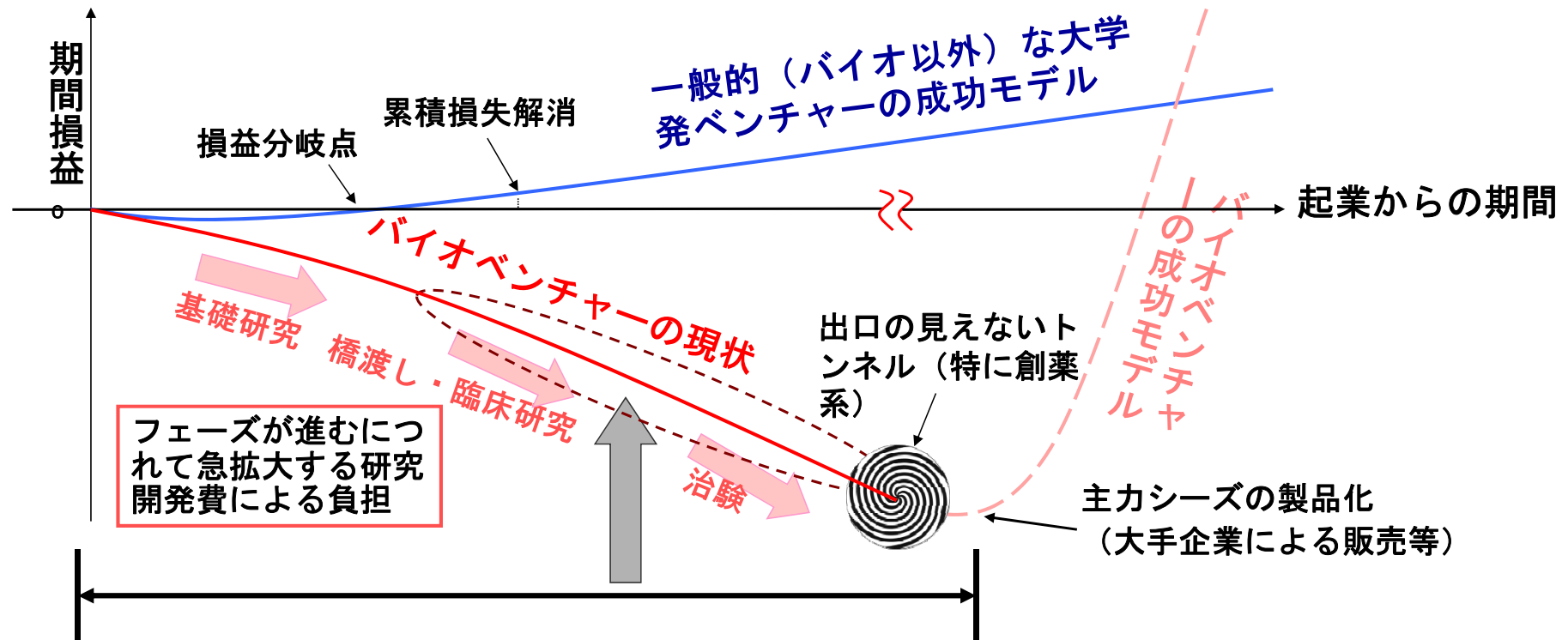


規制改革からの視点

メディカルアドバイザー
大阪大学大学院 医学系研究科 教授
内閣府 規制改革会議 委員
森下 竜一

日本のイノベーション促進のためには

- ①多額の資金を要する橋渡し以降の段階での研究開発費の支援
- ②製品化までの期間短縮が必要



①**資金面でのサポート**（大学ファンド、革新機構、IPO市場の活性化など）

②**製品化までの期間の短縮**（PMDA 改革&日本版NIH：AMED、期限条件付き承認制度など）

内閣府本府組織令：内閣総理大臣からの諮問会議（平成25年1月24日）

首相は有識者メンバーらに「規制改革は安倍内閣の一丁目一番地。民間の方々が活動する上で最も魅力的な環境を提供できる世界一の国を目指すため骨太の議論を行ってほしい」と要請した。2013年1月24日第一回規制改革会議

規制改革会議委員（◎：議長 ○：議長代理）

※五十音順・敬称略

安 念	潤 司
浦 野	光 人
大 崎	貞 和
○大 田	弘 子
◎岡	素 之
翁	百 合
金 丸	恭 文
佐久間	総一郎
佐々木	かをり
滝	久 雄
鶴	光太郎
長谷川	幸 洋
林	いづみ
松 村	敏 弘
森 下	竜 一

中央大学法科大学院教授
株式会社ニチレイ代表取締役会長
株式会社野村総合研究所主席研究員
政策研究大学院大学教授
住友商事株式会社相談役
株式会社日本総合研究所副理事長
フューチャーアーキテクト株式会社代表取締役会長兼社長
新日鐵住金株式会社代表取締役副社長
株式会社イー・ウーマン代表取締役社長
株式会社ぐるなび代表取締役会長
慶応義塾大学大学院商学研究科教授
東京新聞・中日新聞論説副主幹
永代総合法律事務所弁護士
東京大学社会科学研究所教授
大阪大学大学院医学系研究科教授



再生医療の実用化を促進する制度的枠組みのイメージ

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けるための総合的な施策の推進に関する法律【議員立法】

再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図る

自由診療 臨床研究

再生医療新法【2013年11月成立】

再生医療の安全性の確保等を図るために、再生医療の実施機関及び細胞培養加工施設についての基準を新たに設ける。

細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療のリスクに応じた三段階の医療機関の基準と承認等の手続、細胞培養加工施設の基準と届出等の手続を定める

製造販売

薬事法改正法【2013年11月成立】

再生医療の実用化に対応できるよう、再生医療製剤の特性を踏まえた承認・許可制度を新設するため、改正を行う。

再生医療製剤の特性に応じた早期承認制度の導入

患者への説明と同意、使用の対象者に関する事項の記録・保存など市販後の安全対策

迅速性

安全性

安全な再生医療を迅速かつ円滑に

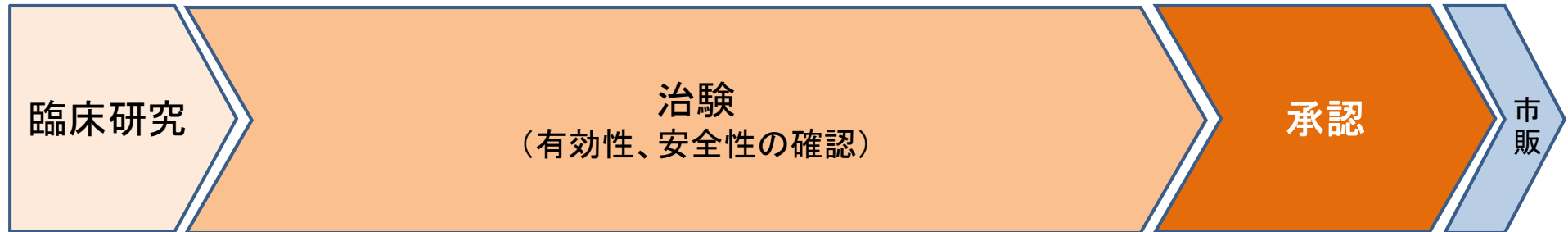
多くの製品を、より早く

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度（条件・期限付承認）

【従来の承認までの道筋】

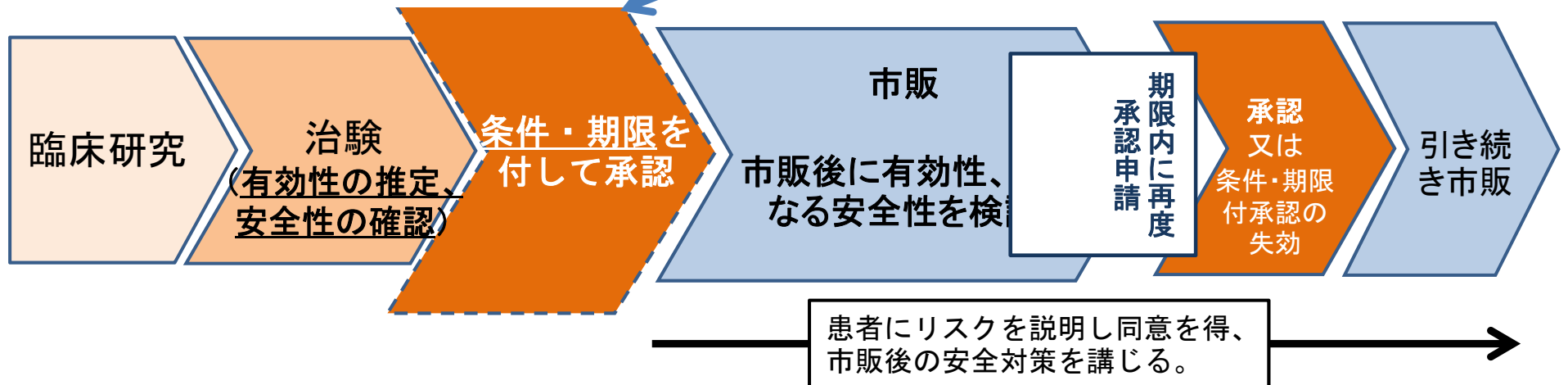
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。



【再生医療等（遺伝子治療を含む）製品の早期の実用化に対応した承認制度】

※患者のアクセスをより早く！



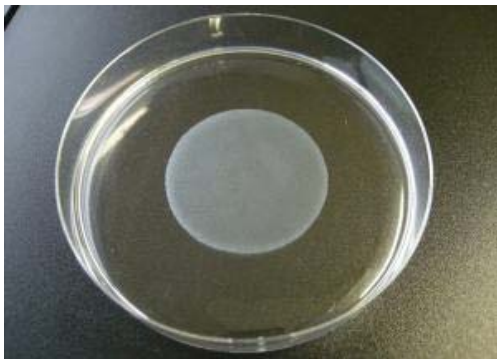
- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

テルモ、「ハートシート」の製造販売承認を取得(2015年09月18日)

世界初となる心不全治療用の再生医療製品

テルモ株式会社(本社:東京都渋谷区、社長:新宅 祐太郎)は、再生医療等製品として申請していたヒト(自己)骨格筋由来細胞シート「ハートシート」が、本日、厚生労働省より条件及び期限付承認を取得しましたのでお知らせします。

ハートシートは、虚血性心疾患による重症心不全を対象とした患者さん向けの製品で、患者さんの大腿部より筋肉組織を採取し、組織内に含まれる骨格筋芽細胞を培養してシート状にします。シートを患者さんの心臓表面に移植することで、重症心不全の病態改善が期待できます。培養する細胞は患者さん自身から採取する自家細胞のため、拒絶反応がないことが特徴として挙げられます。



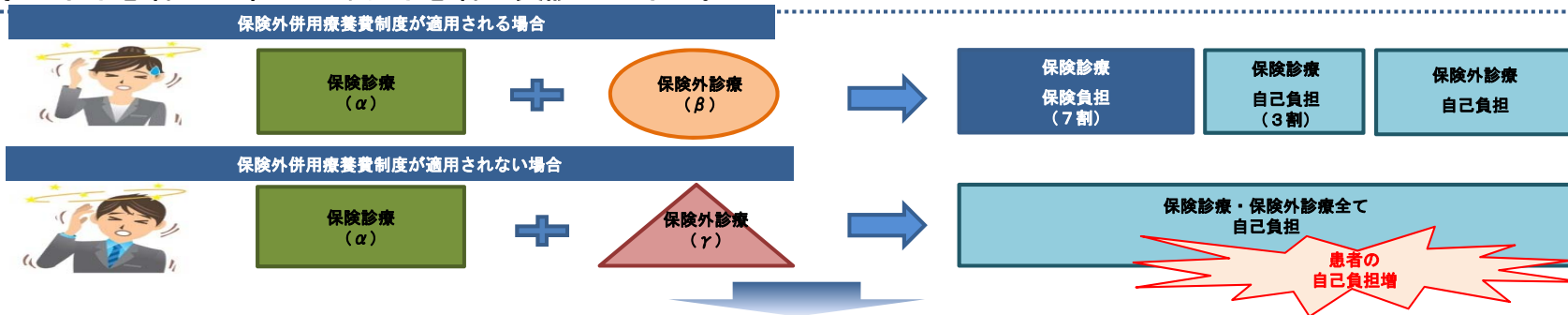
「ハートシート」(シャーレ中央)

保険外併用療養費制度の拡充

現状

➤ 保険診療と保険外診療を併用する場合、保険外併用療養費制度の適用がなければ、保険診療部分まで患者の全額自己負担となるが、現行の保険外併用療養費制度には、以下のような問題がある。

- 保険外診療の申請から実施まで6～7ヶ月の期間を要する。
- 医療技術ごとに、平均10程度の医療機関でしか受けられない。
- 対象となる患者の基準から外れる患者は受診できない。



保険外併用療養費制度の大幅拡大

保険外併用療養費制度

評価療養(7種類)

選定療養(10種類)



患者申出療養

【「患者申出療養」の特徴】

- 患者からの申出が起点。
- 前例がある診療は申請から原則2週間、前例がない診療は原則6週間で受診可能。
- 対応医療機関が随時追加され、より身近な医療機関での受診が可能となるよう柔軟に対応。
- 国において、専門家の合議で安全性・有効性を確認。
- 保険収載に向けた実施計画を作成するとともに、重篤な有害事象等について国に報告。
- 基準対象外の患者から申出があった場合、国において専門家の合議により実施を承認。

規制改革の内容

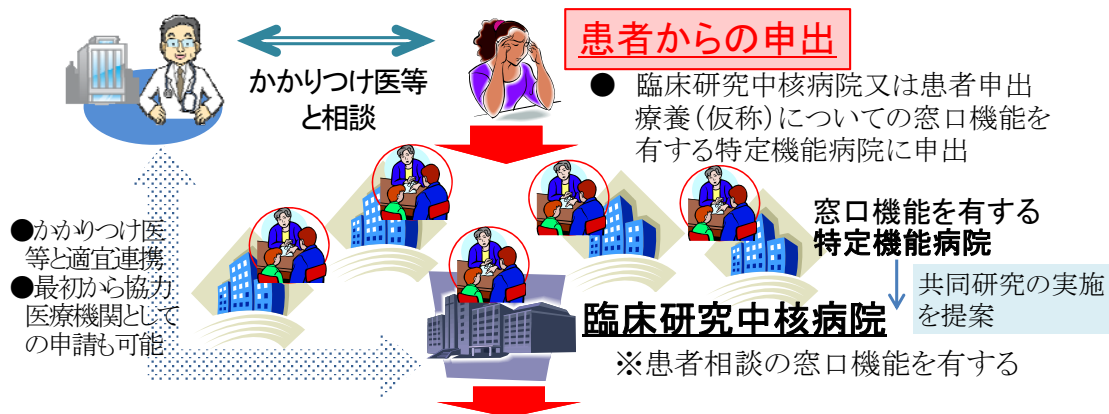
- 保険外併用療養費制度の中に、法改正により、新たな仕組みとして「患者申出療養」を創設する。

想定される効果

- 困難な病気と闘う患者からの申出を起点として、国内未承認医薬品等の使用や国内承認済みの医薬品等の適応外使用などが迅速に保険外併用療養として承認され、患者の治療の選択肢が拡大する。

患者申出療養(医療法改正により間もなく開始)

〈患者申出療養としては初めての医療を実施する場合〉



原則6週間

患者申出療養の申請

- 実施計画、及び安全性・有効性等のエビデンス並びに患者申出起点を示す書類を添付して申請
- 臨床研究中核病院は、特定機能病院やそれ以外の身近な医療機関を、協力医療機関として申請が可能

患者申出療養に関する会議による審議

- 安全性、有効性、実施計画の内容を審査
- 持ち回りによる審議を行う場合は、意見を明確に記録するなど透明性を確保
- 医学的判断が分かれるなど、6週間で判断できない場合は全体会議を開催して審議

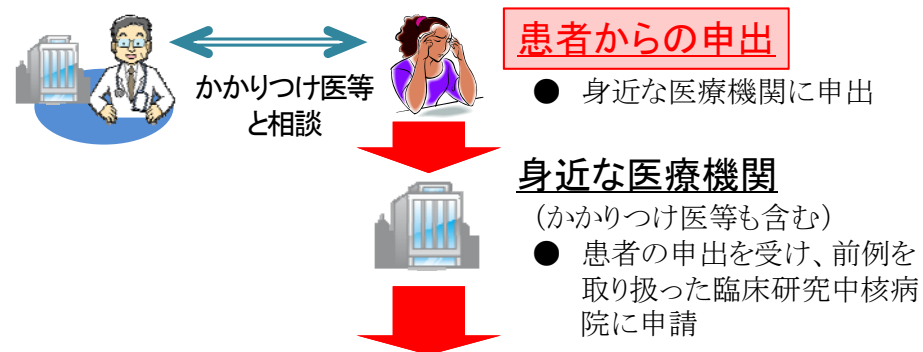
患者申出療養の実施



- 申出を受けた臨床研究中核病院又は特定機能病院に加え、患者に身近な医療機関において患者申出療養(仮称)が開始

- 対象となった医療及び当該医療を受けられる医療機関は国がホームページで公開する。
- 定期的(少なくとも1年に1回)のほか、必要に応じ、実績等について臨床研究中核病院から国への報告を求める。

〈患者申出療養として前例がある医療を他の医療機関が実施する場合(共同研究の申請)〉



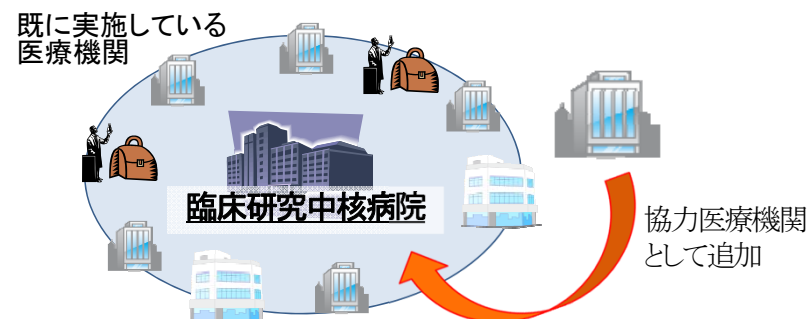
原則2週間

患者申出療養の申請

前例を取り扱った臨床研究中核病院

- 医療の内容に応じて、実施可能な医療機関の考え方を国で示す(例えば合併症の発現可能性や薬剤量調節の難度などの、リスクを踏まえて示す)
- 臨床研究中核病院はその考え方を参考に、患者に身近な医療機関の実施体制を個別に審査

身近な医療機関で患者申出療養の実施



- 臨床研究中核病院の判断後、速やかに地方厚生局に届出

- 実施計画対象外の患者からの申出は、臨床研究中核病院で安全性、倫理性等の検討を行った上で国に申請し、国は患者申出療養(仮称)に関する会議を開催して個別に判断する。

健康・医療戦略推進本部開催（平成25年8月8日）

安倍総理は冒頭のあいさつ

「健康長寿社会の実現」は、安倍政権の成長戦略の柱であります。この「健康・医療戦略推進本部」が、その司令塔となって、革新的な医療技術の実用化スピードを大幅に引き上げることを目指しています。

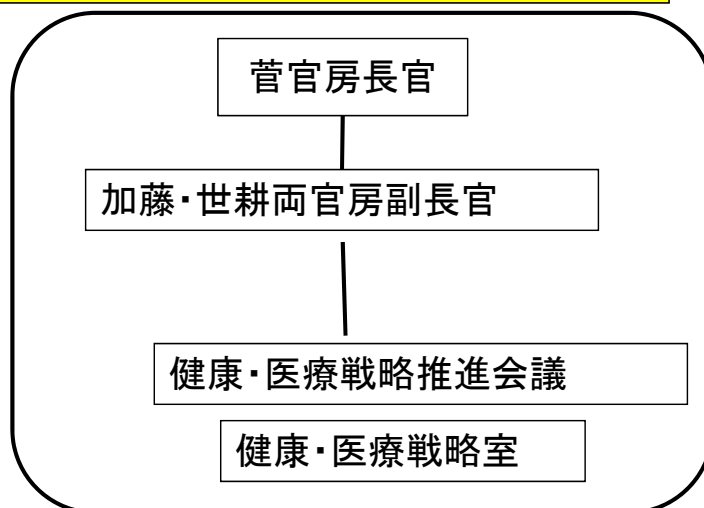
今後、医療分野の研究開発を政府一体で進めていくため、この本部において総合戦略を策定してまいります。

健康医療戦略推進本部
本部長 安倍総理
副本部長 官房長官

専門的助言

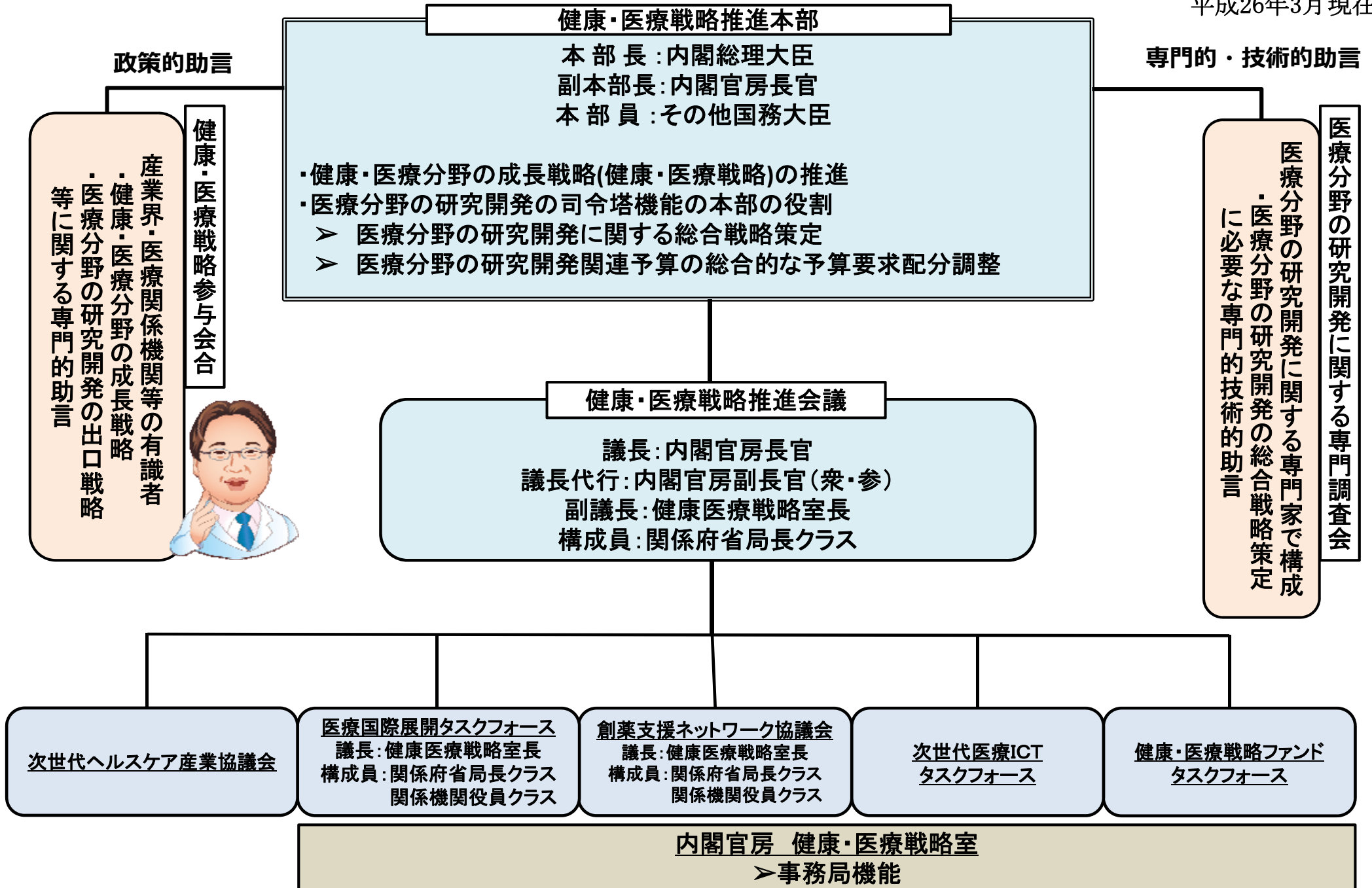


健康・医療戦略推進本部
戦略参与



健康・医療戦略の推進体制

平成26年3月現在



独立行政法人日本医療研究開発機構法

健康・医療戦略推進本部

- 医療分野研究開発推進計画を策定
- 医療分野の研究開発の司令塔として総合的な予算要求配分調整を実施
- 調整費の使途を戦略的・重点的な予算配分を行う観点から決定

医療分野研究開発推進計画等を踏まえて課題を採択

研究者・研究機関に配分される研究費及び当該研究に係るファンディング機能を日本医療研究開発機構に集約し、管理
※ 研究開発の基盤整備に係る予算についても新独法へ集約

総合的な予算要求配分調整

◎研究者の発意による
ボトムアップの基礎研究
科学研究費助成事業(※)
約650億円

※ 科学研究費助成事業全体の配分額は約2,100億円

発掘したシーズをシームレスに移行

◎国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究
・ 日本医療研究開発機構に約1,200億円を集約化。
この他、調整費(500億円)のうち175億円を活用
・ PD、POによるマネジメント
約1400億円

研究開発に係る基盤整備

臨床研究
中核病院等

研究を臨床につなげるため、国際水準の質の高い臨床研究・治験の確実な実施

個別の研究費の
ファンディング

**トップダウン型の
実用化を視野に入れた
研究開発を基礎から
実用化まで一貫した
研究管理**

◎インハウス研究
国の研究機関
約750億円

各研究機関への
財源措置

※ 国立高度専門医療研究センター (NC)、理化学研究所、産業技術総合研究所、国立感染症研究所等