

# 研究戦略マネジメントの実践例

東京科学大学病院  
ヘルスサイエンスR&Dセンター  
リーダーURA／特任教授  
今井 穰

対話で学ぶ“研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ”

2024年10月18日(金) 13:00～17:00

順天堂大学 本郷・お茶の水キャンパス 7号館地下1階コラボスペース

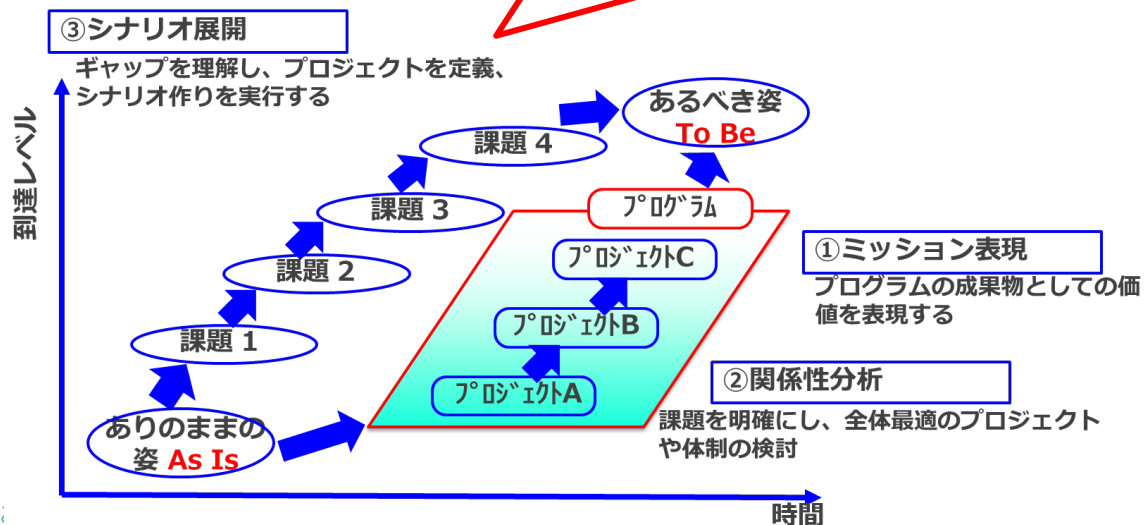
# 臨床研究戦略の立案

- はじめに考えること
  - どのようにしたいのか … To Beを思う
  - 今はどんな現状なのか … As Isを知る
  - As Is と To Be との間に何が足りないのか … ギャップを知る
  - 何をすればギャップを埋められるのか
  - 何をどの順序で実行していくか
  - 誰がどのような利益を得るか

# 臨床研究戦略の立案

## ■ はじめに考えること

- どのようにしたいのか … To Beを思う
- 今はどんな現状なのか … As Isを知る
- As Is と To Be との間に何が足りないのか … ギャップを知る
- 何をすればギャップを埋められるのか
- 何をどの順序で実行していくか
- 誰がどのような利益を得るか



改訂3版 P2Mプログラム&プロジェクトマネジメント標準ガイドブック より引用

# あるべき姿と国家戦略との戦略整合性

- 研究戦略と、国の方針との整合性
  - (例)「健康・医療戦略推進本部」
    - 医療機器・ヘルスケアに関する支援策の全体像(平成6年5月16日)  
(「健康・医療戦略推進本部」HPより)

<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/index.html>

- AMED事業の公募案件
  - (例)「臨床研究・治験推進研究事業」

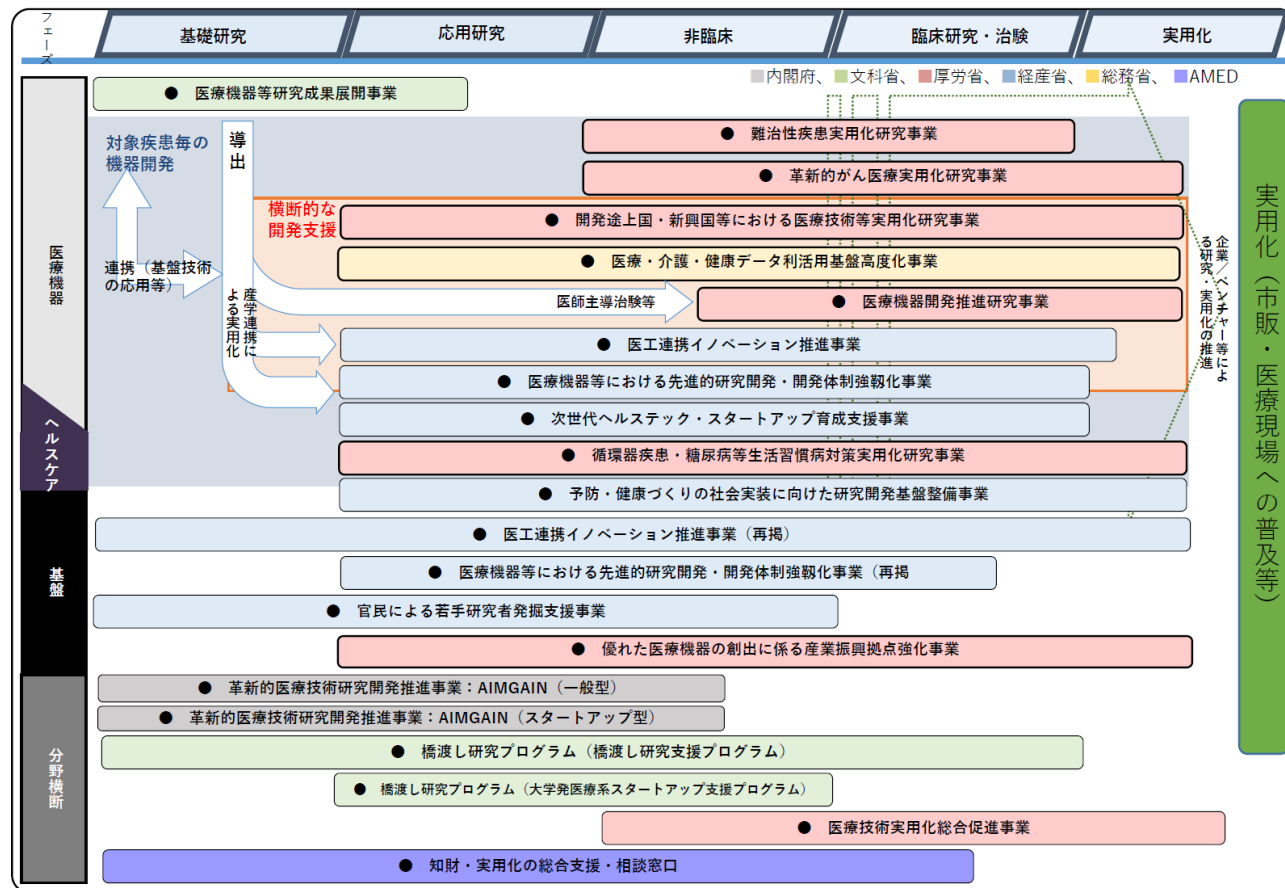
2	既に作成済みのプロトコールに基づいて実施する臨床研究・医師主導治験の推進【実施(ステップ2)】	①特定臨床研究の実施	1課題当たり年間 10,000～25,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～2課題 程度
		②医師主導治験(新有効成分含有医薬品)の実施	1課題当たり年間 30,000～70,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～2課題 程度
		③医師主導治験(新効能医薬品又は新用法・用量医薬品)の実施	1課題当たり年間 30,000～70,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～3課題 程度



2	既に作成済みのプロトコールに基づいて実施する臨床研究・医師主導治験の推進【実施(ステップ2)】	①特定臨床研究の実施	1課題当たり年間 30,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
		②医師主導治験(新有効成分含有医薬品)の実施	1課題当たり年間 60,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
		③医師主導治験(新効能医薬品又は新用量医薬品)の実施	1課題当たり年間 55,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
		④特定臨床研究・医師主導治験(いずれも小児に関する開発)の実施(新設)	1課題当たり年間 55,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～3課題程度

# 医療機器開発支援に対する様々な施策

## AMEDによる研究開発支援の全体像 ～医療機器・ヘルスケアに関するもの～



3

# あるべき姿と国家戦略との戦略整合性

## ■ 研究戦略と、国の方針との整合性

### ■ (例)「健康・医療戦略推進本部」

- 医療機器・ヘルスケアに関する支援策の全体像(平成6年5月16日)  
(「健康・医療戦略推進本部」HPより)

<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/index.html>

## ■ AMED事業の公募案件

- (例)「臨床研究・治験推進研究事業」で、令和4年度→令和5年度で何が変わったか？

2	既に作成済みのプロトコルに基づいて実施する臨床研究・医師主導治験の推進【実施(ステップ2)】	①特定臨床研究の実施	1課題当たり年間 10,000～25,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～2課題 程度
		②医師主導治験(新有効成分含有医薬品)の実施	1課題当たり年間 30,000～70,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～2課題 程度
		③医師主導治験(新効能医薬品又は新用法・用量医薬品)の実施	1課題当たり年間 30,000～70,000千円 程度	最長4年 令和4年度 ～令和7年 度	0～3課題 程度



2	既に作成済みのプロトコルに基づいて実施する臨床研究・医師主導治験の推進【実施(ステップ2)】	①特定臨床研究の実施	1課題当たり年間 30,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
		②医師主導治験(新有効成分含有医薬品)の実施	1課題当たり年間 60,000千円(上限)	令和5年4月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
					0～2課題程度
					0～3課題程度

④特定臨床研究・医師主導治験  
(いずれも小児に関する開発)  
の実施(新設)

# 「小児に関する開発」の追加

既に作成済みのプロトコルに基づいて実施する臨床研究・医師主導治験の  
推進【実施（ステップ2）】



公募要領 P.14~19

## ○公募細目：

- ① 特定臨床研究の実施：臨床研究法を遵守し、科学的評価が可能なデータの収集を目指します。
- ② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施：アカデミアと製薬企業又はベンチャー企業が連携して医薬品を創出することを目指します。
- ③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施：新たな効能・効果又は用法・用量での薬事承認（承認事項一部変更承認）を目指します。
- ④ 特定臨床研究・医師主導治験（いずれも小児に関する開発）の実施：一般的に、成人に対する薬事承認後に小児を対象とした開発が行われます。しかし、適切な小児用剤形の開発が必要となること等の理由で小児の開発が進まず、成人の用法・用量等を参考に医師の裁量で小児に使用せざるを得ない場合があります。この状況を踏まえて、小児用医薬品の開発を推進します。

**※小児に関する研究開発の場合は、④「特定臨床研究・医師主導治験（いずれも小児に関する開発）の実施」に、成人に関する研究開発（本ステップ2）の場合は、①から③の該当する区分に応募してください。**

13

## 事例として紹介する治験の概要

項目	内容
治験のタイトル	RSウイルス感染により重篤化リスクを伴う新生児、乳児、および幼児を対象としたパリビズマブの多施設共同非対照非盲検試験
研究財源	平成31(令和元)年度 AMED臨床研究・治験推進研究事業(4年間)
治験実施施設	7施設 (内訳: 大学病院5、市中病院2)
実施期間	2019年5月(初回IRB)~2023年3月(CSR完成まで)
対象者	RSV感染症の重症化リスクを伴う5疾患群(肺低形成、気道狭窄、先天性食道閉鎖症、先天代謝異常症、神経筋疾患)に罹患する24カ月齢以下の患児
目標被験者数	合計18名以上、1疾患群あたり3名以上
登録被験者数	合計23名 うち、肺低形成 3名、気道狭窄 5名、先天性食道閉鎖症 6名、 先天代謝異常症 4名、神経筋疾患 5名



## 研究着想当時(2018年半ばごろ)の現状

- RSウイルス感染症が重症化した場合は死に至るリスクが高く、治験薬(パリビズマブ)の適応外である先天性疾患を伴う、新生児、乳児、幼児への適応拡大を達成したい
- RSウイルス感染症の高リスク児に対する下気道疾患発症抑制薬は、計画策定時にはパリビズマブしかなかった  
(2024年現在は「ニルセビマブ」も承認取得済み)
- 日本周産期・新生児医学会が中心となり、関連学会(日本先天代謝異常学会、日本小児神経学会、日本小児呼吸器学会、日本小児外科学会)から広く要望を聞いた。その結果、RSウイルス感染症が重症化するリスクが高い、もしくは原疾患によりもともと脆弱なため、重症化した際には治療が困難となる疾患である「肺低形成」、「気道狭窄」、「先天性食道閉鎖症」、「先天代謝異常症」、および「神経筋疾患」の児への適応拡大が必要と判断した
- 2018年度AMED事業に応募するも不採択となり、何とか2019年度での採択を果たしたいと考えていた

# 「あるべき姿」= 適応拡大

本治験を実施して適応拡大を達成することにより、「肺低形成」、「気道狭窄」、「先天性食道閉鎖症」、「先天代謝異常症」、および「神経筋疾患」を伴う児にパリビズマブが投与できるようになる

適応拡大のための薬事申請をおこない、薬事承認を取得する

承認申請のための臨床データ取得手段として、医師主導治験を実施する

治験実施体制を整備する

研究資金を得る  
(AMED)

治験薬を得る  
(製薬企業)

治験計画の立案・  
支援体制の構築

規制当局対応  
(PMDA)

# プログラム価値評価

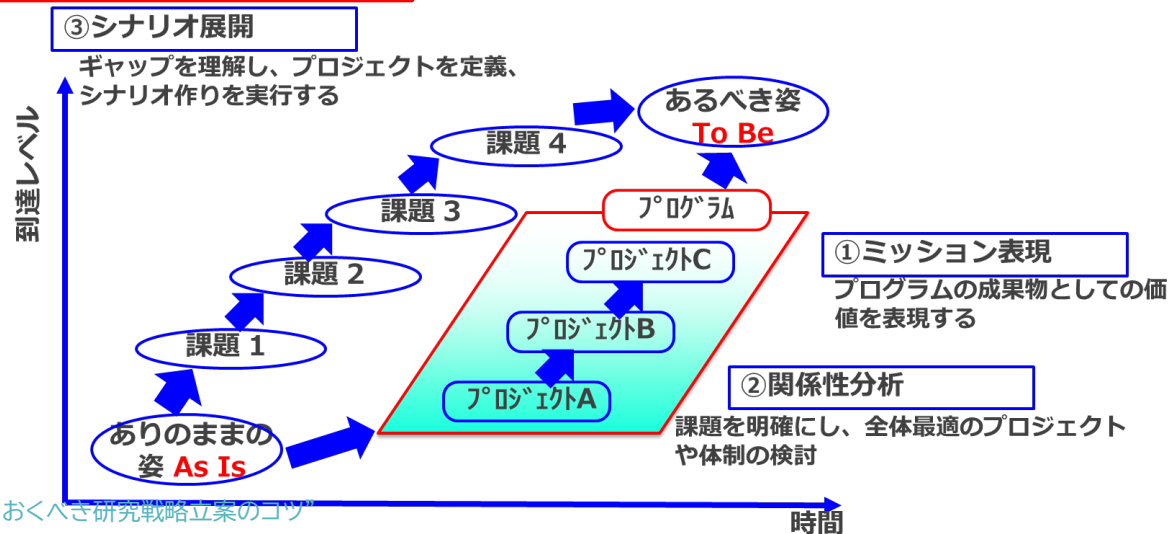
項目	内容
プログラムの目的・ビジョン	<ul style="list-style-type: none"> <li>RSウイルス感染症が重症化した場合は死に至るリスクが高く、治験薬(パリビズマブ)の適応外である先天性疾患を伴う、新生児、乳児、幼児への適応拡大を達成したい</li> </ul>
プログラムの提供価値	<ul style="list-style-type: none"> <li>適応拡大により、RSV感染症の重症化による新生児、乳幼児の入院や救急治療が減ること、死者が減ること</li> <li>上記の実現による医療費削減</li> <li>保護者が仕事を休まずに済むこと</li> <li>製造販売業者の売上や利益の向上に貢献</li> <li>医師が「目の前で困っている患者を救う」という使命感を充足</li> </ul>
プログラムの目的と目標	<p>【目的】 小児関連学会が求める未適応疾患に対する適応拡大</p> <p>【目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>医師主導治験の実施</li> <li>製薬企業による承認取得</li> </ul>
前提条件	<ul style="list-style-type: none"> <li>当該医薬品(治験薬)の製造販売業者が協力的である</li> <li>各学会の要望がベースとなっているため、参加医師が積極的、協力的である</li> <li>研究代表者が所属する大学のAROの支援体制が整っている</li> </ul>

# ステークホルダーと提供価値

ステークホルダー	提供価値
患者	<ul style="list-style-type: none"> <li>適応拡大により、RSV感染症の重症化による入院、死亡を回避</li> </ul>
医師	<ul style="list-style-type: none"> <li>これまで投与できなかった患者に対して薬を投与できる</li> </ul>
患者の家族	<ul style="list-style-type: none"> <li>自分の子供の命が守られる</li> <li>医療費の削減</li> <li>自分の就労への影響も軽減</li> </ul>
製薬会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>市場拡大、事業拡大</li> <li>社会的イメージアップ</li> </ul>
AMED	<ul style="list-style-type: none"> <li>国家戦略との整合性</li> <li>成功事例の蓄積によるFunderとしてのプレゼンスの向上</li> </ul>
PMDA	<ul style="list-style-type: none"> <li>国家戦略との整合性</li> <li>ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスの解消</li> </ul>

# 臨床研究戦略の立案

- はじめに考えること
  - どのようにしたいのか … To Beを思う
  - 今はどんな現状なのか … As Isを知る
  - As Is と To Be との間に何が足りないのか … ギャップを知る
  - 何をすればギャップを埋められるのか
  - 何をどの順序で実行していくか
  - **誰がどのような利益を得るか**



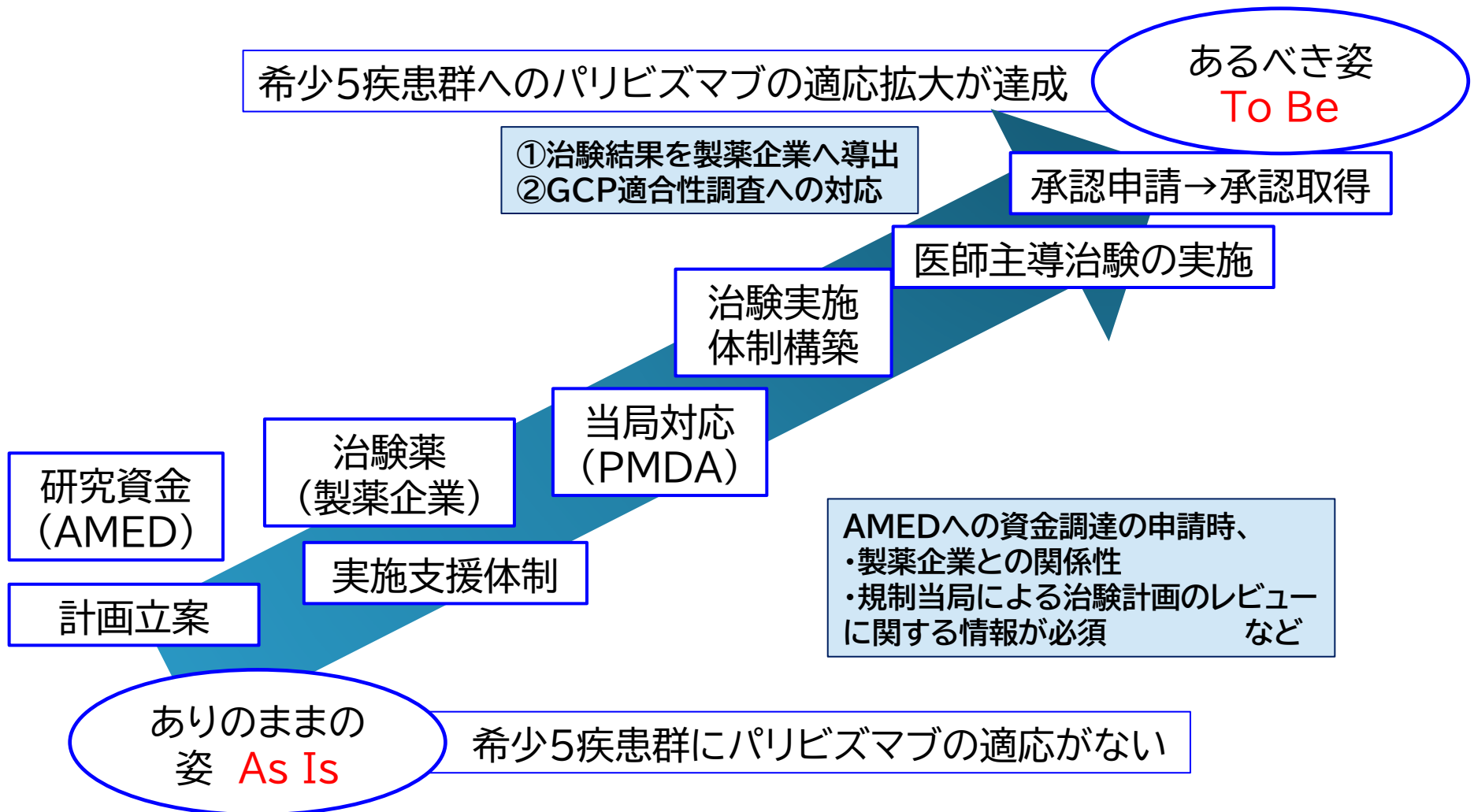
# 各プロジェクトの目的と目標

プロジェクト	目的	目標
臨床研究計画の立案	科学的・倫理的に妥当な研究計画の立案→妥当なGo/No Go判断が可能	適切に評価できる結果を得るための期間、目標被験者数、実施体制の検討
資金獲得(AMED)	次年度から医師主導治験が実施できる研究事業への採択	前年度不採択時の指摘事項の解消 実施可能性の高い計画の立案
治験薬獲得(製薬企業)	目標被験者数を達成するために十分な数量の治験薬の確保	治験薬の無償提供に関する契約締結 (将来の)承認申請の可能性の打診
当局対応(PMDA)	治験プロトコルに関するRS戦略相談の完了	RS戦略相談の実施、照会事項への対応、 相談記録の作成・入手
実施支援体制の構築	研究期間内に治験を完遂させる支援体制の構築	AROの実施体制への参画 モニタリング、DM、統計解析、監査
治験実施体制の構築	研究期間内に治験を完遂させる実施体制の構築	目標被験者数の登録達成が見込まれる施設 および医師の選定
治験の実施	承認申請の評価資料として利用可能な品質の治験を実施	GCP遵守、適切な実施体制の構築、 研究資金の獲得、治験薬の確保
承認申請→取得	適応拡大の一変承認の取得	評価資料となりうる治験結果の製薬企業 への提供

# 目的・目標連鎖(関係性分析)

目標	目的	科学的・倫理的に妥当な研究計画の立案	次年度からの研究事業への採択	十分な数量の治験薬の確保	プロトコルに関するRS戦略相談の完了	計画完遂のための支援体制の構築	計画完遂のための実施体制の構築	審査に耐えうる品質の治験実施	適応拡大の一変承認の取得
適切に評価できる結果を得るための期間、目標被験者数、実施体制の検討		○		●	●		●		
前年度不採択時の指摘事項の解消 実施可能性の高い計画の立案		●	○	●		●	●		
治験薬の無償提供に関する契約締結 (将来の)承認申請の可能性の打診			●	○			●		
RS戦略相談の実施、照会事項への対応、相談記録の作成・入手		●			○	●	●		
AROの実施体制への参画 モニタリング、DM、統計解析、監査			●			○			
目標被験者数の登録達成が見込まれる施設および医師の選定			●		●		○		
GCP遵守、適切な実施体制の構築、 研究資金の獲得、治験薬の確保		●		●	●	●		○	
評価資料となりうる治験結果の製薬企業への提供								●	○

# 関係性分析とシナリオ展開





# プログラム環境分析(SWOT分析)

## 外部環境分析

### 機会

- ・ 希少5疾患群への適応拡大に対する関連学会からの強い要望
- ・ 小児適応の推進は国家的戦略
- ・ AMED事業でARO/CRO活用促進を推奨

### 脅威

- ・ 長時間作用型競合製剤の開発の促進
- ・ 小児対象の治験に対して被験者登録に難渋することが多い

## 内部環境分析

### 強み

- ・ 本治験による適応拡大に熱意を持つ医師が集結
- ・ 治験薬提供者の協力体制

### 弱み

- ・ 医師主導治験に慣れない医師、医療機関の参画

### 強みで機会を活かす

- ・ 各希少疾患群の専門医が責任医師となっており、通常診療の中で被験者候補を探しやすい
- ・ 治験薬提供者(製薬企業)が治験支援体制の構築に大きく貢献、申請に前向きな姿勢

### 弱みで機会を逃さない

- ・ 治験支援体制が整備されていない施設への手厚いサポート
- ・ 被験者登録状況の頻繁な共有化による登録促進

- ・ 各希少疾患の患者が集まる施設だけでなく、地域の中心的施設での複数疾患群の登録促進

- ・ Face-to-Faceでの情報伝達や教育・研修を繰り返す
- ・ 被験者登録に関して、無理をしない(させない)

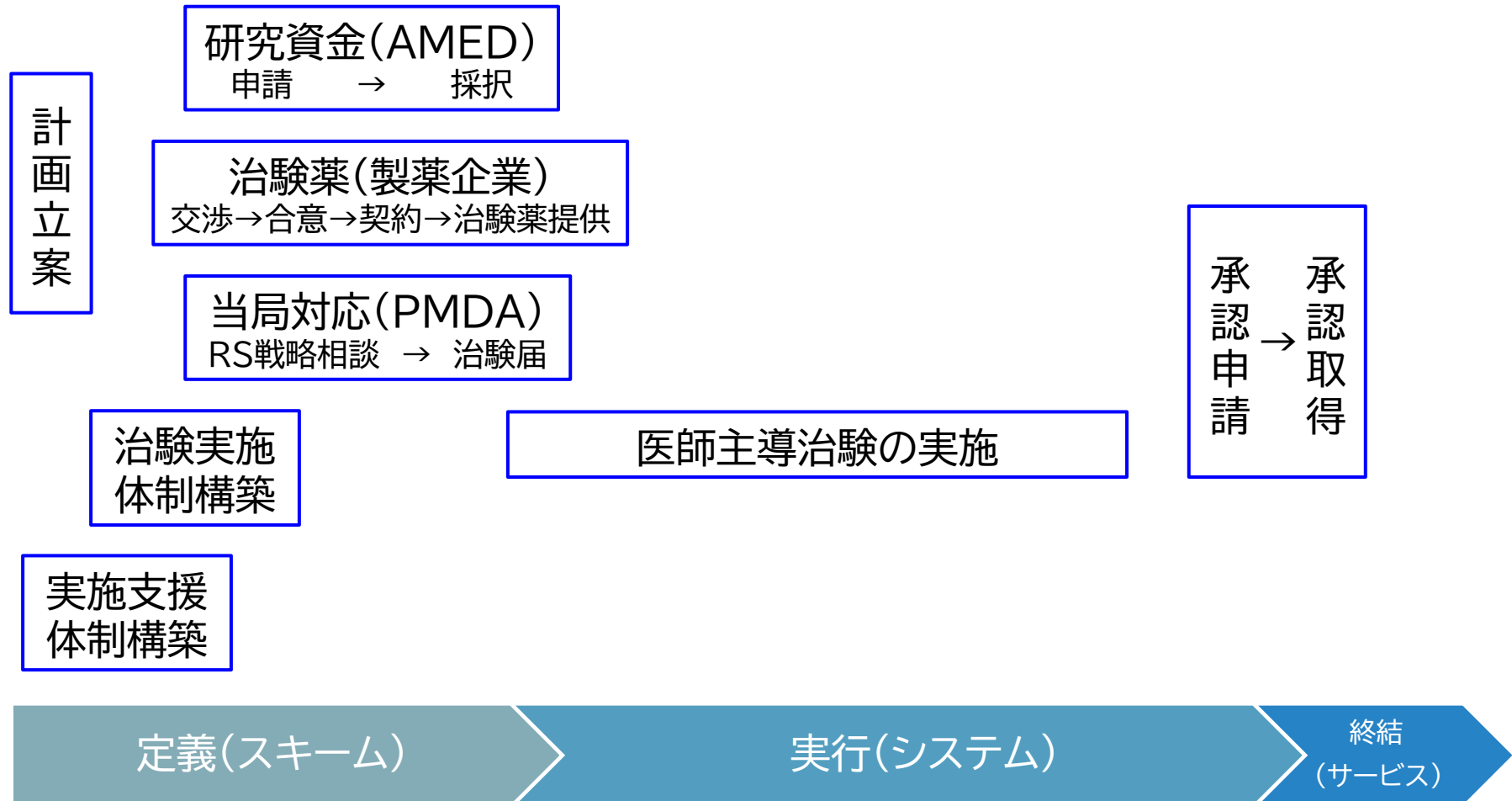
### 強みで脅威を機会に変える

### 弱みで最悪の事態を招かない

# シナリオ分析

項目	環境シナリオ	実行シナリオ
楽観的	<ul style="list-style-type: none"> <li>対象とする5疾患群全てで目標被験者数を登録でき、主要評価項目を達成</li> <li>小児の希少疾患を原疾患とする適応拡大であることから優先審査の対象となる</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED事業への採択により、希少5疾患群を対象とした医師主導治験を実施</li> <li>計画どおりの被験者を登録し、5疾患群全ての適応拡大を達成</li> <li>優先審査の対象となり早期承認取得を達成</li> </ul>
標準的	<ul style="list-style-type: none"> <li>対象とする5疾患群全てで目標被験者数を登録でき、主要評価項目を達成</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED事業への採択により、希少5疾患群を対象とした医師主導治験を実施する</li> <li>計画どおりの被験者を登録し、5疾患群全ての適応拡大を達成する</li> <li>通常審査により承認を取得</li> </ul>
悲観的	<ul style="list-style-type: none"> <li>一部疾患群で、対象被験者が集まらない、または主要評価項目を満たさない</li> <li>長期間作用型競合製剤が同時期に同一の適応拡大治験を実施する</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>計画どおりの被験者を登録できない、または一部疾患群で主要評価を満足せず、一部の疾患群での適応拡大を達成</li> </ul>

# プロジェクト構造化(プログラムアーキテクチャー)



# 当日の内容

1. 自己紹介
2. 研究戦略立案で大切にしたいこと
3. 取り組み事例の紹介
  1. プログラムの定義フェーズ
    1. プログラム価値評価
    2. 目的・目標連鎖
    3. シナリオ展開
    4. プロジェクト構造化
    5. 資金獲得
  2. プログラム実行フェーズ
    1. 課題解決・リスク対応
  3. プログラム終結フェーズ
4. 得られた教訓、お伝えしたいこと
5. まとめ