

作成／更新日:2022年5月31日
/2022年8月31日
課題管理番号: 21lk0201127h0002

日本医療研究開発機構 臨床研究・治験推進研究事業

事後評価報告書

I 基本情報

研究開発課題名：（日本語）治験・臨床試験を機動的かつ円滑に実施するためのサポート機能に関する研究
（英語）Research on support functions for conducting clinical trials and clinical study flexibly and smoothly

研究開発実施期間：2020年4月1日～2022年3月31日

研究開発代表者 氏名：（日本語）猪口雄二

研究開発代表者 所属機関・部署・役職：（日本語）公益社団法人 日本医師会 副会長

II 研究開発の概要

平成 14 年 7 月の薬事法改正により、従来企業しか行えなかった治験を医師・歯科医師自らが実施することが可能となった。医療現場で必要とされているにもかかわらず採算性等の問題から企業が積極的に開発を行わない医薬品等について、医師主導治験を実施しその結果により実用化することができるようになった。国が進めてきた治験活性化計画や研究事業、体制整備等により、医師主導治験の治験計画届出数が漸増し、承認取得に至る医薬品等が出てきた一方、実用化まで結びつかない事例も散見されるようになった。

これまで日本医師会は、希少疾患・難病領域を中心に、日本医学会と連携しながら治験候補薬等の選定及び医師主導治験実施の包括的支援を実施してきた。疾病の重篤性、医療上の有用性に加え、推定対象患者数に基づいて治験候補薬等の選定を行い、医師主導治験の課題解決に資する研究支援ツールについても逐次的に開発してきた。

近年の創薬を取り巻く環境の変化は著しく、実用化に至らない事例への関心の高まりも踏まえ、的確なニーズの把握と実用化に向けた包括的評価指標に基づく開発候補医薬品等の選定、治験の計画段階から実用化に至るまでの課題分析と支援体制整備による実用化促進への取組みが必要であるとする。また、日本医師会が支援を行ってきた医師主導治験の実績データはあるものの、国内全体の医師主導治験終了後の承認取得の有無を含めた報告は少なく、企業導出を含めた実用化に至るまでの課題に関する分析情報も少ない。厚生科学審議会臨床研究部会の 2019 年中間とりまとめにおいても、小児領域・難病等の研究開発へのさらなる取組みの重要性が強調される一方、主要疾病以外のアンメットメディカルニーズ分析も体系的に行われていないのが現状である。効果的な医師主導治験の実施と確実な実用化のためには、近年の創薬環境を踏まえた領域横断的アンメットメディカルニーズ分析に加え、新たな開発候補医薬品等の選定・評価手法の確立、並びにニーズに基づいた実践的研究支援ツールの整備が急務である。

本研究では、医療従事者及び研究者、日本医学会分科会、製薬・医療機器企業団体、患者等の産学民連携により、これまで実施されてこなかった領域のアンメットメディカルニーズの調査・分析を行い、現在の創薬環境と患者・国民の視点等を取り入れた包括的研究開発候補医薬品等のリスト化手法を確立する。また、医師主導治験の事例分析に基づき開発研究に係る課題類型化を進め、実践的研究支援ツールの開発を行うことで、ひいては医師主導治験の実用化促進を目指す。

III 研究開発計画について

1. 研究開発の背景

平成 14 年 7 月の薬事法改正により、従来は企業しか行えなかった治験を医師・歯科医師が自ら企画・実施することが可能となった。その医師主導治験は、外国で治療の有効性・安全性が確立されている国内未承認、あるいは国内で承認されているが「適応外」となっている希少疾病等の医薬品等について、採算性等の問題から企業が積極的に開発しないため医師自らが治験を企画立案し、実施し、結果を取りまとめ承認申請することで医薬品医療機器等法上の承認を取得することにより医療現場で必要とされる医薬品等を提供する手段の 1 つになった。

薬事法改正当初は、何もかも初めてで医師らは国、製薬企業、治験支援企業及び日本医師会等の支援を受けながら一歩ずつ前に進み、多くの難題、問題を理解し解決して、平成 19 年 8 月に医師主導治験の結果をもとに最初の承認取得を達成した。なお、国が進めてきた治験活性化計画等により、医師主導治験の治験計画届出や医師主導治験の結果をもとに承認取得された成果も数多く出てきているが、承認取得に至らなかった案件がいくつかあるのではないかと推測される。日本医師会研究事業の場合、承認取得に至らなかった案件の事例としては、医師主導治験を計画したが治験薬提供等の企業支援の合意が得られなかった、PMDA と治験計画の合意ができなかった、症例登録が完遂できなかった、データ解析の結果、設定していた主要評価項目が達成できなかった、医師主導治験の結果は出たが当該疾患の治療環境や企業の開発方針が大きく変化しその結果では承認申請しない判断になったなどである。また、2020 年度までに医師主導治験の治験計画届総数が 824 件（PMDA 運営評議会資料）提出されているが、UMINCTR と JMACCTCTR で医師主導治験を検索すると日

本医師会で研究支援したもの以外の医師主導治験は、治験計画届日が未記載、情報の更新が止まっている、試験結果が未登録など多く見受けられ、特に競争的資金を使って実施された医師主導治験がその後企業へ導出されたのか、承認取得されたのかは、日本医師会で研究支援した医師主導治験以外は明らかになっていないものが多くある。

2. 研究開発の目標・ねらい

小児領域や希少疾患・難病等の領域に対する、産学民連携によるアンメットメディカルニーズ分析及び包括的開発候補医薬品等リスト化手法を確立し、実用化促進開発候補医薬品等リストを作成する。これにより医薬品開発の方向性や課題の可視化が可能となる。

これまでに実施された医師主導治験の事例調査・分析に基づき開発課題を整理し、実践的研究支援ツールを開発する。これにより、医師主導治験の実用化促進を目指す。

3. 研究開発の概要

3-1. 研究開発計画

(1) アンメットメディカルニーズ調査と分析

国内外のアンメットメディカルニーズの調査研究に関する情報を収集し、既存の調査項目及び調査手法の分析と類型化する。この類型化情報を基に、既に本研究への協力許諾を得ている日本医学会分科会、製薬・医療機器企業団体、患者団体、研究者等のメンバーで構成する協議体により、アンメットメディカルニーズ調査に必要となる質問項目の検討及び決定を行う。日本医学会分科会が指定する専門医・研究者、また必要に応じて特定領域の患者会等を対象にアンケートを試行的に実施し、同時にアンケートに対する意見、フィードバックについても収集する。

試行的アンメットメディカルニーズ調査の結果分析を基に、日本医学会の幅広い領域の分科会に対してアンメットメディカルニーズ調査を実施する。また、患者団体が望む医薬品のニーズ調査も実施する。それぞれの調査結果を基に開発候補医薬品リストに資するアンメットメディカルニーズ分析を行う。

(2) 開発候補医薬品リスト化手法の構築

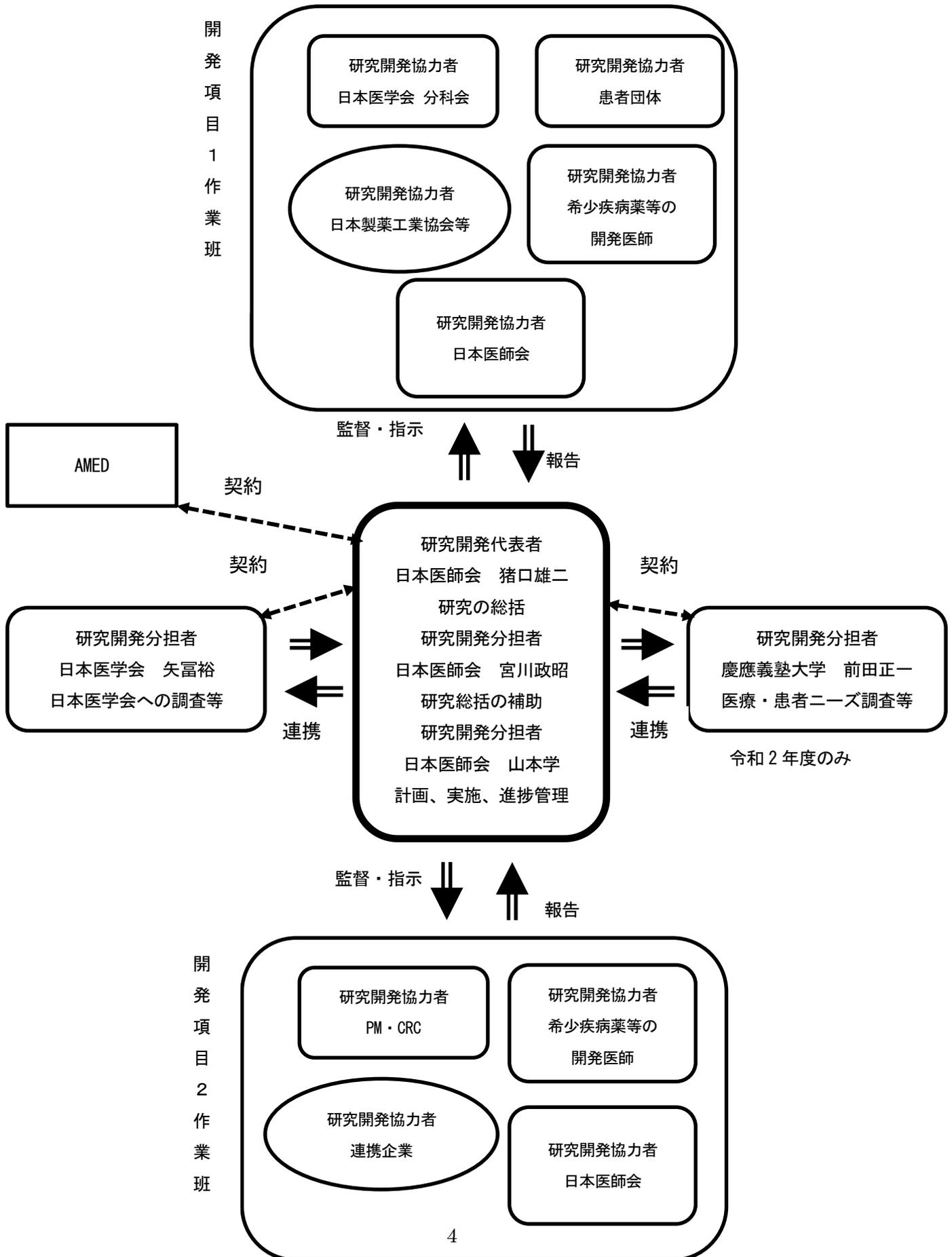
市場規模予測、医薬品製造の課題、既存治療との比較、Quality Adjusted Life Year (QALY 質調整生存年) などに関する項目を中心に、協議体メンバーに対するヒアリング調査により医薬品実用化に係る課題を抽出し、協議体による構造化ディスカッションに加え、ノミナルグループ手法とデルファイ法によるミックスドメソッドアプローチにより、抽出項目の重要度について同意形成を図る。日本医学会分科会に対しての開発候補医薬品等の推薦内容について協議体メンバーで意見をとりまとめる。

開発候補医薬品の推薦様式を固定し、日本医学会分科会に推薦依頼を行い、その結果をとりまとめ、開発候補医薬品リストを作成する。

(3) 研究実施上の課題整理と支援ツールの開発と提供

公開されている既存情報のドキュメント分析を実施し、協議体メンバーにより調査項目を決定する。日本医師会研究事業で支援を行ってきた医師主導治験等を対象に調査を行い、質的・量的手法により事例分析を実施する。分析結果に基づき、研究支援ツールの整備により研究実施の支援や促進に結びつく可能性が高い領域について、合意形成手法を用いて協議体メンバーらで優先順位付けを行う。また、特定した領域については、医師主導治験の有識者らでワーキンググループを形成して研究支援ツールドラフトを作成する

3-2. 研究開発の実施体制



IV 研究開発成果

1. 研究開発項目とロードマップ（計画および実績）

研究開発項目	担当者 氏名	R2 年度				R3 年度			
		1 Q	2 Q	3 Q	4 Q	1 Q	2 Q	3 Q	4 Q
開発候補医薬品のリスト アンメットメディカルニーズ調査と分析 ・ ニーズ調査 ・ 調査結果の分析等 ・ アンケートの実施 ・ アンケート結果の分析等 ・ 倫理審査、標本調査アンケート結果の分析等 開発候補医薬品等リストの作成 ・ 実用化に係る課題抽出 ・ 様式固定、推薦依頼、リスト作成	猪口雄二 宮川政昭 矢富裕 山本学 高橋久美子	→	→	→	→	→	→	→	→
課題整理と支援ツールの開発 ・ ドキュメント分析と課題整理等 ・ 事例調査及び分析 ・ ドラフトの作成 ・ 使用調査 ・ 調査分析と研究支援ツールの最終化	猪口雄二 宮川政昭 矢富裕 山本学 高橋久美子	→	→	→	→	→	→	→	→

2. 研究開発項目別 研究開発成果

(1) アンメットメディカルニーズ調査と分析 (担当者: 猪口雄二) [達成度 100 %] :

1) 国内外のアンメットメディカルニーズの調査研究に関しては以下の情報を得た。いずれも内科医、小児科医による医療ニーズ調査のため、調査対象を日本医学会分科会にすることに意義はあると考えた。

- ・60 疾患に関する医療ニーズ調査 他 ((ヒューマンサイエンス振興財団)

- ・小児領域における新薬開発促進のための医薬品選定等に関する研究 (日本小児学会 高橋孝雄)

2) 日本製薬工業協会 (JPMA) とヒューマンサイエンス振興財団の担当者と意見交換を行った。以下の意見があり調査項目を検討する上で参考になった。

- ・これまでの調査からは、アンメットメディカルニーズの評価指標が確立できておらず、根拠が不明な点が多いと考える。

- ・新しいニーズを拾える調査が必要で、継続的に見直し、更新することも重要と考える。

- ・ニーズはあるが、今は開発候補医薬品がないという領域や疾患もあるはずで、その点については候補薬の探索から望まれる分野として示すことが可能ではないか。

- ・「アンメットメディカルニーズ」の定義付をきちんと行った上で、調査が必要と考える。

- ・開発候補医薬品リスト化においては、既存薬のみではなく、アカデミアのシーズなどもリストに挙がってくると、非常にリスト化の有用性を示せると思う。

3) NPO 法人ささえあい医療人権センターCOML の山口理事長と意見交換を行った。以下の意見があり調査項目を検討する上で参考になった。

- ・患者のニーズは、患者個人の要望等が強いものが多い傾向にある。

- ・研究班の名前などが出ると一歩引いてしまう患者団体もあると思うので、馴染みやすい平易な表現で記載するとよい。

- ・行政や企業等への要望もあると思うので収集することを検討してほしい。

4) アンメットメディカルニーズ (UMN) 調査に必要な質問項目等の決定を行うために、研究者、患者団体、製薬業界及び学会の関係者による協議体 (検討会) 及び WG を設置した。

検討会メンバー (敬称略)

中村治雅 (国立精神・神経医療研究センター)、菊地主税 (日本製薬工業協会)、山口育子 (ささえあい医療人権センターCOML)、矢富裕 (日本内科学会)

WG メンバー (敬称略)

青柳 充顕 (日本製薬工業協会)

5) 検討会開催にあたり、矢富先生、WG、門田医学会会長と打合せを行い、UMN 調査の対象、調査項目等の意見を聞いた。

- ・UMN 調査としては広く拾える調査項目を検討し、調査する必要があるとの意見があった。

- ・対象は、専門医を養成している 18 分科会、臨床系の分科会が候補と考えられると矢富先生から意見があった。

- ・対象疾患名、その理由及び定量的な評価指標などが調査項目になると考えられるとの意見があった。

- ・分科会として回答を求めるとすれば各分科会の評議員の回答を分科会として評価等するプロセスが必要ではないかとの意見があった。

- ・日本医学会分科会は、基礎系、社会系、臨床系に整理されているので幅広い領域 (多くの疾患) を対象とするならば臨床系の分科会を対象とするのがよいのではないかと門田医学会会長から意見があった。

6) 検討会を開催し、UMN 調査の概要について議論し、必要な事項を決定した。

- ・UMN の定義は「いまだ有効な治療方法が確立されていない、あるいは既存治療では十分でない疾病に対する医療への要望」で承諾された。

- ・対象としては、特定の分科会 (18 + a) と臨床系の分科会の代議員または評議員の両方が望ましいとの意見があった。

- ・日本内科学会の代議員等が調査に協力できるとの意見があった。
- ・調査項目は、新たな治療薬が必要な疾患名、定量的評価、その理由で承諾された。
- ・疾患名は、ICD-10 等での回答とすることが理想的だが、回答率が下がる可能性もあるので、自由記載とすることで承諾された。

7) 日本内科学会に試行的調査を依頼すること及び調査票 (別添 1-1) に関して検討会委員の確認後、令和 3 年 1 月 12 日より調査を開始した。

8) 調査結果について事務局にて整理した。

- ・174 人 (複数回答を含む) から回答があり、新たな治療薬が必要な疾患があるは 157 人 (90%)、ないが 17 人 (10%) であった。
- ・新たな治療薬が必要な疾患数はのべ 569 件であった。
- ・回答された疾患名を ICD10 対応標準病名マスター (http://www.byomei.org/Scripts/search/index_search.asp) を参照し、「病名」および「ICD10 コード」に読み替えた。
- ・回答疾患名が ICD-10 に完全一致しないものは、日本内科学会に WG を設置し整理していただくことになった。
- ・理由の選択肢のうち「医薬品が無い」に関しては、「承認されている医薬品が無い」の趣旨であったが、「有効な医薬品が無い」として回答されていると推測されるものが散見された。
- ・「医薬品が無い」のみを選択されている疾患のうち承認されている医薬品が有るものがあった。

9) 検討会開催にあたり、WG と打合せを行い、試行的 UMN 調査結果について意見を聞いた。

- ・腎臓系の疾患の回答が多く、専門領域に偏りがなかったのかとの意見があった。(診療科 (専門領域) を聞いていないので不明)
- ・腎系の疾患は UMN として少し疑問が残るが、十分な治療薬がない、患者の症状が重い、患者数が多いなど様々な観点で UMN という回答結果なのかもしれないとの意見があった。
- ・今後実施する日本医学会分科会への調査では、診療科 (専門領域)、薬事承認の有無を設問に加えることを提案し了承された。

10) 検討会を開催し、試行的 UMN 調査結果の概要、患者ニーズ調査について議論し、必要な事項を決定した。

- ・内科は薬剤治療が主流でもあり、全ての領域を含まれる結果で、興味深い結果が得られたとの意見があった。
- ・今回の調査結果のような広い領域のものはあまり見たことがなく貴重な調査結果が得られたと思うとの意見があった。
- ・今後、広く他の学会を含めて調査を広げていくのであれば、何か傾向がでてくるのではないかと意見があった。
- ・WG で了承された、診療科 (専門領域)、薬事承認の有無を設問に加える件については承諾された。
- ・今後実施する日本医学会分科会への調査依頼に関して、対象は臨床系の分科会の代議員または評議員にすることで承諾された。
- ・患者ニーズ調査の対象団体に関しては、公開情報を基に幅広い団体等を対象とすべきとの意見があった。また、調査項目は、団体名、新たに治療薬の開発が必要と思われる疾患名とその理由、薬事承認の有無、医薬品開発に関係している医療機関、製薬企業及び行政機関への要望にすることで承諾された。

11) 読み替えができない疾患を日本内科学会に整理を依頼し、その回答と合わせて、日本内科学会の試行的 UMN 調査を取りまとめ、結果の分析等について、中村委員及び統計アドバイザーの佐藤先生に意見を伺った。

- ・回答者の主観が入ってしまっているので、細かく分析をして、何らかの意味付けすることは難しい。大きな観点で集計などを行うことでよいとの意見であった。

12)意見を基に日本内科学会の試行的 UMN 調査を取りまとめた。(別添 1-2)

・同一者が 2 回回答している取り扱いは、疾患名、治療薬の有無、理由、必要度の何れも一致しているので一方の回答を削除することとした。

・1 回の回答において同一疾患を 2 回回答している取り扱いは、治療薬の有無、理由、必要度の何れかが不一致なため、一方を削除することができない場合は【回答疾患名】の表示とすることとした。

・その他、読み替えができなかったものは、<回答疾患名>の表示とすることとした。

13) 検討会の意見を反映し、日本医学会分科会に対して UMN 調査 (別添 1-3) を依頼し、令和 3 年 7 月 13 日より開始した。

14) 調査結果について事務局にて整理した。

・1308 人(複数回答を含む)から回答があり、新たな治療薬が必要な疾患の有無は、有が 985 人(75%)、無が 321 人(25%)であった。

・新たな治療薬が必要な疾患数はのべ 2282 件であった。

・試行的 UMN 調査と同様に ICD10 対応標準病名マスター (http://www.byomei.org/Scripts/search/index_search.asp) を参照し、「病名」および「ICD10 コード」に読み替えた(外注)。

・回答疾患名が ICD-10 に完全一致しないものは、日本内科学会調査時に整理作業を行った WG メンバーに依頼した。なお、整理しても ICD-10 に読み替えが困難なものは、(回答疾患名)の表示とした。

・1 回の回答において同一疾患を 2 回回答している取り扱いは、治療薬の有無、理由、必要度の何れかが不一致なため、一方を削除することができない場合は【回答疾患名】の表示とすることとした。

・その他、読み替えができなかったものは、<回答疾患名>の表示とすることとした。

15)日本医学会分科会の UMN 調査を取りまとめ、結果の分析等について、統計アドバイザーの佐藤先生に意見を伺った。

・各学会の回答内容もばらつきもあり、正確な数字が得られない以上は、あえて回答率は出さなくてもよい。学会を通して広く聞いているので、問題はないとの意見であった。

・今回の回答者の診療科分布が、厚労省が定期的に行っている日本の診療科ごとの医師数と比較することを検討したが、母集団の対象が異なっていると思われるので、比較する意味はないとの意見であった。

・ICD-10 への読替の結果、複数の読替疾患があり、回答者へ確認の結果複数でよいとの回答があった場合の取り扱いについて、ロジカルチェックをかけた結果と同様なので、問題ないとの意見であった。

・件数が多く挙がっている疾患で大きな分類となっている疾患(糖尿病、肺癌、認知症、悪性腫瘍など)は ICD-10 への読替候補を回答者に確認することは問題ないとの意見であった。

16)これまでの意見及び整理を基に日本医学会分科会の UMN 調査を取りまとめた。(別添 1-4)

17) 検討会の意見を参考に患者団体に対して UMN 調査 (別添 1-5) を依頼し、令和 3 年 9 月 21 日より開始した。

・Web で連絡先等が公開されている 50 の患者団体のうち、調査協力の確認ができた 18 患者団体に調査依頼をした。

18) 調査結果について事務局にて整理した。(別添 1-6)

・新たな治療薬の開発が必要な疾患の有無は、ありが 17 (94.4%)、なしが 1 (5.6%) であった。

・開発を要望する疾患数は 37 疾患であった。当該疾患は開発候補医薬品の推薦につなげるために日本医学会分科会

(臨床部会)へ情報提供することとした。

・治療薬開発に携わる機関への要望は 52 件であった。

・連携している学会、研究班等の有無はありが 9 (50%)、なしが 7 (38.9%)、回答なしが 2 (11.1%) であった。

考察)

日本医学会分科会(臨床部会)に対して UMN 調査を実施できたことは、現時点の幅広い領域に関する UMN が確認できたと考える。また、今回の調査結果をベースとして定期的な調査を実施していくことで我が国の UMN の動向を知ることができると考える。

参考)

・日本医学会分科会の UMN 調査結果について、中間分類 ICD-10 コードに従って集計をした。(別添 1-7)

・日本内科学会の試行的 UMN 調査と日本医学会分科会の UMN 調査は一部設問等が異なっているが統合集計をした。

(別添 1-8)

(2) 開発候補医薬品リスト化手法の構築(担当者:猪口雄二) [達成度 100 %] :

1) 開発候補薬リスト作成に必要な項目等の決定を行うために、研究者、患者団体、製薬業界及び学会の関係者により協議体(検討会)及び WG を設置した。

検討会メンバー(敬称略)

中村治雅(国立精神・神経医療研究センター)、菊地主税(日本製薬工業協会)、山口育子(ささえあい医療人権センターCOML)、矢富裕(日本内科学会)

WG メンバー(敬称略)

青柳 充顕(日本製薬工業協会)

2) 検討会開催にあたり、WG を開催し、推薦項目等の意見を聞いた。

・アンメットメディカルニーズと判断された領域、疾患に対する開発候補医薬品リストは、推薦基準などを設定し、結果的に難病や希少疾病に限られる可能性は十分考えられるとの意見があった。

・推薦項目に関しては、これまで使用していた推薦項目に、患者ニーズや企業ニーズを盛り込むことでよいとの意見があった。

・既存薬のみではなく、アカデミアのシーズなどもリストに挙がってくると、非常にリスト化の有用性を示せると思うとの意見があった。

3) 検討会を開催し、開発候補医薬品の推薦について議論し、必要な事項を決定した。

・学会として患者ニーズを示すのは、どういった手順で行えるものなのか悩ましいとの意見があった。

・推薦項目として、市場規模予測、費用対効果などは企業の協力が無いと分科会で提示するのは困難との意見があった。

・製薬企業でも、特に既存治療薬がないものは市場規模予測などを出すのは難しいとの意見があった。

・患者ニーズ調査結果を該当分科会に提示するなど研究ニーズと患者ニーズのマッチング作業が必要であるとの意見があった。

4) 検討会の意見を反映し、日本医学会に開発候補医薬品の推薦依頼(別添 2-1)を令和 3 年 10 月 7 日に行った。

5) 推薦された開発候補医薬品について確認作業を行いリスト化した。(別添 2-2)

・29 学会から 100 品目の推薦があり、特に日本小児血液・がん学会から 41 品目の腫瘍用薬の推薦があった。

・国内未承認が 33 品目、そのうち国内外未承認が 18 品目だった。

推薦数:100品目 (29学会)

日本小児血液・がん学会を除く 29学会 59品目				日本小児血液・がん学会 41品目			
		国内承認				国内承認	
		有	無			有	無
海外承認	有	29	9	海外承認	有	29	6
	無	8	13		無	1	5

6) 第 21 回 健康・医療戦略参与会合 (6 月 7 日) にて、小児領域・難病等の治療開発候補医薬品 (研究成果) を発表した。

考察)

これまで国は小児領域・難病等の治療薬研究開発推進のために数多くの施策を実施してきたが、今回の開発候補医薬品リストのとおり未だに数多くの開発が必要とされている治療薬がある。そのため、諸外国の小児領域・難病等の治療薬開発推進施策を参考に、特に企業による治療薬開発が推進される施策の創設を強く希望する。

(3) 研究実施上の課題整理と支援ツールの開発と提供 (担当者:猪口雄二) [達成度 100 %] :

1) 公開されている教育・支援ツールを研究段階に整理を行った。(別添 3-1)

2) 日本医師会が公開している教育・支援ツール作成に関与していたスタディマネージャー、プロジェクトマネージャー、研究者、企業の開発担当者等に治験・臨床研究の課題、日本医師会以外の公開ドキュメント情報等についてプレ調査を行った。

・回答者: 11 名 (内訳: 研究者: 1 名、支援部門者: 7 名、企業: 3 名)

・課題の件数: 85 件 (主な課題 人材: 24 (人材不足、知識・スキルの不足 など)、資金: 16 (獲得が困難、研究期間が短い など)、体制: 7 (モニタリング実施体制の構築 など)、教育: 5 (研究者の教育 など)、規制: 5 (治験と臨床研究の相違の理解 など))

・日本医師会が公開している以外で利用されているツールは、データ管理、品質管理、文書管理・作成・ひな形に関するものが多かった

3) 医師主導治験等を実施する上での障壁や課題についての調査及びツール開発を行うために、研究者、研究支援者及び製薬業界の関係者により協議体 (検討会) 及び WG を設置した。

検討会メンバー (敬称略)

朝倉正紀 (兵庫医科大学)、笠井宏委 (京都大学医学部附属病院)、菊地主税 (日本製薬工業協会)

WG メンバー (敬称略)

松島信子 (日本製薬工業協会)、酒井弘憲 (日本製薬工業協会)

4) 検討会を開始し、課題・障壁の調査及び研究支援ツール開発等について議論した。

・課題・障壁の設定はカテゴリを複数設定したほうが回答しやすいとの意見があった。

・医師主導治験や臨床研究の実施にあたっては支援者も重要であり、研究者のみならず、役割分担を考えた上で支援者向けの支援ツールも必要との意見があった。

・支援ツールを整理マッピングされたものなかったので役立つと考えられるとの意見があった。

・企業及び開発ステージによって要求したい情報、相談のタイミングが異なっている。開発ステージパターンを 2.3 つに絞って相談項目を設定するのが現実的と考えられるとの意見があった。

5) 検討会の意見を基に調査項目等の検討を WG にて行い、決定した。

6) 課題・障壁の調査票 (別添 3-2) に関して検討会委員の確認後、令和 3 年 1 月 6 日から ARO 協議会の法人学術会員に対して、また、1 月 12 日から日本医師会が管理運営している大規模治験ネットワークに登録している医療機関に対して Web 調査を行った。

7) 調査結果概要は以下の通り

- ・80 人から回答があり、医師が 21 人、ARO などの支援部門者とそのほかが 59 人であった。なお所属が臨床研究中核病院と非臨床研究中核病院の割合は、それぞれほぼ 1:1 であった。

- ・課題や障壁の有無に関しては、67:13 (有:無) であり、所属が臨床研究中核病院と非臨床研究中核病院の割合は、それぞれほぼ 1:1 であった。

- ・障壁や課題となっている事項が 286 件、使用している研究支援ツールは 70 件の回答があった。研究資金 (資金獲得困難、研究費の継続性など)、人的リソース (組織の雇用問題、慢性的な人手不足など) 及び人材育成 (教育体制の整備、教育できる人材の不足など) が障壁や課題となっている事項が 142 件 (約 50%) であった。件数は以下の通り。

結果概要 : 課題や障壁の有のカテゴリー(件) 最大数を赤字

	治験調整医師(研究者)		AROなどの支援部門		その他	計
	中核	非中核	中核	非中核	非中核	
人材教育	3	5	13	19	2	42
体制整備	4	5	14	15	3	41
企業交渉	3	5	12	11	0	31
品質管理	2	2	11	15	0	30
研究資金	8	10	21	16	0	55
人的リソース	2	6	17	17	3	45
規制遵守	4	0	7	11	1	23
その他	1	3	4	10	1	19
計	27	36	99	114	10	286

- ・アンケート結果で要望として挙がり、現時点で利用できるツールがなく一般化すると考えられた「研究者支援部門に対する研究支援ツール」、「品質確保 (DM 関連など) に関する研究支援ツール」を中心に、新たなツール開発を行うこととした。また、令和 2 年 8 月に GCP 省令が一部改正され、新たに「治験使用薬」が定義され、薬の管理、安全性情報、予測性判断のための科学的知見を記載した文書など改正に伴う手順の変更が必要になった。令和 4 年 9 月より施行になるため関連する SOP の改定を行うこととした。

8) 研究者支援部門に対する研究支援ツールの開発

- ・WG を設置し研究支援ツールの開発について検討を行った。

WG メンバー (敬称略)

笠井宏委 (京都大学医学部附属病院)、伊豆津美和 (株式会社 CTD)、風見葉子 (ノーベルファーマ株式会社) 菊地佳代子 (国立成育医療研究センター)、大塚佑基 (東北大学ナレッジキャスト株式会社)、福谷美紀 (国立がん研究センター東病院)

- ・既存の支援ツールを最新版の内容への見直しの要望により、今後とも必要と考えられるツールの整理した上で、必要な研究支援ツールを作成することになった。

- ・6 回の WG で検討を行い、現在の状況に合わせた形で「教育コンテンツ」、「フローチャート」、「ガントチャート」、「StM ツールマップ」の作成及び既存の支援ツールを最新版への更新を行い、「医師主導治験スタディマネジャーのためのオペレーション支

援ツール」(別添 3-3)として令和3年8月に研究支援ツールを公開した。

・研究支援ツール公開後、検証することを目的に、医師主導治験に携わっている方を対象にアンケートを実施した。個別の要望があったが一般化ツールとして反映すべき改善点はなく、大きな問題点がないことが確認できた。

・今後、治験・臨床研究等に関係する学会等にて本研究支援ツールの周知活動を実施していくことを検討している。

9) 品質確保(データマネジメント(DM)関連など)に関する研究支援ツール

・WGを設置し研究支援ツールの開発について検討を行った。

WGメンバー(敬称略)

林 宏至(北海道大学病院)、山口拓洋(東北大学大学院医学系研究科)、高田宗典(東北大学病院)

宮路天平(東京大学大学院医学系研究科)、菅波秀規(興和株式会社)、小居秀紀(国立精神・神経医療研究センター)

・医師主導治験のDM業務は、アカデミア自身が実施する機会が増加している。そこでアカデミアにおけるDM業務を標準化した支援ツールを作成することになった。

・5回のWGで検討を行い、MD手順書、計画書、症例及びデータの取扱い手順書、基準のひな形及び解説資料等を作成し、「医師主導治験に係るデータマネジメント手順書」(別添3-4)として令和3年12月に研究支援ツールを公開した。

・研究支援ツール公開後、検証することを目的に、DM業務に携わっている方を対象にアンケートを実施した。一般化ツールとして反映すべき改善点はなく、大きな問題点がないことが確認できた。

・今後、治験・臨床研究等に関係する学会等にて本研究支援ツールの周知活動を実施していくことを検討している。

10) 医師主導治験のSOPの作成

・WGを設置し研究支援ツールの開発について検討を行った。

WGメンバー

林宏至(北海道大学病院)、三浦亜利紗(北海道大学病院)、熊谷いづみ(北海道大学病院)、菊地佳代子(国立成育医療研究センター)、元永伸也(国立がん研究センター東病院)、清水忍(名古屋大学医学部附属病院)

浅田隆太(岐阜大学医学部附属病院)、岩崎幸司(大阪大学医学部附属病院)、角田良介(国立循環器病研究センター)、宮田雅代(日本製薬工業協会)、渡部ゆき子(日本製薬工業協会)

・GCP省令が一部改正に伴い、医師主導治験SOPの改定が必要な部分、治験薬の管理及び安全性情報の取扱いに関するSOPを中心に作業を行った。なお、企業治験の対応に関しても最新情報を共有しつつ改定作業を進めていくことになった。

・7回のWGで検討を行い、必要な医師主導治験SOPの改定を行い、「医師主導治験SOPひな形 医薬品SOP」(別添3-5)として令和3年12月に公開した。

・令和4年9月の施行に向けて、アカデミア向けに新たに「治験使用薬」が定義されたことに伴う、改定の趣旨、治験薬の管理及び安全性情報の取扱いに関するWeb説明会を開催することとした。第1回目は3月25日に「令和2年8月のGCP省令の一部改正」の概要、今回改定したSOP改定作業の概要のWeb講習会を開催した。事前登録者数が346人、講習会後のアンケート回答者数が102人、内訳は医師が4名、薬剤師等医療従事者が63人、治験事務局等が35人だった。

・治験薬の管理に関するWeb講習会を4月28日に開催、安全性情報の取扱いに関するWeb説明会を5月25日と6月8日に開催した。

3. データベース等の整備関連

【 該当： 無 】

4. 今後の見通し・戦略・方向性

日本医学会に協力していただいたアンメットメディカルニーズ調査及び開発候補医薬品の推薦に関しては、今後定期的に調査、依頼することで我が国のアンメットメディカルニーズの把握や医療現場で必要とされている具体的な治療薬の把握が可能と考えられる。そのために関係各所と協力しながら検討していきたいと考える。また、研究支援ツールの開発やメンテナンスに関しても規制等の改正に応じて関係各所と協力しながら継続して検討していきたいと考える。

5. 企業との研究協力、共同研究の状況（現状及び今後の予定）

該当なし

6. 課題推進のために実施した主な活動等

該当なし

7. 成果の外部への発表

・第21回 健康・医療戦略参与会合（6月7日）にて、小児領域・難病等の治療開発候補医薬品（研究成果）を発表した。

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 件、国際誌 件）

なし

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

なし

(3) 「国民との科学・技術対話」に対する取り組み

なし

8. 知的財産権確保のための対応状況

該当なし

(1) 特許リスト（国内出願、国際出願、権利登録）

【 該当： 無 】

9. 事前・中間評価委員会コメントへの対応状況

・サポート機能としては患者さんにとっても役に立つツールを提供することを検討していただきたい。
→患者団体からの治験実施状況の情報を得たい要望があった。すでに臨床試験登録サイトが構築されているので新たなツール提供はしないが、別途日本医師会が実施している治験啓発の研究と連携して更なる国民及び患者に対する啓発活動を実施することを検討していきたい。

(別紙1：臨床研究・治験の概要)

該当せず