

柏の葉ヘルス・イノベーション拠点構想

～希少疾患でもあきらめない医療からグローバル開発へつなぐ新戦略拠点～



平成 27 年 11 月



国立研究開発法人国立がん研究センター
東病院



柏市



三井不動産

目次

| | |
|--|----|
| 1. 背景..... | 3 |
| 1-1.事業コンセプト(概要)..... | 3 |
| 1-2.Precision Medicine Initiative の概要..... | 4 |
| 1-3.現在の諸外国のコンパッションネートユース制度と我が国の施策など..... | 5 |
| 1-4. 患者単位での画期的新薬へのアクセス(single patients access)..... | 8 |
| 1-5.「一人の患者さんに対する治療が革新的な新治療の開発へ」..... | 9 |
| 1-6.Single patient access 制度に必要な Capability..... | 10 |
| 2. 国立がん研究センター(柏地区)の概要..... | 11 |
| 3. 柏の葉キャンパス地区の概要..... | 13 |
| 3-1.地区の立地・概要 ～柏の葉スマートシティ～..... | 13 |
| 3-2.産学連携体制 ～企業誘致～..... | 14 |
| 4.提案プロジェクトと必要となる規制緩和..... | 16 |
| 4-1.Single patient access 制度と国内外からの患者の受入体制の構築..... | 16 |
| 4-2. Single patient access からグローバル開発へ「Open innovation 拠点の実現」.... | 19 |

1. 背景

1-1. 事業コンセプト(概要)

○Precision Medicine の進展と希少疾患の増加

疾患単位から、個々の患者さんのゲノム情報・遺伝子変異などを元に、患者個人のプロフィールに応じた治療を行う Precision Medicine が提唱され、オバマ大統領は 2015 年 1 月の一般教書演説で Precision Medicine initiative を宣言し、これに 2.15 億ドルの資金を投じる。(1-2.参照)

しかし、Precision Medicine が進むと共に従来の疾患単位がさらに細分化され、希少疾患化する事を意味し、疾患単位で数百例のランダム化比較試験を元に適応症を決定する現在の日本の制度では、希少疾患に対してはドラックラグが解消されず治療開発が困難な現状が多く疾患で同様に発生することを意味している。

○Single patient access の必要性

我が国でも国立がん研究センター東病院を中心とする All Japan のゲノムスクリーニングネットワーク(SCRUM JAPAN)が構築され、遺伝子変異に基づいた希少がんが新たに発見され続けているなど、製薬会社および医療者側も希少疾患(化した元非希少疾患)に対しての治療開発戦略の見直しが急務となっている。

現在は、遺伝子変異単位を対象集団と見なした治験/医師主導治験が行われているが、さらに希少な集団ではそれも難しく有効な治療開発戦略が無く、治療方法の無い状況にそれらの患者さんは置かれることになる。これらに対しては、患者一人単位のプロファイルに基づき未承認薬などを試験的に使用し、その結果を基にその後の治療開発につなげる仕組みが必要となる。また、これは治療法のない希少疾患の患者さんに対して治療機会を提供するという倫理的な意義もある。

米国などでは通常の治験届け(IND)とは別に Single patient access の IND が整備されており、我が国で制度導入が遅れているコンパッションエッセ制度の一つとして位置づけられている。(1-3.1-4 参照)

希少疾患であっても 1 名の患者さんでの single patient access で有効性が示唆され、その後の治療開発につなげることが可能であり、single patient access 制度を導入することにより、現在の希少疾患の患者さんへの治療開発と治療機会の提供と共に、今後主流となる precision medicine に備える治療開発スキームを構築することが可能となり、わが国発の革新的医療技術をグローバル展開する強力なツールとなることが期待できる。(1-5.参照)

○Single patient access を導入するために必要な事

Single patient access は有効性・安全性の情報が少ない未承認・適応外薬を、これまで投与したことの無い希少疾患の患者さんに、遺伝子プロファイルなどを元に投与することになる。そのため、未承認薬の安全性・有効性が担保する体制・経験が整っていること、遺伝子変異・プロファイルの解析が可能な基礎/トランスレーショナルリサーチ(TR)の体制が整備されている事が重要となる。また、希少疾患は当然のことそのエリアにはごく少数の患者さんしか存在しないため、治療圏は地域・国を超えて対応することが求められる。(1-6.参照)

○特区の提案

アジア No1.の治療開発・治験の経験・実施体制、全国規模のゲノムスクリーニングネットワークなど基礎/TRの基盤を保有する国立がん研究センター東病院(2.参照)を中心に、成田・羽田空港へのアクセスも良く、近未来都市のモデル地域である柏の葉キャンパス地区(3.参照)に、Single patient access のモデル事業医療ツーリズム支援体制の構築(4-1.参照)、医薬品・医療機器産業の誘致(4-2.参照)を行い、そのために必要となる規制緩和を提案する。

1-2.Precision Medicine Initiative の概要

| | | |
|---|--|-----|
| Precision Medicine Initiative (概要) 2015年米国一般教書演説においてオバマ大統領が発表 | | 資料4 |
| ■ precision medicineとは | | |
| これまでの治療法の多くは「平均的な患者 (average patient)」向けにデザイン | | |
| ↓ | | |
| 遺伝子、環境、ライフスタイルに関する個人ごとの違いを考慮した予防や治療法を確立する | | |
| ■ 目的 | | |
| <ul style="list-style-type: none">● より良いがんの治療法の開発・提供● 100万人またはそれ以上のボランティアからなる全米研究コホートの創設: 参加者はカルテ情報、遺伝子情報、代謝物質情報、体内の微生物情報、生活環境・生活習慣データ、行動データを含む様々な情報の集積に貢献。プライバシーを強く保護。既存のコホート研究の連携も行うとともに、患者が積極的に参加するようなイノベティブな研究モデルを作る。コホートには優れた研究者が広くアクセスできるようにする。● precision medicineに伴うプライバシー問題への対応● 規制の近代化: 現在の規制の見直し。次世代シーケンサ技術の新しい評価法、高精度なデータベースの構築、参加者保護体制の構築等● 官民連携: ボランティアからなる100万規模の研究コホートの構築やがん遺伝学研究に必要なインフラ整備のために、既存の研究コホート、患者団体、および民間部門との強力なパートナーシップを築く。運営には、医療研究機関、研究者、財団、プライバシーの専門家、医療倫理学者、および企業人材を招集。 | | |
| | | 1 |

首相官邸 健康・医療戦略推進本部資料より

1-3.現在の諸外国のコンパッション・ユース制度と我が国の施策など

1) 諸外国でのコンパッション・ユース制度の概要

コンパッション・ユース(人道的使用)とは、基本的に生命に関わる疾患や身体障害を引き起こすおそれのある疾患を有する患者の救済を目的として、代替療法がない等の限定的状況において未承認薬の使用を認める制度である。

アメリカ、ヨーロッパ(EU)などではすでに導入されている(米国及び欧州のコンパッション・ユース制度の概略を図 1.2.に示す。)が、日本では明確な基準がないため、これまでに様々な検討会等にて「導入のための検討を進めることが必要」との意見が出されていた。

図 1.米国におけるコンパッション・ユース制度の概略

(参考) 米国における制度(「コンパッション・ユース」)について

米国では、治験薬 (Investigational New Drug, IND) の使用に当たり、薬事法規(Federal Food, Drug and Cosmetic Act)に基づき、FDAへ届け出ることとされている。この届出を行っていない未承認薬は、原則として、流通が禁止されている。ただし、下記のとおり、一定の条件を満たした場合には、特例的な手続きによって、未承認薬の流通を認める制度を設けている。その取扱いについては、FDAの規制が厳しいとの指摘がなされており、その見直しを検討されているところ。

| 項目 | ① 治験薬の例外的提供 Compassionate exemption | ② 緊急患者IND An emergency Investigational New Drug (Emergency IND) | ③ 治療IND Treatment Investigational New Drug (Treatment IND) |
|------|--|---|--|
| 概要 | 既に届出済みの治験薬について、本来のプロトコルの対象外患者に対して使用する必要がある場合の制度。 | 医師が自らの患者の治療のために未承認薬を使用する必要がある場合の制度。 | 重篤な疾患で代替治療法がない等の要件を満たす患者集団の治療の目的で、治験薬を使用する必要がある場合の制度。 |
| 適用条件 | (対象となる未承認薬) ① 既に届出済みの治験薬であること。 (手続き等) ② 治験薬を例外的に投与する理由と個別患者の病歴等を添付して、医師が事前に要請書をFDAへ提出することが必要。なお、当該治験薬の製造業者の同意が必要。 | (対象となる未承認薬) ① 代替治療法がなく、未承認薬について、その使用のリスクが疾患のリスクを上回らないと医師が判断したものであること。 ② 有効性・安全性のエビデンスがあって、治験実施の妨げにならないこと。 (手続き等) ③ 医師が事前にFDAへ届出が必要。なお、医師は予め当該未承認薬製造業者の同意を得ていることが必要。 | (対象となる未承認薬) ① 重篤な疾患又は生命の逼迫した状態の治療等を目的すること。 ② 代替治療法がないこと。 ③ 重篤な疾患に用いる場合については、有効性・安全性のエビデンスがあること。 ④ 生命に逼迫した状態に用いる場合については、適切な科学的根拠があり、不合理なリスクがないとする適切な論拠があること。 ⑤ 治験中であるか又は承認のため全ての治験が終了していること。 ⑥ 治験実施の妨げにならないこと。 (手続き等) ⑦ 製造業者がFDAへ申請し許可を受けることが必要。なお、製造業者が当該治験薬の承認を意図していることが前提。 |

(第7回 有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会 資料より)

図 2. 欧州におけるコンパシオネート・ユース制度の概略

(参考) 欧州における制度(「コンパシオネート・ユース」)について

基本的な制度

- EU(欧州医薬品庁: EMEA)がコンパシオネート・ユース(CU)を認める場合
本来、未承認薬の種類がEMEAが承認すべき医薬品の範囲^①である場合、EU加盟国からの申請を受け、EMEAがCUとしての適否を判断し、勧告。加盟国はEMEAの勧告に従う。

※EMEAが承認する医薬品の範囲

 - 遺伝子DNA技術やハイブリッド等を利用したハイパブリック^②-由来製品
 - AIDS、がん、神経変性疾患、難病の医薬品
 - 希少疾病用医薬品 など
- 加盟国が個別にCUを認める場合
上記1. 以外の場合、加盟各国が各国ごとの制度によりCUを認める。(なお、上記1. 以外の場合であっても、加盟国はEMEAにCUと認めることについて意見を求めることができる。)

EUのCU制度

EUにおけるCU制度の基本的考え方

- 基本的には生命に関わるような患者救済を目的としており、「他に適切な代替治療法/医薬品がなく、重症、生命に関わるまたは、身体障害を引き起こすおそれのある疾患を有する患者」を対象としている。
- 対象となる未承認薬としては、
 - EU加盟国ではどの国も未承認だが、EU以外の国・地域で承認されている医薬品
 - EU加盟国のどこかで承認されているが実際に入手が困難な医薬品
 - EU加盟国から搬送した医薬品
 - 治療薬(治療薬以外の対象としては、制度上EU域内に限らず他国でも可。)

(GUIDELINE ON COMPASSIONATE USE OF EDICINAL PRODUCTS, PURSUANT TO ARTICLE 83 OF REGULATION(EC) No 726/2004)

加盟各国の制度

(例) 仏国の制度

- EUの制度同様「他に適切な代替治療法/医薬品がなく、重症、生命に関わるまたは、身体障害を引き起こすおそれのある疾患を有する患者」を対象としている。
- 医師の責任下で未承認薬の輸入・使用等が行われる「Nominative System」と製薬企業が未承認薬を提供する「So-Called Cohort System」が存在。

| 種別 | Nominative System | So-Called Cohort System |
|-------|---|---|
| 概要 | 処方する医師の責任のもと、特定の患者の治療目的で未承認薬の輸入・使用等認める。 | 特定の患者群への治療目的で、承認申請を前提とした治療薬を製薬企業が特定医師に提供することを認める。 |
| 申請方法 | 処方する医師が、所属する医療機関の薬剤部門を通じて仏国政府へ申請。 | 治療薬を取り扱う製薬企業を通じて仏国政府へ申請。 |
| 副作用報告 | 副作用報告に関する規制については、CUにより認められた未承認薬に対しても適用。 | |

(参考)
欧州25ヶ国について、Nominative Systemについては、全ての国で何らかの制度が存在する一方、So-Called Cohort Systemについては仏国など10ヶ国にみられる。(引用: 橋と化学療法 お村直幸 著)

(第7回 有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会 資料より)

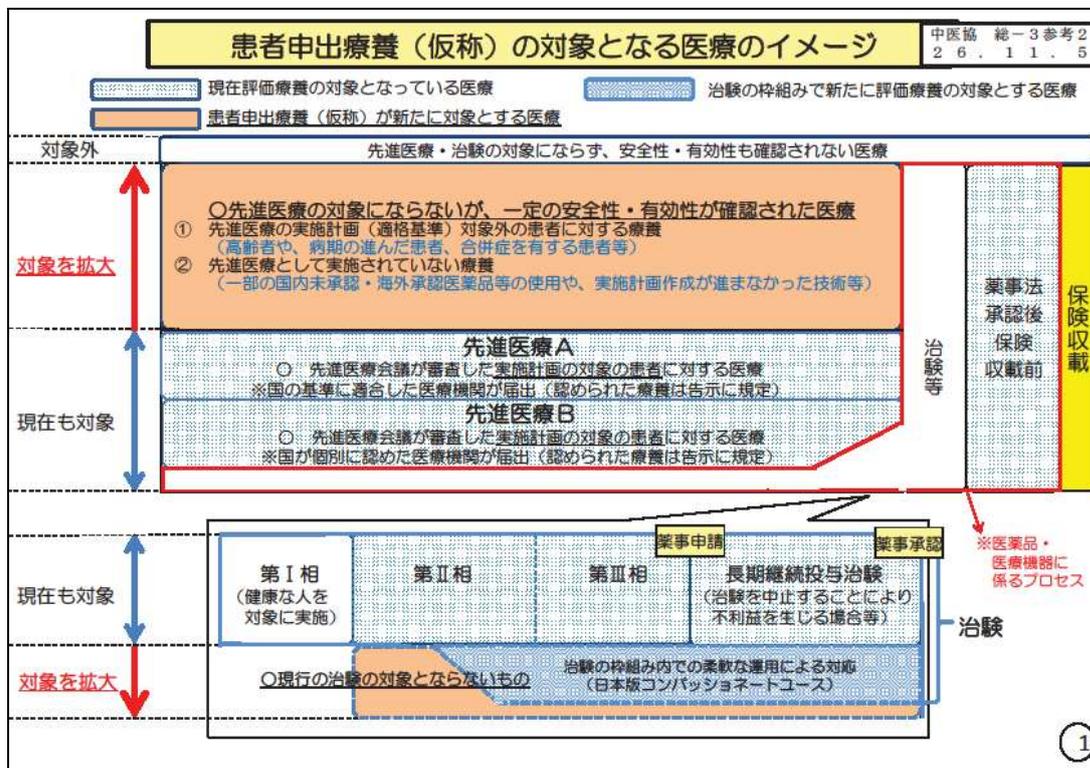
2)我が国での施策

平成 25 年度より「平成 25 年度医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬のアクセス充実対策等事業」として、コンパシオネット・ユース制度の一つであるアクセス制度での医師主導治験のパイロット事業を国立がん研究センターが柏市柏の葉地区に位置する東病院を中心に実施された。

平成 26 年度は以下(図 3.)に示すように患者申し出療養および日本版コンパシオネットユース制度(人道的見地からの治験)に関する制度設計の検討が開始されており、平成 28 年度には両制度の設計及び施行が予定されている。

(「人道的見地からの治験」については 11/11 までパブコメ募集中 <http://search.e-gov.go.jp/servlet/Public?CLASSNAME=PCMMSTDETAIL&id=495150189&Mode=0>)

図 3.患者申し出療養(仮称)および日本版コンパシオネットユース制度の概念図



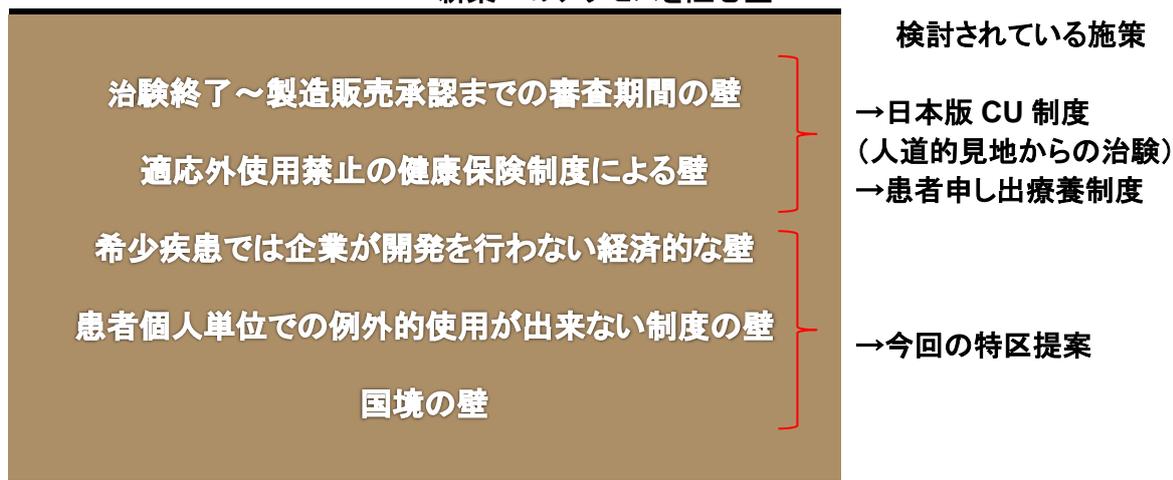
平成 26 年 10 月 15 日 中医協資料

1-4. 患者単位での画期的新薬へのアクセス(single patients access)

「患者申し出療養」、「日本版コンパッションエートユース制度(人道的見地からの治験)」は、1) 基本的には適応外使用もしくは治験においてある程度効果が見込まれる(海外で既に承認されている or 承認間近の)新薬を対象とし、2) 疾患単位での使用(個別の患者単位ではない)を目的としている。

下記に、新薬へのアクセスを阻んでいる壁と、それに対する我が国の施策について示す。

新薬へのアクセスを阻む壁



遺伝性疾患など患者数が極端に少なく、且つエビデンスが十分に蓄積されていない希少疾患に対してのコンパッションエートユースは、1) 基礎研究やごく少数の臨床経験から効果が期待される開発早期段階の未承認薬である場合や、2) 疾患単位ではなく患者個人単位での使用になる場合も多く、完全自由診療下での使用を除いて、現行の我が国の制度下ではカバーがされていない。

未承認薬は安全性・有効性が完全に確立されている訳ではなく、そのために規制当局との副作用情報の共有が極めて重要であり、例え倫理的な供給であっても十分に管理された状況下において使用されるべきである。しかし逆に、承認申請データを目的とした治験等でのデータの質の保証についてはその煩雑さが実施可能性を阻害するために簡略化する必要がある。その観点から規制当局の管理下から外れる完全自由診療や、製造販売承認申請を目的とする既存の治験の制度ではカバーする事が難しい。

それに対して、米国では Individual patient IND 制度(single patient access と呼ばれる) (<http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/HowDrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/InvestigationalNewDrugINDApplication/ucm107434.htm>) が整備されており、医師が規制当局への届け出ることによって、迅速に審査された上で、規制当局の管理下にて未承認薬などが使用できる制度が整備されている。

1-5.「一人の患者さんに対する治療が革新的な新治療の開発へ」

一人の患者さんへの未承認薬等を用いた治療(single patient access)が新薬の新たな治療開発につながる可能性がある。100万人当たりの年間発症数が11~20名という希少ながんである消化管間質性腫瘍(gastrointestinal stromal tumor; GIST)は、その特徴的な遺伝子変異(c-kit)に着目した研究者が、1名のGIST患者に同じ遺伝子異常を標的にした他のがんで開発中であった新薬をCU的に使用し、それが著効したことがきっかけでグローバルでの治療開発につながった。手術以外に有効な治療法がなかったこの疾患に対し、現在ではこの抗がん剤を含む同様の作用機序をもつ3種類の薬が使用可能とまでになっている。

また、希少がんといえど、先進地域(北米・欧州・日本・オーストラリア/ニュージーランド)の人口12億人での年間発症数は13,200~24,000人/年となり、その内10,000人/年が薬を投与され、薬剤費が500万円/年とすると、売上げベースで年間500億円以上の経済効果を生むこととなる。

このように、一人の患者さんへの新薬の投与が、治療法のない難病・希少疾患の患者さんの希望となるだけでなく、日本発の新たな治療開発につながり、それが少なからぬ経済効果を生むことが期待できる。

1-6.Single patient access 制度に必要な Capability

未承認薬への安全なアクセスを確保するためには、以下が必要となる。

- 1.新薬開発段階(早期治験)からその未承認薬を使用している医療技術の開発拠点である。
- 2.安全に未承認薬を患者に提供する能力がある。
- 3.遠方からの患者が安心して治療に専念できる地域の社会的インフラが整っている。

柏の葉地区はつくばエクスプレス(TX)柏の葉キャンパス駅を中心に、国立がん研究センター東病院を中心とする4つの医療機関、東京大学・千葉大学などの研究機関、産業を育成するための東葛テクノプラザや東大柏ベンチャープラザといったインキュベーション施設が立地している。

現在も千葉県が土地区画整理事業による計画的な市街地整備を施行中で、三井不動産が「柏の葉スマートシティ」として複合開発を行っており、新たに研究開発機能・業務機能の誘致を促進する産業創出地区「イノベーションキャンパス」を位置づける(3-1.3-2.参照)など、公民学が連携して近未来型のモデル都市づくりを行っており、上記の1-3.のインフラのすべてを備えている。

柏の葉地区のCapability

・医療技術開発の拠点としての機能  Early Phase Oncology Research & Clinical Trial Center 早期・探索臨床研究センター

中小機構

- ・アカデミア発の医薬品・医療機器の豊富な開発実績
- ・全国規模の産学連携全国ゲノムスクリーニングネットワーク(SRCUM-JAPAN)の構築
- ・新規がん免疫療法開発共同研究ネットワークの構築(再生医療技術を用いたがん免疫療法開発等)
- ・次世代医療技術開発センター(NEXT)構想
- ・東大柏ベンチャープラザ(中小機構)、東葛テクノプラザでのバイオベンチャー育成
- ・区域内での、東京大学、東京理科大学、千葉大学との連携

・未承認薬を安全に提供する能力  独立行政法人 国立がん研究センター

- ・アジアNo.1の早期治験、First in Human治験の実績
- ・全国で唯一施設しかない医療法上の臨床研究中核病院に選定済み(他は東北大、阪大、国がん中央)
- ・国内でもNo.1の医師主導治験の実施実績
- ・日本版コンパニオンネットワーク制度のモデル事業を実施
- ・近隣の医療機関との連携体制の構築

・患者が治療に専念できる地域インフラ  KASHIWA-NO-HA SMART CITY

- ・つくばエクスプレスでの首都圏(東京まで43分)のアクセス
- ・柏の葉スマートシティでの
 - 健康への取組「健康長寿都市」
 - 開発環境を整備する新産業への取組「新産業創造都市」
 - 医療情報連携を円滑にするIT技術の実証実験
- ・柏の葉駅前での三井不動産との宿泊施設の連携体制

2. 国立がん研究センター(柏地区)の概要

国立がん研究センターは、築地地区・柏地区の二つのキャンパスを有する。

柏地区には「東病院」(400 床)、シーズ開発 / トランスレーショナルリサーチ機能を有する「先端医療開発センター」が存在し、Fist in human の企業治験、早期の臨床開発についてはアジアトップの実績と能力を有しており、新薬・新医療機器の早期開発に特化した体制を構築している。

平成 27 年 10 月に高度な臨床研究を主導的な立場で実施する、医療法上の臨床研究中核病院 4 病院の 1 つとして選定された。(11 月現在、他には国立がん研究センター中央病院、大阪大学、東北大学が選定されている。)

柏キャンパスを中心として、全国規模のゲノムスクリーニングネットワーク、多施設での早期医師主導治験の支援体制を構築するなど、オールジャパンでの患者集積・治療開発を可能とするインフラを有しており、製薬企業等とのアライアンス・共同開発も数多く実施されている。

一方でサポーターケアセンター/緩和ケア病棟などを通じて地域医療との連携体制も構築されている。

東病院

425 床(うち25床 緩和ケア病棟)
医師85人、レジデント(チーフ・短期含)96人
看護師412人
2015年4月1日時点



特色

- 陽子線治療
 - 国内初、世界2番目の病院内設置の医療専用施設
- サポーターケアセンター
 - 診断初期からの治療と社会生活両立の支援
- 国立病院として初めて緩和ケア病棟
 - 患者と家族の身体的・心理的・社会的・スピリチュアルな支援
- 早期臨床開発
 - アジア有数の早期臨床開発治験とトランスレーショナルリサーチの実績
- 低侵襲治療
 - 内視鏡的粘膜下層剥離術、内視鏡手術



陽子線棟 サポーターケアセンター 緩和ケア病棟

先端医療開発センター

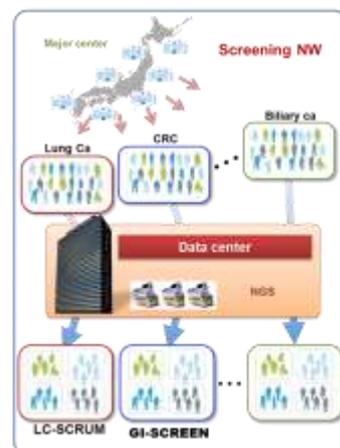


実施中の治験 As of March 31, 2015

| | 前臨床 | Phase I | Phase II | 備考 |
|-----------|-----|---------|----------|---|
| アカデミア発シース | 8 | 2 | 1 | 国がん、慶應、がん研、医薬基盤研など |
| FIH試験 | | 24 | | 医師主導 3、国内企業 14、外資企業 7 |
| 医師主導治験 | | 6 | 6 | 対象：未承認薬 その他Expand Access Program (EAP) 3試験 |

産学連携全国がんゲノムスクリーニングコンソーシアム： SCRUM-JAPAN

- 肺がんを対象としたLC-SCRUM-Japan (2013年～) と大腸がんを対象としたGI-SCREEN (2014年～) を統合
- 最先端のpan-cancer panel (OCP) を用いた新薬開発のためのゲノムスクリーニングを実施
- 国内外製薬企業12社との共同研究
 - 2015年 2月登録開始
 - 予定登録数：4,500例/2年



現在、2年後の竣工を目指し、外科・内視鏡の新医療機器開発と情報発信、教育研修機能を有する新世代医療技術開発センター(NEXT)を建設する計画が進んでいる。

3. 柏の葉キャンパス地区の概要

3-1. 地区の立地・概要 ～柏の葉スマートシティ～

柏の葉スマートシティの立地

- ・ 都心から25km。秋葉原 とつくば の中間地点
- ・ つくばエクスプレスで都心まで約30分
- ・ 成田空港、羽田空港まで、高速道路で約1時間でアクセス可能




柏の葉スマートシティ周辺の立地施設



東京大学 柏キャンパス

- ・主に科学系の大学院、研究所から構成
- ・3000名の研究者、学生が在籍
- ・大学院に、生命科学系コースも設置
- ・駅前キャンパスは、産学連携拠点。



国立がん研究センター東病院

- ・東病院、臨床開発センターで構成
- ・ベッド数425床、1000名/日外来患者
- ・厚労省「治験中核病院」。
- がん分野で唯一の「早期・探索的臨床試験拠点」
- ・現在、次世代医療機器開発センターを計画



千葉大学 柏の葉キャンパス

- ・環境健康フィールド科学センター、
- 予防医学センターなどで構成



筑波医科大学 野田キャンパス

- ・理工学部、薬学部、生命医科学
- 研究所などで構成



東北大学 ノブプラザ
東大柏ベンチャープラザ

- ・公的インキュベーション施設
- ・60のベンチャー企業が入居
- ・ナノキャリア等10年で、3件IPO

柏の葉スマートシティ 周辺立地施設



3-2.産学連携体制 ～企業誘致～

企業誘致ゾーン 「イノベーションキャンパス構想」

「ミクストユース」による複合プレミアム創出

- 職・住・遊(商)・学(研)の機能を融合した複合開発
- 昼夜人口バランスの最適化



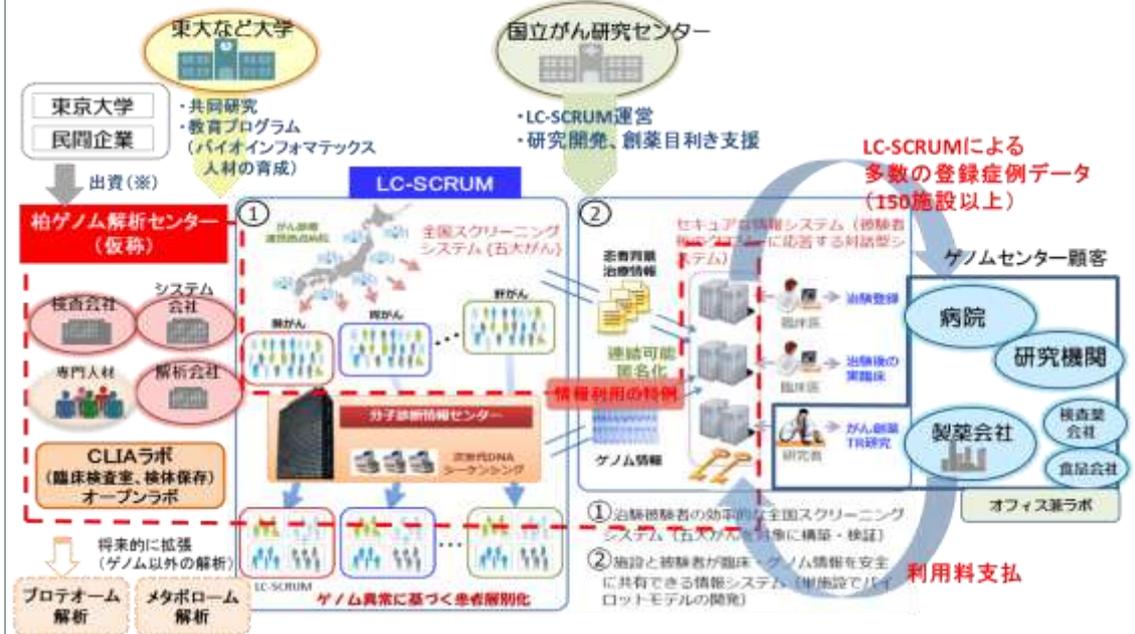
「水と緑」に溢れたアーバンデザイン

- 個々の建物だけでなく、道路や公園などパブリックスペースまで含めた環境整備



柏の葉における産学連携の検討事例

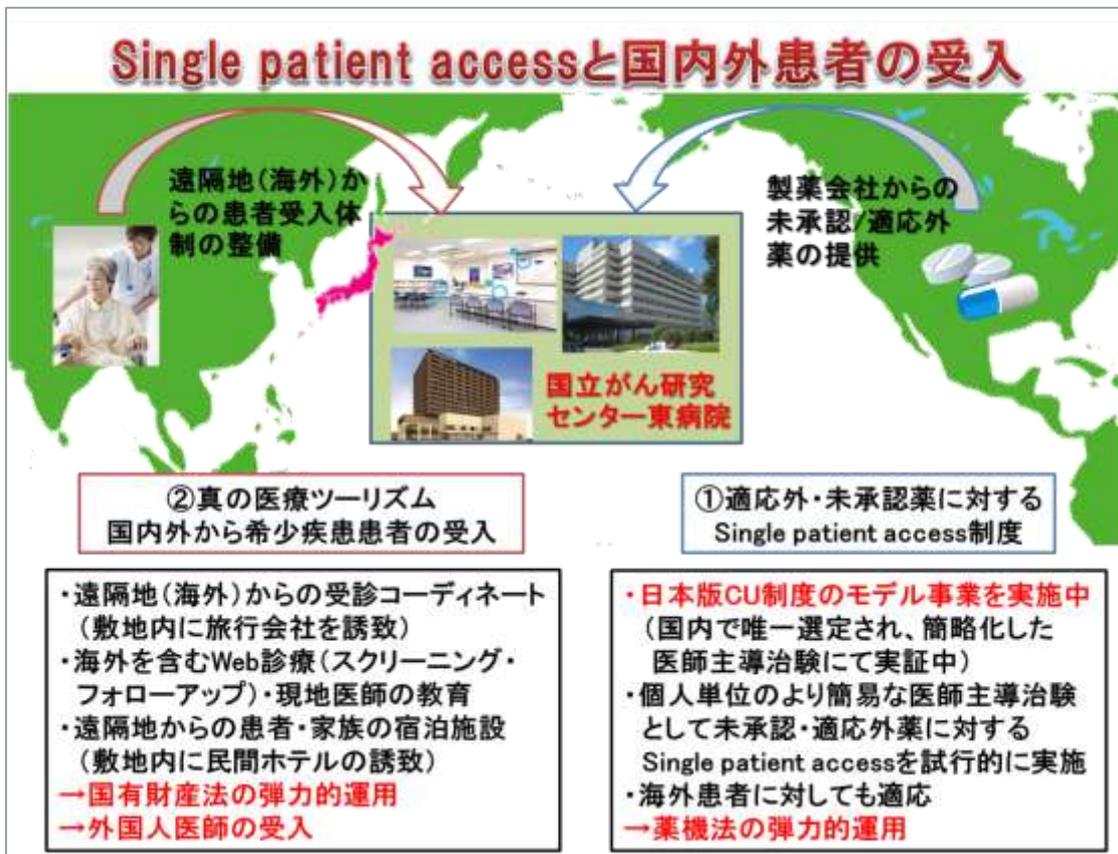
・がんセンター、東大、千葉大、行政などと、産学連携の取組みを検討中。
 (下記は「がん最適化創薬支援プラットフォーム(LC-SCRUM)」をベースにしたゲノム解析センター)



4.提案プロジェクトと必要となる規制緩和

4-1.Single patient access 制度と国内外からの患者の受入体制の構築

適応外・未承認薬について患者個人単位で使用を可能とする①Single patient access 制度のパイロット事業の実施と、それを受ける②国内外からの希少疾患・難病患者の受入体制（検診が中心であった旧来の医療ツーリズムではない新たな真の医療ツーリズム）の整備を行う。



これらの具体的な個別プロジェクトの概要を以下に示す。

| 検討中の個別プロジェクト | 関連法規 |
|---|----------------------|
| ①Single patient access | |
| 1) 希少疾患患者への未承認/適応外薬使用 ・von Recklinghausen病(神経線維腫症I型)に対するMEK阻害剤 ・治療法が無い希少がんに対するPD-1阻害剤 | 医薬品医療機器法 省令GCPなど |
| ②国内外の受入体制の構築(真の医療ツーリズムの実現) | |
| 2) 患者の受診コーディネート体制の構築 ・旅行会社カウンター敷地内設置(医療ツーリズムコーディネート) ・民間ホテル(国内外からの患者・家族の宿泊)との連携 | 独立行政法人通則法 個別法 |
| 3) 海外患者の受信後のフォローアップ体制の整備 ・外国人医師による先端医療の研修と現地でのフォローアップ | 医師法の特例 (規制緩和施行済み) |
| 4) 海外患者のWeb診療によるスクリーニング/フォローアップ ・ICTを利用した患者個人専用カルテの導入 | 医師法(第20条など) |

| 個別プロジェクト 1) | |
|-------------------|--|
| プロジェクト名: | (Single patient access 制度) |
| | 「希少疾患患者への未承認／適応外使用」 |
| プロジェクトの内容: | 標準的治療を実施したにも関わらず治癒しなかった希少疾患・難病患者を対象に、これまで得られている非臨床・臨床のエビデンスを元に患者単位での未承認薬・適応外薬の使用を行う。 (想定される使用例) <ul style="list-style-type: none"> ・von Recklinghausen 病(神経線維腫症 I 型)に対する MEK 阻害剤 ・治療法が無い希少がんに対する PD-1 阻害剤 |
| 必要となる規制緩和 | <ol style="list-style-type: none"> 1. 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律(医薬品医療機器法) 第 80 条の 2(治験の取り扱い)、および薬機法施行規則(269 条)などを改訂し、治験の届けに single patient access/コンパッションエートユース制度用の治験届けを規定する(30 日/15 日の短縮、治験届けの内容及び添付文書の簡略化など) ※患者の薬剤費の個人負担も可とする。 2. 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令(省令 GCP) 安全性以外のデータの品質管理/品質保証に関する条文の弾力的運用。 |
| 想定される実施主体: | 国立がん研究センター 東病院 |

| 個別プロジェクト 2) | |
|-------------------|--|
| プロジェクト名: | (真の医療ツーリズムの実現) |
| | 患者の受診コーディネート体制の構築 |
| プロジェクトの内容: | Single patient access を実施する、国立がん研究センター東病院の敷地内への、以下の民間企業のカウンター設置(旅行会社など)や、包括契約などによる連携(民間ホテルなど)を通じて、海外からの患者及び家族の宿泊、受診のためのチケット・ビザの手配など医療ツーリズムのコーディネート等を可能とする。 <ul style="list-style-type: none"> ・旅行会社店舗(医療ツーリズムのコーディネート) ・民間ホテル(国内外からの患者・家族の宿泊) |
| 必要となる規制緩和 | <ol style="list-style-type: none"> 1. 独立行政法人通則法、高度専門医療に関する研究等を行う独立行政法人に関する法律 上記施設を設置させることが第 3 条に規定する独立行政法人の目的を達成するための手段と解する(または第 13 条に規定する業務の範囲に含まれるものと解する) |
| 想定される実施主体: | 国立がん研究センター 東病院、三井不動産など |

| 個別プロジェクト3) | |
|-------------------|---|
| プロジェクト名: | (真の医療ツーリズムの実現) |
| | 「海外患者の受診後のフォローアップ体制の整備」 |
| プロジェクトの内容: | 海外患者が受診・治療を受けた後、現地の医師によるフォローアップが可能となるように、現地の外国人医師が患者と共に来日して、当該先端医療技術の習得・研修を可能とする。 |
| 必要となる規制緩和 | 1.医師法(第2条、第17条)、「外国医師等が行う臨床修練に係る医師法第17条等の特例等に関する法律」 【実施済みの上記の規制緩和を活用して実施】 |
| 想定される実施主体: | 国立がん研究センター 東病院 |

| 個別プロジェクト4) | |
|-------------------|---|
| プロジェクト名: | (真の医療ツーリズムの実現) |
| | 「海外患者の Web 診療によるスクリーニング/フォローアップ」 |
| プロジェクトの内容: | 海外患者が受診・治療を受けた後、Web 診療によりフォローアップを行う、また当該先端医療技術の対象となるかどうかの患者スクリーニングを Web 診療にて行う。 |
| 必要となる規制緩和 | 医師法(第20条)および「情報通信機器を用いた診療(いわゆる「遠隔診療」)について」(健政発1075号一部改正 H23/3/31)において、 <ul style="list-style-type: none"> ・海外在住患者の遠隔診療の許容 ・遠隔診療の対象に「在宅難病患者」「在宅がん患者」に加えて、当該先端医療技術の対象となるか?のスクリーニングの項目を加える。 |
| 想定される実施主体: | 国立がん研究センター 東病院 |

4-2. Single patient access からグローバル開発へ「Open innovation 拠点の実現」

Single patient access で発見された新規治療法をグローバル開発へと発展させるために、地域・公官学が連携した開発拠点となる Open innovation 拠点を「柏の葉地区」で実現する。

首都圏近郊に位置し、日本の未来都市を創造する smart city として整備が進む柏の葉地区が保有するインキュベーションインフラと、国立がん研究センターの新薬・新医療機器開発プラットフォームである先端医療開発センター(Exploratory Oncology Research & Clinical Trial Center)、新世代医療機器開発センター(NEXT)、千葉大学と千葉県、千葉県産業振興センター東葛テクノプラザとの4者一体の地域型医工連携プロジェクト(C-Square)を産業創出の「場」として活用し、地域の医療機器産業、製薬企業・バイオベンチャー、地方自治体、デベロッパーが公民学での医薬品・医療機器産業の創出の場を Open Innovation Hospital として活用する事で、最先端の医療現場から生み出された新医薬品・医療機器を利用した Single patient access の新規治療法のグローバル開発展開を実現する。

また、国立がん研究センターの強みの一つである、規制当局等との人事交流などによる連携も最大限活用する。

これらにより、従来の産(医療系企業)・官(規制当局・監督官庁等)・学(大学・研究期間)だけではなく、地方自治体・デベロッパーまでを含んだ近未来の地域型産業を創出し、革新的治療開発をインキュベーションする Open innovation の「場」が実現する。

Open Innovation 拠点の構築

柏の葉 Smart city のインフラおよび
国立がん研究センターを中心とした
・医薬品・医療機器開発プラットフォーム構築
医薬品開発→EPOC 医療機器開発→NEXT

規制当局
厚生労働省
MHLW
PMDA
AMED

KASHIWA-NO-HA
SMART CITY

・ベンチャー企業育成
H27年度中に3社を設立予定

・産学連携による地域・全国・全世界
からのシーズ開発受入

東病院 (千葉県柏市)

国立がん研究センター東病院は、「ここからつくろう!がん治療」の実現と、患者さんのための「あしたのがん医療」を創る研究・開発に取り組んでいます。

EPOC Exploratory Oncology Research & Clinical Trial Center
先端医療開発センター

NEXT 新世代医療技術開発センター

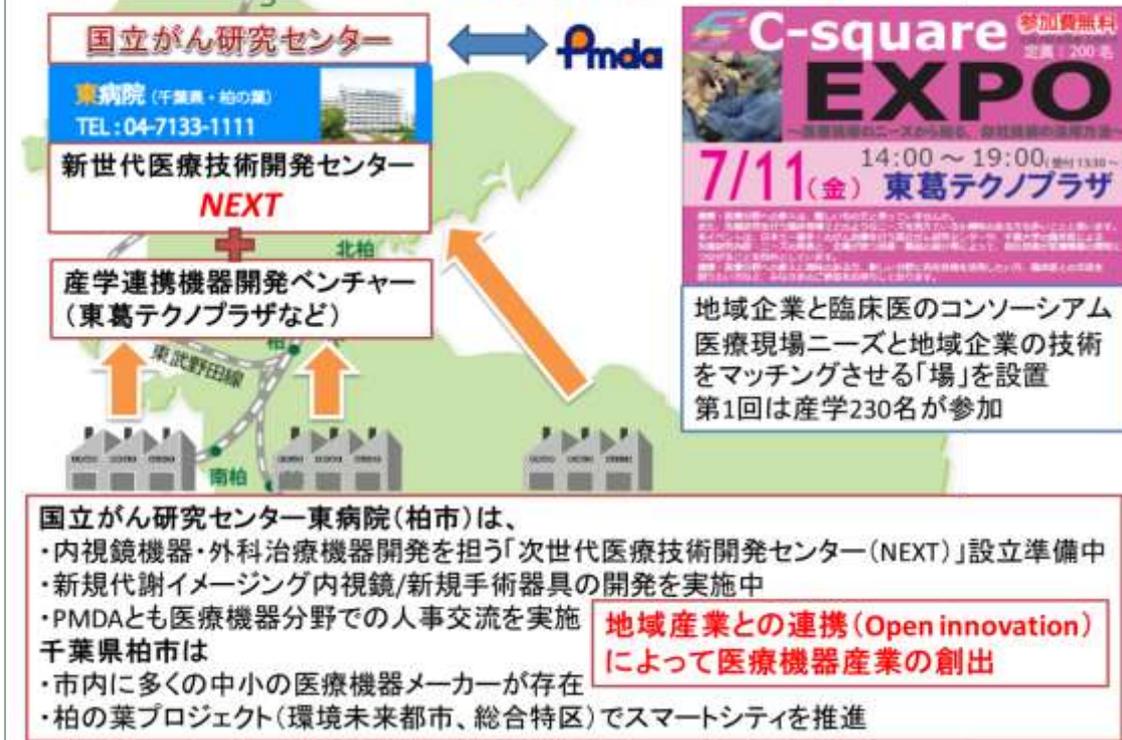
産学連携イベント

C-square EXPO
7/11(金) 14:00~19:00
東葛テクノプラザ

製薬企業・
医療機器メーカー

研究機関

Open innovationの具体例(医療機器)



これらの具体的な個別プロジェクトの概要を以下に示す。

| 個別プロジェクト5) | |
|-------------------|--|
| プロジェクト名: | 革新的新治療の開発 |
| | 「Open innovation」の「場」を構築する規制緩和 |
| プロジェクトの内容: | 国立がん研究センター東病院を中心とした Open innovation の体制を構築する。 <ul style="list-style-type: none"> ・全国のアカデミアシーズ/研究者/医師の受入と開発支援の実施 ・改良医療機器等でのイノベーションの保険点数への反映 ・柏の葉キャンパス駅付近へのベンチャー企業誘致 |
| 必要となる規制緩和 | 健康保険法および「医療機器の保険適用等に関する取り扱いについて」(医政発第 0215008号)などの弾力的運用によって以下を可能とし医療機器の改良を保険で評価できるようにする。 <ul style="list-style-type: none"> ・保険適用前に、評価療養(5号)で臨床試験(ICH-GCP レベル)を実施して、その後に 保険適用希望書を提出 ・保険適用後に臨床試験(ICH-GCP レベル)を実施し、診療報酬改定とは別タイミングで保険適用希望書を再提出 |
| 想定される実施主体: | 国立がん研究センター 東病院 など |