造・機能強調表示をしていないものを含む。)はFDA長官が公布する製造基準(GMP)に合致していなければならない。

22



バランスのとれた食事の一環として、生涯を通して適切なカルシウムとビタミンDを摂取することで、骨粗鬆症のリスクが低下する可能性があります。



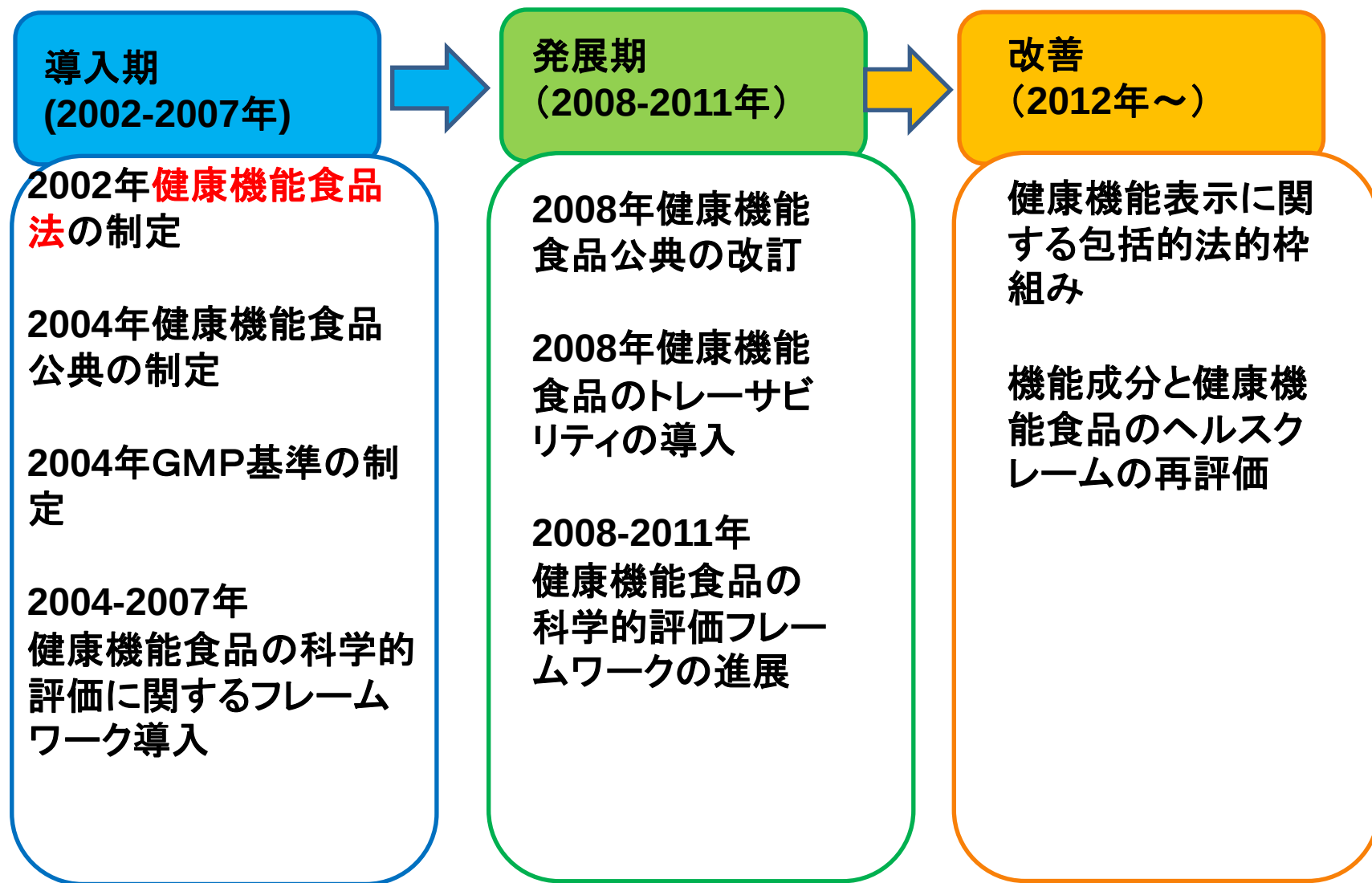
EPA及びDHA ω3系脂肪酸の消費で冠状動脈心疾患のリスクが低下する可能性があることを示唆する研究がありますが、決定的ではありません。(グレードC)



グルコサミンは、健康な靱帯を形成するのに役立ち、潤滑な活動を可能にします。グルコサミンは、同時に関節の可動性や動きを改善します。

(各社HP等より作成)

韓国健康機能食品制度の変遷



機能性と代表的成分- 抜粋(韓国)

肝臓の健康	ブロッコリースプラウト粉末、シイタケ抽出物
更年期女性の健康	ザクロ抽出物
関節/骨の健康	グルコサミン、ローズヒップ粉末、シソエキス、 Nアセチルグルコサミン
記憶力改善	緑茶エキス、テアニン、イチョウ葉エキス
緊張緩和	Lテアニン
目の健康	ビルベリー抽出物、ルテイン、
免疫機能	メシマコブ、スピルリナ、クロレラ
消化機能改善	アンティチョークエキス
排尿機能の改善	カボチャの種エキス
尿路の健康	クランベリー抽出粉末、クランベリーエキス
運動遂行能力の向上	クレアチン
認知能力の向上	フォスファチジルセリン

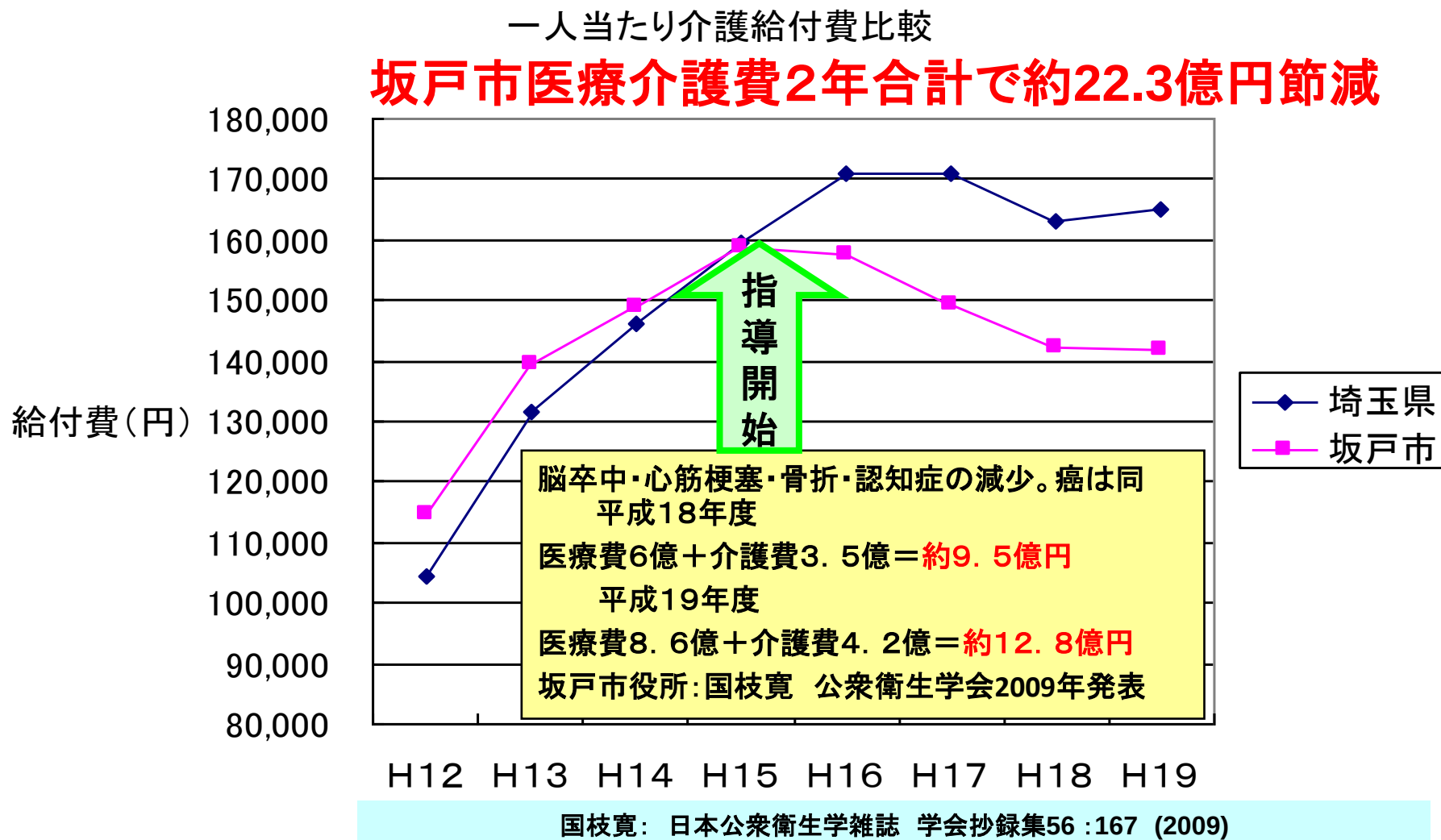
トクホは、効能表示

(新規性分向け、臨床治験が必要、費用が高い)

サプリメントは、機能性表示を認めるべき(伝統的成分、過去のエビデンス蓄積、特許性が低いので費用をかけにくい)

サプリメントをうまく活用すると医療費削減が可能





機能的表示により、国民に安心感を与え、医療費削減
海外との企画統一によりサブリ産業を輸出産業に変換

サプリメント・ヘルスケア用品の規制改革

- 増大し続ける医療費を抑制するために新たな食品医療経済コンセプトで健康食品・医療用品を上手に利用し、疾病予防に努め健康寿命を延ばす。
- 「機能性表示健康食品(仮称)」「機能性表示ヘルスケア用品(仮称)」に関する規制改革を行い、理解しやすい健康機能を表示出来る制度を作り、過大広告に頼らず、国民が正しい健康機能・栄養知識を得られるよう教育する仕組みを作る。
- 安全・安心の日本の信用の上に、「機能性表示健康食品(仮称)」「機能性表示ヘルスケア用品(仮称)」で、世界標準化を図り、コスト競争でなく、イノベーションを元にした健康産業を育成し、国内製造産業振興、アジアへの輸出促進と雇用創出を図る。

国民の健康改善が図れるだけでなく、関連する産業の育成にもつながり、雇用増大も期待出来る。