

令和 6 年 6 月 25 日現在

機関番号：14301

研究種目：基盤研究(C)（一般）

研究期間：2018～2023

課題番号：18K06779

研究課題名（和文）抗癌剤の早期アクセスに資する条件付き承認制度の運用方法の検討

研究課題名（英文）Study on a conditional approval system that contributes to early access to anticancer drugs

研究代表者

永井 純正（Nagai, Sumimasa）

京都大学・医学研究科・教授

研究者番号：40579710

交付決定額（研究期間全体）：（直接経費） 3,400,000円

研究成果の概要（和文）：米国では2023年3月にFDAがドラフトガイダンスを発出し、単群試験結果のみに基づく迅速承認についてこれまでよりも保守的な運用をしていくという方針を示唆している。その一方で、比較的患者数が少ない血液悪性腫瘍では、単群2相試験に基づく薬事承認が行われるかどうかが各国の承認時期に大きな影響を与える。そこで米国で薬事承認された血液悪性腫瘍に対する薬剤について、日本の開発状況を調べたところ、特に2相試験結果を基に米国で薬事承認された品目で日本が当該試験に参加していないために承認時期が遅くなっている傾向が明らかになり、この研究成果を学会発表及び論文発表した。

研究成果の学術的意義や社会的意義

米国では早期臨床試験結果に基づいて迅速承認取得された抗癌剤が毒性等の問題で市販後の比較試験で既存の標準治療と比較した優越性が示されないという事例が出てきたことを受けて、迅速承認制度の運用をより厳格に行う傾向が見えてきている。その一方で、日本では、本研究成果により、日本で臨床試験による開発が遅れることにより、米国で承認された薬剤が遅れて承認される傾向が明らかとなった。本研究成果により今後日本で承認が遅れた薬剤の特徴をより詳細に解析できるため、本研究成果は臨床的有用性が真に高いと言える薬剤を日本で早期に承認するためにどのように条件付き承認制度を運用すればよいかを議論する上での重要な基礎資料となる。

研究成果の概要（英文）：In the US, the FDA issued a draft guidance in March 2023, suggesting that the FDA will operate more conservatively than in the past regarding accelerated approval based solely on single-arm study results. On the other hand, for hematologic malignancies, in which the number of patients is relatively small, whether or not regulatory approval is granted based on a single-arm, phase 2 study will have a significant impact on the timing of approval in each country. The study revealed a trend that the approval timing of drugs approved in the US for hematological malignancies based on the results of phase 2 trials tends to be delayed in Japan because Japan did not participate in the phase 2 trials.

研究分野：血液腫瘍学、規制科学

キーワード：抗癌剤 薬事規制

1. 研究開始当初の背景

2017年度時点で、再生医療等製品に対しては導入済であったが、厚生労働省は医薬品に対しても条件付き承認制度を導入する予定であることを公表していた。日本の条件付き承認制度は、欧米の条件付き承認(米国は accelerated approval、欧州は conditional marketing authorization)のように市販後の検証試験の実施を中心に位置づけるわけではなく、市販後の real world data の収集などがむしろ中心的な役割を担うことも想定されている。また、欧米の条件付き承認制度は第2相試験での有望な結果を基に条件付き承認を付与するとともに通常承認への切り替えにあたり比較試験等の検証試験の実施を要求するのが通常であり、検証試験が実施可能な患者数の規模の疾患も対象とされている。日本ではそれとは異なり、検証的試験の実施が困難又は患者数が少ないために実施に時間がかかる場合を要件として必須としている。

しかし、検証的試験の実施が困難かどうかは実際には欧米での開発状況に依存する局面も十分に想定されることから、検証的試験の実施が困難又は患者数が少ないために実施に時間がかかる場合とは具体的にどのような疾患領域を指しているのか、に関しては必ずしも明確ではない。これまでも日本で、特に抗癌剤については、第2相試験の結果が臨床現場に与えるインパクトや患者数の規模を考慮して、第2相試験の結果をもって承認されているケースは多い。従って、欧米の条件付き承認は第3相試験の結果が出る前に、临床上重要な新薬をより早く医療現場に届けるための早期アクセス制度という意味合いが強いのに対し、日本の新規の条件付き承認制度は、これまで既に第2相試験結果で承認されてきたような希少疾患に対する医薬品に対して、早期アクセスよりむしろその市販後対策を強化するという意味合いが強いのではないかという考察もできる。

また、先行して導入されている日本の再生医療等製品に対する条件付き承認制度も、2017年度時点ではハートシート1品目のみに適用されていたにすぎないため、日本で医薬品に対して条件付き承認制度が適用される場合において、承認申請前と市販後に各々どのような臨床成績が要求されるか、についても重要な点である。

2. 研究の目的

欧米で条件付き承認が最も多くなされているのは抗癌剤であることから、抗癌剤を対象として、日米欧のいずれかで承認済の品目では承認前後に実施された治験、それ以外では現在実施中の治験・臨床試験、公表文献に掲載された過去の臨床試験をデータ収集・解析し、画期的な抗癌剤の早期アクセスにつながるような意義のある条件付き承認制度を活用した承認申請のあり方とはどのようなものかを明らかにすることを目的とする。

3. 研究の方法

日米欧のいずれかで既承認の品目については、日米欧の規制当局が審査報告書として公開している情報を基に、日米欧で承認前に各々どの程度の症例数で治験が実施されたか、さらに、欧米で条件付き承認となった品目について市販後に実施された試験のデザイン等を調べる。

さらに、現在実施中の臨床試験・治験についても公開データベースを用いて試験デザインや実施国の調査を行う。造血器腫瘍については、AML、MDS、ALL、多発性骨髄腫、リンパ腫という疾患別のみならず、さらに初発か再発難治かという治療ライン別にデータ収集する。

また、造血器腫瘍に対する医薬品に関して調査した上記項目全てについて、固形腫瘍に対する医薬品においても調査対象を広げる。遺伝子変異等のバイオマーカーで層別化した集団を対象とした抗癌剤開発についても解析を行う。さらに、医薬品との対比を行う観点から、日本で先に条件付き承認制度が運用されている再生医療等製品に対する日米欧の薬事規制に関する調査も行う。

4. 研究成果

条件付き承認を含む抗癌剤の薬事承認及び市販後の情報収集のあり方が本研究のテーマであり、2018年度は海外規制当局や海外の研究者との情報交換を行った成果を2つの重要な論文としてとりまとめることができた。Journal of Global Oncology 誌に共著者として掲載した "Global Development of Anticancer Therapies for Rare Cancers, Pediatric Cancers, and Molecular Subtypes of Common Cancers" の論文では、患者数の少ない疾患に対する薬剤開発における国際連携の重要性について、海外規制当局及び海外の研究者とともに記載した。また、Lancet Haematology 誌に共著者として掲載した "Beyond maximum grade: modernising the assessment and reporting of adverse events in haematological malignancies" の論文では、承認前及び市販後においてどのように安全性情報を収集すべきかについて、海外規制当局及び

海外の研究者とともに記載した。さらに、癌領域の再生医療等製品の開発について国内の状況と薬事規制を情報収集した成果を筆頭著者として Clinical Therapeutics 誌に掲載した。

2019 年度は、欧米の規制当局や研究者との情報交換を行った成果を原著論文としてとりまとめることができた。European Journal of Cancer 誌に共著者として掲載した "Addressing the dichotomy between individual and societal approaches to personalised medicine in oncology" の論文では、バイオマーカーを用いた抗癌剤の個別化医療と診断薬開発についての日米欧での課題がとりあげられ、私も参画した European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC) における Innovation and Biomarkers in Cancer Drug Development (IBCD) での議論の内容がとりまとめられた。また、日米欧の医薬品と再生医療に関する審査迅速化の取組みをまとめた総説を "Flexible and Expedited Regulatory Review Processes for Innovative Medicines and Regenerative Medical Products in the US, the EU, and Japan" として掲載するとともに、その中で抗癌剤開発に特化した内容について、肺癌に関する国際学会である IASLC 2019 World Conference on Lung Cancer で講演を行うことができた。

2020 年度は抗癌剤における薬事規制に関する複数の総説を和文で publish することができた。また、再生医療等製品の薬事規制に関する国際学会講演を webinar で行った。

2021 年度は、これまでの研究成果に基づき、癌領域の再生医療等製品に関する日本の薬事承認制度の現状と課題をまとめた invited commentary を Lancet Haematology 誌に掲載した。

2022 年度は、新型コロナウイルス感染症に対するワクチン及び治療薬の早期承認制度（特例承認制度及び新設された緊急承認制度）のあり方が社会的に大きな関心事となり、抗癌剤における条件付き承認のあり方に関する研究にも大きな影響を与えた。そこで、2022 年 5 月 20 日に緊急承認を盛り込んだ改正医薬品医療機器等法が公布され、同日に厚生労働省から「緊急承認制度における承認審査の考え方について」という通知が発出されたことを踏まえ、緊急承認制度の概要を日米欧の迅速承認、早期条件付き承認制度と比較した和文総説を執筆した。正確には承認とは異なる米国の Emergency Use Authorization も含めて調査した。また、日本における条件付き承認品目、特例承認品目の具体例についても調査し、総説内で発表した。

また、米国では、単群試験結果に基づいて迅速承認取得された抗癌剤が毒性等の問題で市販後の比較試験で既存の標準治療と比較した優越性が示されないという案件が目立ち始めたことを受けて、2023 年 3 月に FDA が、"Clinical Trial Considerations to Support Accelerated Approval of Oncology Therapeutics" というタイトルのドラフトガイダンスを発出した。このドラフトガイダンスは単群試験結果のみに基づく迅速承認についてこれまでよりも保守的な運用をしていくという方針を示唆している。その一方で、比較的患者数が少ない血液悪性腫瘍では、単群 2 相試験に基づく薬事承認が行われるかどうか各国の承認時期に大きな影響を与える。

そこで 2023 年度は米国で薬事承認された血液悪性腫瘍に対する薬剤について、日本の開発状況を調べたところ、特に 2 相試験結果を基に米国で薬事承認された品目で日本の施設が当該試験に参加していないために日本での承認時期が遅くなっている傾向が明らかになった。この研究成果は 2023 年度に日本血液学会学術集会で発表するのみならず Japanese Journal of Clinical Oncology 誌に掲載することができた。

なお、令和 3 年 3 月 31 日付で、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課より、薬生薬審発 0331 第 3 号「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドラインについて」が発出された。この文書は、平成 17 年に発出されたガイダンスを改訂した内容が記載されているが、これまでの承認事例が少ないこともあり、早期条件付き承認制度の運用については特段新しい内容には言及されていない。しかし、コンパニオン診断薬の開発を含めたバイオマーカーの利用、希少がんや希少フラクションに対する抗癌剤の臨床評価、臨床試験デザインについてこのガイドラインで言及されていることについては、本研究のスコープと合致する点もあり、依然として早期条件付き承認制度をどのように運用するかに関しては今後整理すべき論点のままとされている。したがって、このガイドラインの発出により本研究で得られた成果の意義はより高まったと考えられる。また、本研究でテーマとした条件付き承認制度については、日本での新型コロナウイルスに対するワクチンや治療薬に対する早期承認制度（特例承認制度及び新設された緊急承認制度）のあり方、米国でのアルツハイマー病に対する抗体薬の迅速承認についての賛否両論、また前述のとおり米国において主に抗 PD-1/PD-L1 抗体薬で迅速承認取得後の検証試験で優越性が示されない事例が相次いでいること、等から社会的な関心が急速に高まってきている。

しかしながら、依然として日本における条件付き承認制度の適用品目は、癌領域以外を見渡しても、医薬品、再生医療等製品いずれにおいても限定的となっていることから、本研究は今後も継続して実施していく必要がある。さらに、これまでの研究を通して、本研究成果を次の研究に発展させるための視点として、条件付き承認取得後の検証試験が条件付き承認対象の治療ラインと同一であるかどうか、条件付き承認に資する早期試験の開発主体が大手製薬企業なのかどうか、が重要であることが明らかとなったため、次に獲得した科研費を用いてこれらの観点からの研究を実施することとした。

5. 主な発表論文等

〔雑誌論文〕 計24件（うち査読付論文 14件 / うち国際共著 8件 / うちオープンアクセス 7件）

1. 著者名 Matsuda Kensuke, Nagai Sumimasa, Sugimoto Koichi	4. 巻 53
2. 論文標題 Drug approval delays in hematologic malignancies between Europe and the US and between Japan and the US: a clinical perspective	5. 発行年 2023年
3. 雑誌名 Japanese Journal of Clinical Oncology	6. 最初と最後の頁 1125 ~ 1129
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1093/jjco/hyad117	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている (また、その予定である)	国際共著 -

1. 著者名 永井 純正	4. 巻 38
2. 論文標題 総論 アカデミア発の医療開発の現状と課題	5. 発行年 2023年
3. 雑誌名 BIO Clinica	6. 最初と最後の頁 1170 ~ 1171
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Nagai Sumimasa, Nishihara Hiroshi, Suzuki Takayoshi, Nishio Kazuto, Taniguchi Hiroya, Tsuchihara Katsuya, Nakamura Kohei, Takamatsu Reika, Ueno Toshihide, Aburatani Hiroyuki, Kohno Takashi, Kohsaka Shinji	4. 巻 113
2. 論文標題 Recommendations related to the analytical equivalence assessment of gene panel testing	5. 発行年 2022年
3. 雑誌名 Cancer Science	6. 最初と最後の頁 3282 ~ 3290
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1111/cas.15513	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている (また、その予定である)	国際共著 -

1. 著者名 Thanarajasingam G., Nagai S(27番目/40人中), Habermann TM.	4. 巻 9
2. 論文標題 Reaching beyond maximum grade: progress and future directions for modernising the assessment and reporting of adverse events in haematological malignancies	5. 発行年 2022年
3. 雑誌名 The Lancet Haematology	6. 最初と最後の頁 e374 ~ e384
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/S2352-3026(22)00045-X	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 該当する

1. 著者名 Kage Hidenori, Kohsaka Shinji, Tatsuno Kenji, Ueno Toshihide, Ikegami Masachika, Zokumasu Koichi, Shinozaki-Ushiku Aya, Nagai Sumimasa, Aburatani Hiroyuki, Mano Hiroyuki, Oda Katsutoshi	4. 巻 52
2. 論文標題 Tumor mutational burden measurement using comprehensive genomic profiling assay	5. 発行年 2022年
3. 雑誌名 Japanese Journal of Clinical Oncology	6. 最初と最後の頁 925 ~ 929
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1093/jjco/hyac063	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Nagai Sumimasa, Witherspoon Bartlett, Nabhan Chadi, Bennett Charles L.	4. 巻 184
2. 論文標題 Biosimilar Epoetin in the United States: A View from the Southern Network on Adverse Reactions	5. 発行年 2022年
3. 雑誌名 Cancer Treatment and Research	6. 最初と最後の頁 41 ~ 51
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1007/978-3-031-04402-1_2	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 該当する

1. 著者名 永井純正	4. 巻 29(4)
2. 論文標題 医師主導治験の現状と課題	5. 発行年 2022年
3. 雑誌名 腫瘍内科	6. 最初と最後の頁 513 ~ 517
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 永井純正	4. 巻 87(2)
2. 論文標題 医薬品の開発と承認制度の国際比較	5. 発行年 2023年
3. 雑誌名 公衆衛生	6. 最初と最後の頁 91 ~ 101
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Sumimasa Nagai	4. 巻 8
2. 論文標題 Regulatory hurdles for CAR T-cell therapy in Japan	5. 発行年 2021年
3. 雑誌名 The Lancet Haematology	6. 最初と最後の頁 e686 ~ e687
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/S2352-3026(21)00279-9	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Nagai Sumimasa	4. 巻 22
2. 論文標題 Current situation of oncology biosimilars in Japan	5. 発行年 2021年
3. 雑誌名 The Lancet Oncology	6. 最初と最後の頁 e82 ~ e82
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/S1470-2045(21)00029-2	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Bennett Charles L., Nagai Sumimasa, Bennett Andrew C., et al	4. 巻 none
2. 論文標題 The First 2Years of Biosimilar Epoetin for Cancer and Chemotherapy Induced Anemia in the U.S.: A Review from the Southern Network on Adverse Reactions	5. 発行年 2021年
3. 雑誌名 The Oncologist	6. 最初と最後の頁 none
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1002/onco.13713	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている(また、その予定である)	国際共著 該当する

1. 著者名 永井 純正	4. 巻 26
2. 論文標題 がん治療のレギュラトリーサイエンス	5. 発行年 2020年
3. 雑誌名 腫瘍内科	6. 最初と最後の頁 677-684
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 永井 純正	4. 巻 20
2. 論文標題 遺伝子パネル検査によって変わる今後の医療と医薬品開発 国内承認品目の審査報告書を読み解いて学ぶこと	5. 発行年 2020年
3. 雑誌名 Pharm Stage	6. 最初と最後の頁 17-21
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 永井 純正	4. 巻 61
2. 論文標題 血液悪性腫瘍に対する治療薬承認の現状	5. 発行年 2020年
3. 雑誌名 臨床血液	6. 最初と最後の頁 437-444
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 永井 純正	4. 巻 none
2. 論文標題 新医薬品等の承認審査制度、行政	5. 発行年 2021年
3. 雑誌名 CRCテキストブック第4版	6. 最初と最後の頁 78-84
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 Sumimasa Nagai	4. 巻 20
2. 論文標題 Flexible and Expedited Regulatory Review Processes for Innovative Medicines and Regenerative Medical Products in the US, the EU, and Japan	5. 発行年 2019年
3. 雑誌名 International Journal of Molecular Sciences	6. 最初と最後の頁 pii: E3801
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.3390/ijms20153801	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている(また、その予定である)	国際共著 -

1. 著者名 Salgado R, Solit DB, Rimm DL, Bogaerts J, Canetta R, Lively T, Lyerly K, Span PN, Bateman-House A, Makady A, Bergmann L, Nagai S, Smith C, Robson M, Savage M, Voest E, Sweeney C, Lambin P, Thomas M, Harris L, Lacombe D, Massard C; IBCD-Faculty.	4. 巻 114
2. 論文標題 Addressing the dichotomy between individual and societal approaches to personalised medicine in oncology	5. 発行年 2019年
3. 雑誌名 European Journal of Cancer	6. 最初と最後の頁 128 ~ 136
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/j.ejca.2019.03.025	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 該当する

1. 著者名 Chen B, Nagai S, Armitage JO, Witherspoon B, Nabhan C, Godwin AC, Yang YT, Kommalapati A, Tella SH, DeAngelis C, Raisch DW, Sartor O, Hrushesky WJ, Ray PS, Yarnold PR, Love BL, Norris LB, Knopf K, Bobolts L, Riente J, Luminari S, Kane RC, Hoque S, Bennett CL.	4. 巻 24
2. 論文標題 Regulatory and Clinical Experiences with Biosimilar Filgrastim in the U.S., the European Union, Japan, and Canada	5. 発行年 2019年
3. 雑誌名 The Oncologist	6. 最初と最後の頁 537 ~ 548
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1634/theoncologist.2018-0341	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている (また、その予定である)	国際共著 該当する

1. 著者名 Nagai Sumimasa, Sugiyama Daisuke	4. 巻 41
2. 論文標題 Current Trends in Clinical Development of Gene and Cellular Therapeutic Products for Cancer in Japan	5. 発行年 2019年
3. 雑誌名 Clinical Therapeutics	6. 最初と最後の頁 174 ~ 184
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/j.clinthera.2018.11.003	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている (また、その予定である)	国際共著 -

1. 著者名 Lyerly H. Kim, Ren Jun, Canetta Renzo, Kim Gi Hyun, Nagai Sumimasa, Yamaguchi Tomohiro, Hatogai Ken, Katayama Hiroshi, Da Rocha Dias Silvy, McManus Daniel, Soltys Kathy, Yang Zhimin, Olopade Olufumilayo, Goodman Nancy, Reaman Greg, Gross Thomas	4. 巻 4
2. 論文標題 Global Development of Anticancer Therapies for Rare Cancers, Pediatric Cancers, and Molecular Subtypes of Common Cancers	5. 発行年 2018年
3. 雑誌名 Journal of Global Oncology	6. 最初と最後の頁 1 ~ 11
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1200/JGO.18.00092	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている (また、その予定である)	国際共著 該当する

1. 著者名 Qureshi Zaina P., Nagai Sumimasa, Bennett Charles L.	4. 巻 5
2. 論文標題 Biosimilar Filgrastim Use in the United States vs the European Union and Japan-Why Does It Lag Behind and What Can Be Done?	5. 発行年 2019年
3. 雑誌名 JAMA Oncology	6. 最初と最後の頁 297 ~ 298
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1001/jamaoncol.2018.5636	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 該当する

1. 著者名 Thanarajasingam G., Nagai S(28番目/40人中), Habermann TM.	4. 巻 5
2. 論文標題 Beyond maximum grade: modernising the assessment and reporting of adverse events in haematological malignancies	5. 発行年 2018年
3. 雑誌名 The Lancet Haematology	6. 最初と最後の頁 e563 ~ e598
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1016/S2352-3026(18)30051-6	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 該当する

1. 著者名 Nagai Sumimasa, Ozawa Keiya	4. 巻 36
2. 論文標題 Drug approval based on randomized phase 3 trials for relapsed malignancy: analysis of oncologic drugs granted accelerated approval, publications and clinical trial databases	5. 発行年 2018年
3. 雑誌名 Investigational New Drugs	6. 最初と最後の頁 487 ~ 495
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) 10.1007/s10637-018-0572-2	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

1. 著者名 永井純正	4. 巻 54
2. 論文標題 CD19-CAR-T: FDA承認 (小児治療抵抗性B-ALL)	5. 発行年 2018年
3. 雑誌名 医薬ジャーナル	6. 最初と最後の頁 1239-1243
掲載論文のDOI (デジタルオブジェクト識別子) なし	査読の有無 無
オープンアクセス オープンアクセスではない、又はオープンアクセスが困難	国際共著 -

〔学会発表〕 計28件（うち招待講演 18件 / うち国際学会 7件）

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 京都大学のアカデミア間連携及び企業連携の取り組み
3. 学会等名 ARO協議会第10回学術集会（招待講演）
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 レギュラトリーサイエンスの観点からの本邦における細胞治療開発に関する展望と課題
3. 学会等名 第82回日本癌学会学術総会（招待講演）
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 京都大学医学部附属病院のベンチャー支援機能
3. 学会等名 Bio Japan 2023ジャパンヘルスケアベンチャーサミット（招待講演）
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 コンパニオン診断とは
3. 学会等名 日本臨床腫瘍学会教育企画部会ファイザー教育プロジェクト（招待講演）
4. 発表年 2024年

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 アカデミア創薬のためのAROによる研究者の伴走支援について
3. 学会等名 レギュラトリーサイエンス学会webシンポジウム(招待講演)
4. 発表年 2024年

1. 発表者名 永井 純正
2. 発表標題 ニーズ収集を通じた臨床現場と製造業との連携について
3. 学会等名 第2回京MED講演会・交流会(招待講演)
4. 発表年 2024年

1. 発表者名 Kensuke Matsuda, Sumimasa Nagai, Koichi Sugimoto
2. 発表標題 新興企業による薬剤開発と日欧におけるドラッグラグ・ドラッグロス:血液悪性腫瘍における解析
3. 学会等名 第21日本臨床腫瘍学会学術集会
4. 発表年 2024年

1. 発表者名 Kensuke Matsuda, Sumimasa Nagai, Koichi Sugimoto
2. 発表標題 米国で承認された血液悪性疾患への治療薬に対する、薬事承認の日欧比較
3. 学会等名 第85回日本血液学会学術集会
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 牛丸弥香, 松口 純枝, 西野良, 永井 純正
2. 発表標題 日米欧における再生医療等製品の承認審査で求められる非臨床試験に関する検討
3. 学会等名 ARO協議会第10回学術集会
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 Kensuke Matsuda, Sumimasa Nagai, Koichi Sugimoto
2. 発表標題 Approval Delay in Drugs from non-Global Company in Europe and Japan: Analysis of Novel Drugs for Hematologic Malignancies
3. 学会等名 2023 ASH (American Society of Hematology) Annual Meeting (国際学会)
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 Kensuke Matsuda, Sumimasa Nagai, Koichi Sugimoto
2. 発表標題 Disease-Specific Analysis of Drug Approval Delay in Hematologic Malignancies between Japan and the U.S. and between Europe and the U.S.
3. 学会等名 2022 American Society of Hematology Annual Meeting (国際学会)
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 Kensuke Matsuda, Sumimasa Nagai, Koichi Sugimoto
2. 発表標題 血液領域における日米間のドラッグラグの疾患別解析
3. 学会等名 第81回日本癌学会学術総会
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 イントロダクション 抗悪性腫瘍薬の開発における臨床研究中核病院・橋渡し拠点の貢献
3. 学会等名 第32回抗悪性腫瘍薬開発フォーラム（招待講演）
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 医療・福祉等二ーズ起点で次世代医療機器開発を担える起業家精神を持つ人材の育成拠点
3. 学会等名 令和4年度第1回関西医療機器産業支援ネットワーク関係機関連絡会合（招待講演）
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 シース発掘、育成における京都大学での学内外関連組織の連携について
3. 学会等名 ARO協議会第9回学術集会（招待講演）
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 京都大学医学部附属病院におけるベンチャー支援
3. 学会等名 AMED令和4年度革新的医療技術創出拠点成果報告会（招待講演）
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 京都大学拠点における異分野シーズ支援
3. 学会等名 AMED令和4年度革新的医療技術創出拠点成果報告会（招待講演）
4. 発表年 2023年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 京都大学拠点のビジョンと活動報告
3. 学会等名 令和3年度橋渡し研究戦略的推進プログラム 京都大学拠点シンポジウム
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 永井班の趣旨と提言の内容について
3. 学会等名 AMED医薬品等規制調和・評価研究事業 遺伝子パネル検査によるコンパニオン診断システムの標準化に向けた検討（永井班）成果報告会
4. 発表年 2022年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 東大拠点活動報告
3. 学会等名 東京大学先端医療シーズ開発フォーラム2021
4. 発表年 2021年

1. 発表者名 Sumimasa Nagai
2. 発表標題 Regulatory approvals of regenerative medical products in Japan
3. 学会等名 ISCT (International Society for Cell and Gene Therapy) webinar 2020 Experiences and tips for rapid approval of regenerative medicine in Japan (招待講演) (国際学会)
4. 発表年 2020年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 東大拠点活動報告
3. 学会等名 東京大学先端医療シーズ開発フォーラム2020
4. 発表年 2020年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 NGSを使用したCDx標準化への取り組み
3. 学会等名 PMDAワークショップ「がんゲノム医療実装を見据えたコンパニオン診断薬規制のあり方」(招待講演)
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 Sumimasa Nagai
2. 発表標題 Oncology Drug Approval: Challenges and Opportunities Japan Pharmaceuticals and Medical Devices Agency
3. 学会等名 IASLC 2019 World Conference on Lung Cancer (招待講演) (国際学会)
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 Sumimasa Nagai
2. 発表標題 Japan: a proactive approach to regulating cell and gene therapy in Japan
3. 学会等名 Cell & Gene Therapy, IBC Asia (招待講演) (国際学会)
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 Sumimasa Nagai
2. 発表標題 Latest regulations on biosimilars development in Japan
3. 学会等名 10th Biosimilars Asia, IBC Asia (招待講演) (国際学会)
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 Sumimasa Nagai
2. 発表標題 Precision medicine trials, regulatory issues: the way forward
3. 学会等名 Innovation and Biomarkers in Cancer Drug Development 2018 (招待講演) (国際学会)
4. 発表年 2018年

1. 発表者名 永井純正
2. 発表標題 医療イノベーションと規制のディレンマ
3. 学会等名 東京大学公開講座 (招待講演)
4. 発表年 2018年

〔図書〕 計1件

1. 著者名 永井純正	4. 発行年 2021年
2. 出版社 文光堂	5. 総ページ数 225
3. 書名 第5章がんゲノム医療の臨床 II. がんゲノムプロファイリング検査 がんゲノム病理学	

〔産業財産権〕

〔その他〕

-

6. 研究組織

氏名 (ローマ字氏名) (研究者番号)	所属研究機関・部局・職 (機関番号)	備考
---------------------------	-----------------------	----

7. 科研費を使用して開催した国際研究集会

〔国際研究集会〕 計0件

8. 本研究に関連して実施した国際共同研究の実施状況

共同研究相手国	相手方研究機関
---------	---------