

国家戦略特区ワーキンググループ ヒアリング（議事要旨）

（開催要領）

- 1 日時 平成27年11月12日（木）13:55～14:10
- 2 場所 永田町合同庁舎7階特別会議室
- 3 出席

<WG委員>

委員 阿曾沼 元博 医療法人社団滉志会瀬田クリニックグループ代表

委員 鈴木 亘 学習院大学経済学部経済学科教授

委員 原 英史 株式会社政策工房代表取締役社長

<提案者>

佐藤 暁洋 国立研究開発法人国立がん研究センター東病院研究企画部長

奥山 勤也 柏市企画部参事

玉置 敏浩 三井不動産株式会社柏の葉街づくり推進部事業グループ長

内埜 裕子 柏市企画部企画調整課主事

<事務局>

藤原 豊 内閣府地方創生推進室次長

（議事次第）

- 1 開会
- 2 議事 柏の葉ヘルス・イノベーション拠点構想
- 3 閉会

○藤原次長 済みません、少し時間が押してしまいましたが、2番目においでいただきました柏市の関係の方々ということで、一部事業者の方もおいでだということでございます。

阿曾沼先生も今おいでになりましたので申し上げますと、40ぐらい、この春の提案、秋の提案で出てきております今の指定地域以外の自治体の方々を一応対象にして幅広くヒアリングをさせていただき、年内、また指定地域をつくるということが総理の指示でございますので、その候補としてお話を伺うという趣旨でございます。

規制改革の項目を中心に、大変時間が短く恐縮なのですが、10分以内で御説明いただいて、残り10分程度意見交換というスケジュールでやらせていただきたいと思います。内容は非公開を御要望される部分がありましたらおっしゃっていただければと思います。

きょうは八田座長が急遽御欠席ということでございまして、その代理を原さんのほうにお願いをしているところでございますので、原委員のほうで進行をお願いしたいと思います。

す。よろしく申し上げます。

○原委員 では、よろしくお願ひいたします。御説明をいただきましたらと思ひます。

○奥山参事 千葉県柏市でございます。スケジュールの関係で、市長、病院長が欠席で申しわけございません。

私たち、アジアナンバーワンの治療開発、治験体制を有しております国立がん研究センター東病院を中心に、1人ひとりの希少疾患患者さんへの治療、治験を行っていく制度、それに伴う遠隔医療ですと医療ツーリズムの体制構築、そして、医薬品、医療機器初め、ライフサイエンス分野の産業立地、企業集積を進めていくため、必要となる規制緩和を提案させていただいているものでございます。

説明につきましては、国立がん研究センター東病院の佐藤部長よりさせていただきます。

○佐藤研究企画部長 国立がん研究センター東病院の佐藤と申します。よろしくお願ひします。

では、簡単にコンセプトの提案の背景を御説明した後、規制緩和のところについてお話ししたいと思います。

お手元の資料、3ページ目をごらんください。背景と書かれている1-1の事業コンセプトというところです。

まず、現在、我々、がんセンターですのでがんの治療を行っておりますけれども、これまで肺がんとか胃がんとか大腸がんという疾患単位で治療が開発されてきたのですが、現在、ゲノムの情報に基づいて、そのがんの原因となるドライバー遺伝子というのが次々に見つかってきて、それをもとに患者さんの個人プロフィールに応じた治療を行うPrecision Medicineというものが提唱されて、米国もオバマ大統領が2015年1月にPrecision Medicine Initiativeを宣言したりという形で、今そういう遺伝子異常に基づいた治療開発とか、あと疾患概念の再構築というのが行われています。ただ、それがどういう結果を生むかという、例えば肺がんの患者さんに対して治療を行えばよかったですけれども、例えば肺がんの中のある遺伝子異常を持った患者さんということに対して治療の開発をしていかなければならないといったことになって、がんはもともと糖尿病とかに比べれば希少な疾患なのですけれども、さらに非常に希少なフラクションに対して治療開発を行っていかなければならない。これまで治療薬の開発というのは、例えば数百人の患者さんを集めてランダム化比較試験でその結果どうかとか、そういう形で進めていたのですけれども、例えば日本初で治療開発がされたALK肺がんは、肺がんの中の1%とか2%、そのぐらいしか患者さんがいらっしやらない。そういうところに対してランダム化比較試験、実際はグローバルでやっているのですけれども、なかなかそれを進めていくのは難しい。今、治療開発のコンセプトを少し変えていかなければならないのではないかと我々は考えています。

その次の○のところ、Single patient accessの必要性というところなのですけれども、我々の病院も日本全国規模で百何十施設が集まって肺がんとか大腸がんに関して全部遺伝子異

常は何があるかと調べて、それに対してどうやって治療開発をしていこうかというプロジェクトを日本で先駆けて行っています。スクラムジャパンというものですけれども、それで今どんどんALK肺がんとかROS1肺がんとか、そういう特定の遺伝子に基づいたものが発見されています。それに対して、我々はどうしようかと考えたときに、ある程度患者さんがいるものに関してはこれまでのスキームでやっていくのですけれども、やはりすごく希少なものに関しては、これが新しく見つかったものに関しては、やはり患者さん一人一人の遺伝子プロファイルとか、そういったものに基づいて、まずは1回未承認薬とか開発の薬を使ってみて、すごく効果があれば、その後に開発を続けていくといった形の治療開発戦略を立てていかなければならない。また、それが患者さんに対して治療機会を提供することにもなるといった形と考えています。

それに関しては、また米国で申しわけないのですけれども、Single patient access制度という患者さん一人一人のプロファイルに基づいて簡単な、もちろん当局に対しては届け出をするのですけれども、普通の企業治験とか医師主導治験よりはもっと簡単な形で届け出をして、それが認められれば患者さん単位でそれを使って行って治療効果を見ていくといったことができるような制度があります。これを我々としてはさせていただきたいといったことで今回の提案となっています。

現在、日本でこのような制度は患者申出療養とか倫理に基づいた提供する治験という形で整備はされているのですけれども、それらの制度はまだ既に効果がある程度わかったことに関して先行して使いましょう。海外でもエビデンスが出ても先行して使えるようにしましょうというのが趣旨のテーマですので、やはりこのようなまだわかっていない患者さんで本当はサイエンス的にこれが効くはずだという患者さんに対して使える制度ではないので、今回、我々の提案に関しては既存のものでできないものだと考えております。

これは基礎コンセプトなのですけれども、これを元に我々は開発を進めていくということもしますし、患者さんに対して提供していく。ただ、すごく希少な患者さんに対する提供ですので、やはり日本国内だけではなくて、特にアジアを中心として患者さんを集める、あとは医療ツーリズムを提供するといった形でやっていけたらと考えております。それに関して我々としては、臨床研究とか治験に関して非常に体制が整っているということが必要で、特に我々は今、今年度から医療法上の臨床研究中核病院というのが4病院選ばれていますけれども、それが我々も既にそれに選ばれていますので、そういったアジアでもナンバーワンの治療開発の実績を持っていますので、そういったことができるのではないかと考えています。そういう能力もあるといった形で考える。

具体的な提案に時間もないので進ませていただいて、お手元の資料、16ページのところをごらんいただければと思います。書いているスキームのSingle patient access等の国内外患者の受け入れといったことで、先ほど言ったとおり、右側の適応外と未承認薬を使ってSingle patient accessをする。それと、それに関して国内外から患者さんがアクセスできるようにするという二本立てで規制緩和と提案ということでさせていただいています。

下には、具体的なプロジェクトということで、まず一番重要なのが16ページの①のSingle patient access。これに関しては、医薬品医療機器法と省令GCPのところで治験届とか治験の実施の特に品質管理とかは余り難しいことはできない、患者さん単位でやるのは意味がないので、そこら辺の規制緩和と簡単に治験ができるような形でするといった形を提案させていただきます。

細かくは17ページの上のほうに書かせていただいていますけれども、簡単に言うと、治験届が簡単にスムーズにできるといった形を考えるとという形で考えています。あとはそれに関して国内外の患者さんの受け入れ態勢ということで、我々は国立なので例えば少し民間の旅行会社とか、あと患者さんを海外からは宿泊施設がどうしても必要ですので、そこら辺のことが簡単にできるとか、あと患者さんが実際に来るまでに、来ていただいて、やはりこれは対象ではありませんでしたというわけにはいきませんので、遠隔治療で遠隔のところからフォローアップするとか、スクリーニングをするとかということができるよう体制として医療法上のところが規制緩和が必要ではないかということを考えております。

そこら辺が17ページの下から18ページのところで、フォローアップとかスクリーニングといったところで遠隔治療とか患者の受け入れといったところを提案させていただいて、最後に、そういったことができれば、そこからまた開発を進めていくことが重要になりますので、きょう来られている三井の方の方とか、柏市のところが一体となってオープンイノベーションの拠点という形でそれを拠点としてそこから日本発の薬を世界に開発していこうといった形をできればと考えております。

一応簡単ですけれども、概要は以上になります。

○原委員 ありがとうございます。

では、阿曾沼先生、どうぞ。

○阿曾沼委員 前回もありがとうございました。前回の御提案から一点突破の御提案になり、論点が明確になったのですが、制度的にはSingle patient accessとかNamed Patient的な制度等と同様なスキームを想定されて、臨床研究である一定の成果があるものについては早期に治験に入れて、早期に承認をされて、そして上市出来るというプロセスを想定されているのですか。

○佐藤研究企画部長 そうですね。もちろん開発につなげることが重要だと思うのですが、既にわかっているものに関して早目に使うというのが今の制度設計されているものでできると思うのですが、例えばすごく貴重な遺伝子変異が見つかったときに、理論的にはこの開発、この未承認薬が効くはずだといったときに、それはほかに治療法がない場合は患者さんにそれを認めてあげて、もしそれがすごく効くようであれば、例えばこの中に例に出しているのですけれども、我々の院長の西田が専門にしてGISTというのに関しては、ある薬が最初にアメリカでグリベックというお薬が投与されてすごく効いたのです。それをもとに全世界で開発がされて、それに対して最終的にはそれが認められたといった形で、貴重な患者さんでも全世界合わせるとすごく患者さんが多くなりますので、そうい

ったきっかけをつくることができれば世界開発につながって、非常に経済効果も上がっていく。

○阿曾沼委員 出来るだけ早期にファースト・イン・ヒューマンをやってしましようということですね。そこからデータを積み上げて、早期に承認して、日本発として全世界に広げていきたいというご希望ですね。

○佐藤研究企画部長 そうですね。特に希少がんは今、承認プロセスに関してはアクセスがある程度ファーストトラックに乗せるようなところがだんだん整備されてきているので、そこら辺と合わせて使っていければ、こういった制度で見つかったものに関して早く承認して、世の中に早く出す。患者さんによって使えるようにしていくというのがスムーズにできるようになるとは考えています。

○阿曾沼委員 先生がごらんになって、現在先駆け戦略パッケージなど、早期に承認していくトラックがありますね。またオーファンなども新たなトラックが出来ていますが、それとは別に全く新しいトラックをつくるべきという御提案なのか、そのあたりはどの様に考えてらっしゃいますか。

○佐藤研究企画部長 設計上は、一番最初の取っかかりのところがこれになるのだと思います。今、多分、患者さん1人の遺伝子医療に対して未承認薬を使うという制度自体が存在していないので、製薬会社もこういう制度もないとなかなか提供もしてくれないですし、使う制度がない。それが1回、例えば数人でも全員効くとか、~~物~~ものすごい結果が出れば、その後はファーストトラックとかで、今、そういういろいろな先駆けパッケージとかそういうもの。

○阿曾沼委員 その前段階としてこういう仕組みをつくるということですね。

○佐藤研究企画部長 そうですね。それで当たったらそこに乗せて早期承認に持っていくというところですね。なので、今は多分出口のところはあるのですけれども、入り口のところはなかなか難しいところがあるので、そこがこれでより促進できるのではないかと考えています。

○阿曾沼委員 もっと具体的に言うと、PMDAの中にこういう部隊をつくって欲しいとお考えなのか、それとも国立がんセンター等のナショナルセンターとしての機能とか臨床研究中核病院という機能などを活用する上で、具体的な御希望、イメージをもう少し聞かせてください。全く新しいトラックをつくってほしいとか。

○佐藤研究企画部長 基本的にはPMDAが受け取る治験届の中に新たなこういうSingle patient access用の治験届のトラックをつくっていただければと考えています。それはなぜかという、将来的には規制にのっとったデータをつくっていかないと承認とか適用拡大とか、患者さんに早く届けるときにはつながりにくい、研究者だけでやってしまうとそうなるので、できればそれはアメリカのFDAももちろんFDAが受けていってやるような形になっているので、PMDAの中でそういったところを受け取るような仕組みをつくっていただければと考えています。

- 阿曾沼委員 分かりました。ありがとうございました。
- 原委員 よろしいですか。では、先生。
- 鈴木委員 大丈夫です。
- 原委員 事務局で何かよろしいですか。
- 藤原次長 ございません。
- 原委員 では、大変ありがとうございました。