

レギュラトリーサイエンスの推進について

○レギュラトリーサイエンスに関する情報の発信

- ・PMDAとしてのレギュラトリーサイエンスに関する考え方を学術論文として公表
(平成23年7月)

Tominaga T et al. Clin Pharmacol Ther. 90(1):29-31, 2011

(注)レギュラトリーサイエンス

科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学
《科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)より》

○国民の健康・安全の向上に資するレギュラトリーサイエンス研究の推進

- ・PMDAにおけるレギュラトリーサイエンス研究を、透明性・公正性を確保しつつ、円滑かつ適切に実施するための「基本的考え方」を公表(平成23年10月)
- ・上記「基本的考え方」に基づき、①再生医療等の先端技術を活用した画期的新薬・新医療機器の創出、審査の迅速化・高度化に資するガイドライン等の策定、②PMDAの三業務(審査、安全対策及び健康被害救済)の質の向上を目的としたレギュラトリーサイエンス研究を推進するための体制整備

(参考) 科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)《抜粋》

ライフイノベーションの推進においては、…重要課題達成のための施策の推進と併せて、これらの成果を医薬品や医療機器として迅速に実用化に結び付けるための仕組みを整備する必要がある。特に、我が国では、医薬品等に関する研究成果を臨床研究、治験、さらには製品化につなげていく際、国際比較で著しく開発時間を要するという問題が指摘されており、これらの問題を解決し、ライフイノベーションを促進する観点から、承認審査に係る規制・制度改革や研究開発環境の整備を推進する。

<推進方策>

- ・ 国は、レギュラトリーサイエンスを充実、強化し、医薬品、医療機器の安全性、有効性、品質評価をはじめ、科学的合理性と社会的正当性に関する根拠に基づいた審査指針や基準の策定等につなげる。
- ・ 国は、医薬品及び医療機器の承認審査を迅速かつ効率的に行うため、審査機関の体制を大幅に整備、強化するとともに、当該審査機関におけるレギュラトリーサイエンスの研究機能の充実、これらに精通した人材の養成及び確保を推進する。

Regulatory Science as a Bridge Between Science and Society

T Tominaga¹, Y Asahina¹, Y Uyama¹ and T Kondo¹

Development of innovative drugs has recently become more difficult. The case of rosiglitazone shows the extreme difficulty of making the regulatory decision that will best balance the benefits and risks of a drug. There is a high expectation that regulatory science (RS) can improve the situation. However, without user understanding of its basic characteristics, RS will not deliver what is expected.

Definition and peculiarities of RS

Several definitions of RS have been published. The European Medicines Agency (EMA) and the US Food and Drug Administration (FDA) tailored their definitions to show specific areas and the purpose of their interest.^{1,2} The FDA's definition in particular seems to put more emphasis on the development phase of the products in its purview, including drugs and medical devices: "the science of developing new tools, standards and approaches to assess the safety, efficacy, quality and performance of FDA-regulated products."¹ Although such definitions are to the point and pragmatic, the relevance of RS to society bears mentioning explicitly. Here, we propose a definition of RS as the science aimed at the optimal introduction into society of new products of science, such as discovered substances and new scientific tools and technologies as well as knowledge and information. In the field of drug regulation, RS provides a scientific basis for fitting a substance into society and to patients as a drug via the regulation process. Our definition covers a broader range of RS, including the FDA and EMA definitions, and is in line with that proposed by Uchiyama,³ who introduced the notion of RS in drug regulation in 1987.

Defined this way, the peculiarities of RS are better understood. Two traits are worth mentioning. First, RS must be relevant to the actual regulation. In other words, it must meet the demands of society and aid regulatory decisions as

its first priority. Therefore, study results in RS may not necessarily be valued in the traditional sciences, which are not directly focused on regulation. Second, data assessment in RS includes elements of prediction or estimations based on limited data. These peculiarities sometimes make RS look unscientific from the viewpoint of the traditional sciences. Correct understanding of the function and peculiarities of RS is indispensable in advancing RS. Otherwise, "RS studies" could be misdirected into issues belonging to the traditional sciences or, in more concrete terms, could result in pursuing changes in a drug's behavior that have no clinical significance, for example.

Our definition of RS also serves to view its functions in their totality. RS functions as a bridge for delivery of a drug with related information and knowledge to the target patients and society as a whole. In the process, three functions of RS are of particular importance: providing the tools for data production, providing a basis for data assessment, and balancing the various factors involved in the decision (**Figure 1**). If even one of the three components regarding a particular candidate drug is incomplete or missing, the regulatory science "bridge" cannot accomplish its role of enabling proper delivery of the drug to patients and society. These three areas are where advancement in RS is most needed, as

discussed below.

New tools for data production

The first contribution of RS to regulatory decisions is to provide tools to produce data. The importance of the tools is abundantly shown by the case of the drug thalidomide, whose teratogenicity became detectable only after it was tested in sensitive animals such as rabbits.⁴ Development of reliable tools for data production is a valuable practice in RS.

In recent years, the utilities of new tools such as biomarkers, adaptive designs, and model-based systems to improve efficiency of drug development have been explored.¹ In developing these new types of tools based on the latest advancement in related sciences, collaboration among all stakeholders, including those in academia, industry, and regulatory agencies, is especially important. For example, regarding the use of biomarkers in drug development, Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) has conducted active formal and informal discussions with all stakeholders both within the PMDA and at conferences and has reached out internationally to other regulatory agencies such as the FDA and the EMA. Regulatory agencies should remain current with the latest science to establish tools that are widely acceptable in the field of drug regulation.

Data assessment

One of the major responsibilities of regulatory agencies is to assess submitted data. The second major contribution of RS takes place here. Usually, reviewers predict and evaluate a candidate drug's effects on the sample/patient population and its impact on society as a whole. This process involves many stages of evaluation, from direct assessment of data to more indirect appraisal of social impacts.

The data are evaluated to determine how much relevance they have to a drug's potential impact on patients or the society. A sizable difference in a

¹Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, Tokyo, Japan. Correspondence: T Tominaga (tominaga-toshiyoshi@pmda.go.jp)

doi:10.1038/clpt.2011.89

drug's pharmacokinetic profiles between two populations can be judged to be of little significance if the drug has a wide therapeutic range and safety margin, although the finding may be interesting in terms of the traditional science. On the other hand, a finding that there is no difference in pharmacokinetic profiles between populations, if used as a basis of the drug's bridging strategy according to the International Conference on Harmonisation of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use (ICH) E5 guideline,⁵ would contribute to confidence in the extrapolations of the data.

One of the challenges for the regulators, and hence for RS, is improving the accuracy of evaluation. For instance, the current trend of global drug development necessitates basing an optimal dose on foreign clinical data⁶ because it has become difficult to conduct a dose-finding study in each region. Clearly RS is tasked with establishing a better extrapolating method to determine the optimal dose from foreign populations' data. To meet this challenge, Japan's Ministry of Health Labor and Welfare (MHLW) and the PMDA, along with the Chinese and Korean drug regulatory authorities (State FDA and Korea FDA), organized a research group in 2008 to study ethnic factors in three East Asian populations and Caucasians.⁷ The results of the research will provide RS with insights into ethnic factors, which should help to establish better evaluation techniques for global clinical data and more effective drug development strategies for East Asian populations.

Another challenge is that evaluation must often be made using limited data. For example, sample sizes in clinical trials usually cannot be large enough to afford the level of statistical exactness needed to examine a safety risk with an extremely low event ratio (e.g., Stevens-Johnson syndrome). In recent Japanese experience, data from approximately 10,000 young patients in the postmarket epidemiological study of oseltamivir phosphate were not sufficient to define a causal relationship between the substance and abnormal behaviors with statistical significance. Based on the

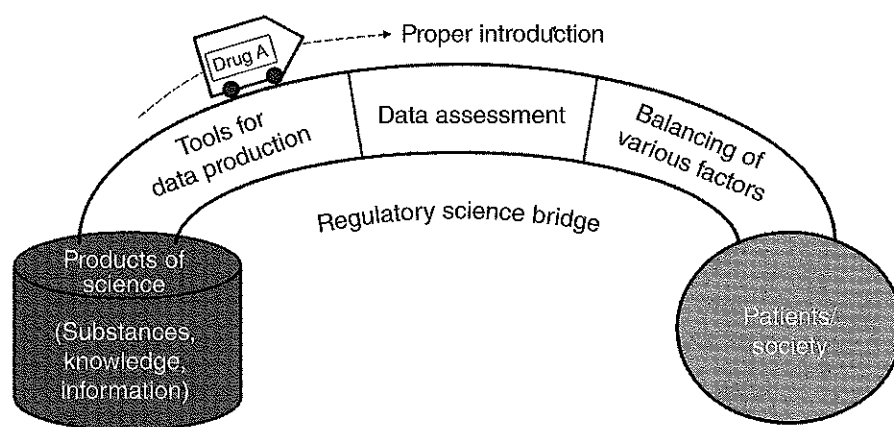


Figure 1 The regulatory science "bridge" as a means to introduce products of science to patients and to society. Regulatory science performs three functions: providing tools for data production, a basis for data assessment, and methods for balancing various factors. All three functions are indispensable to a proper introduction of a new product of science (here, "Drug A").

tendency the study found, however, the MHLW considered whether to regulate the flu drug's use in minors over 10 years of age more strictly and decided not to. Advances in RS are expected to provide a scientific basis for making this type of difficult regulatory decision.

Balancing various factors

A final component of RS is how we should, or can, take so many factors into consideration for regulatory decisions. The case of rosiglitazone,^{8,9} mentioned in the introductory paragraph, is not the only example of the difficulty of striking a good balance between the benefits and risks of drugs. The final stage of the new drug application review is one of the best examples of this process. As suggested by a 2008 PMDA guideline,¹⁰ drug reviewers are required to take multiple viewpoints regarding the drug candidate's benefit–risk balance, data reliability, development strategy, efficacy evidence, risk signals, risk management, and social needs. The EMA recently published a report on the current status of quantitative as well as qualitative benefit–risk assessment.¹¹ These efforts show that the regulators' needs and the expectation of RS to provide dependable methods of balancing are apparent.

To meet this multidisciplinary challenge, what is expected of RS is to provide an arena of discussion where scientists from various fields can gather

and discuss factors that can influence regulatory decisions. When the regulatory decision-making process of balancing various factors is understood and critically reviewed by a wide audience, a consensus should emerge regarding the future direction of regulation.

Conclusion

In advancing RS on the three fronts described above—providing the tools for data production, providing a basis for data assessment, and balancing the various factors involved in the decision—the role of the regulatory authorities should be emphasized. The agencies should make their decision-making process transparent so that those working in the fields of traditional sciences and involved in medical practice, as well as those in drug development, can understand the character of RS and what is required for regulatory approval. Further collaboration among all stakeholders is indispensable to building a stronger and more complete RS bridge, as shown in **Figure 1**.

In October 2010, the Regulatory Science Research Division of the PMDA was established with the aim of enhancing the transparency of the agency's decision-making policy and strengthening in-house research activities on RS. The Society for Regulatory Science of Medical Products, also established in October 2010, facilitates open discussion of RS

among academia, industry, and regulatory agencies. These efforts in Japan will contribute to advancing the field.

At the PMDA, we are making efforts to promote RS collaboratively for better public health and look forward to reporting our achievements in the near future.

ACKNOWLEDGMENTS

The authors are very grateful to Yuki Ando for her editorial assistance.

CONFLICT OF INTEREST

The authors declared no conflict of interest.

© 2011 ASCPT

1. US Food and Drug Administration. Advancing Regulatory Science for Public Health <<http://www.fda.gov/downloads/ScienceResearch/SpecialTopics/RegulatoryScience/UCM228444.pdf>> (October 2010).
2. European Medicines Agency. Regulatory Science <http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/special_topics/general/general_content_000479.jsp&murl=menus/special_topics/special_topics.jsp&mid=WC0b01ac058026369c>.
3. Uchiyama, M. Regulatory science. *PDA J. Pharm. Sci. Technol.* **49**, 185–187 (1995).
4. Somers, G.S. Thalidomide and congenital abnormalities. *Lancet* **1**, 912–913 (1962).
5. International Conference on Harmonisation. Ethnic Factors in the Acceptability of Foreign Clinical Data: E5 (R1) <http://www.ich.org/fileadmin/Public_Web_Site/ICH_Products/Guidelines/Efficacy/E5_R1/Step4/E5_R1_Guideline.pdf> (11 March 1998).
6. Ichimaru, K., Toyoshima, S. & Uyama, Y. Effective global drug development strategy for obtaining regulatory approval in Japan in the context of ethnicity-related drug response factors. *Clin. Pharmacol. Ther.* **87**, 362–366 (2010).
7. Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, Japan. China/Japan/Korea Tripartite Cooperation <<http://www.pmda.go.jp/english/international/cooperation.html>> (2010).
8. Blind, E., Dunder, K., de Graeff, P.A. & Abadie, E. Rosiglitazone: a European regulatory perspective. *Diabetologia* **54**, 213–218 (2011).
9. Woodcock, J., Sharfstein, J.M. & Hamburg, M. Regulatory action on rosiglitazone by the U.S. Food and Drug Administration. *N. Engl. J. Med.* **363**, 1489–1491 (2010).
10. Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, Japan. Points to Be Considered by the Review Staff Involved in the Evaluation Process of New Drug <<http://www.pmda.go.jp/english/service/pdf/points.pdf>> (17 April 2008).
11. European Medicines Agency. Benefit-risk methodology project work package 2 report: applicability of current tools and processes for regulatory benefit-risk assessment <http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2010/10/WC500097750.pdf> (31 August 2010).

科学と社会をつなぐ橋としてのレギュラトリー・サイエンス

” Regulatory Science as a Bridge Between Science and Society”

Clinical Pharmacology and Therapeutics 90, 29-31 (2011)

著者：富永俊義、宇山佳明、朝比奈泰子、近藤達也（医薬品医療機器総合機構）

序論

革新的医薬品の開発は、近年困難になってきている。ロシグリタゾンの例は、規制判断においてリスクとベネフィットのバランスを最適化させることの難しさを示している。こういった状況の解決策としてレギュラトリー・サイエンスへの期待が高まってきている。しかし、その性格についての理解を欠いては、レギュラトリー・サイエンスは、その期待される産物を生まない。

1. レギュラトリー・サイエンスの定義とその特徴

PMDA はレギュラトリー・サイエンスを「科学の成果物や新技術を最適な形で社会に適合させるための科学」と定義する。そしてその特徴として、①レギュラトリー・サイエンスは薬事規制に寄与することにより社会に貢献する、②レギュラトリー・サイエンスによるデータ評価の視点は、既存の科学とは異なり、限られたデータに基づく予測を含む、という2点をあげる。レギュラトリー・サイエンスは、以下の3つの主要な機能を有する。これら（レギュラトリー・サイエンス・ブリッジ）について論じたい。

2. データ作成のための新ツール開発

サリドマイドの催奇形性が非齧歯動物による実験法が考案されるまで検出できなかったように、データ作成のための新ツール開発は重要である。最近ではバイオマーカーやアダプティブデザインあるいはモデルによる予測といった新しいツールが医薬品開発に利用されつつあるが、こういったデータ作成のための新ツール開発やその評価（データの評価を含む）にむけては、規制当局・業界・アカデミアの協業が重要である。また国際的にも各国規制当局はお互いに協力しあうべきである。

3. データ評価

医薬品の承認申請時に提出されるデータの適正な評価に貢献することもレギュラトリー・サイエンスの責任のひとつといえる。このデータ評価にあたっては、最終的にはその医薬品が患者や社会に与える影響の大きさを見極める必要があり、例えば、仮に既存の科学の考え方では興味深い薬物速度論（PK）的性質であっても、それが薬事規制に影響しないのであればレギュラトリー・サイエンスでは重要とはみなされない。医薬品のグローバル開発が加速するなかで、ある民族におけるデータを用いて他民族における最適の用法・用量

を設定する等はレギュラトリー・サイエンスに課せられた課題の好例である。このようなレギュラトリー・サイエンスを推進するために、日本の厚労省・PMDA は、民族差解明のための日中韓共同研究を推進している。

4. 多要素のバランス

レギュラトリー・サイエンスの最後の要素は、規制判断において、どのように多くの要素のバランスを取るかである。新薬承認審査の最終段階がこの好例で、PMDA では、「新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項」において「医薬品候補についてはベネフィット・リスク・バランス、データ信頼性、開発戦略、有効性及び安全性、社会ニーズなど複数の要因を考慮して判断すべき」としている。様々な要素のバランスを考慮するための手法を探ることもレギュラトリー・サイエンス研究であり、手法のひとつとして規制判断プロセスの透明化を図り、幅広い関係者による議論を促進していくことが期待されている。

5. 結論

上述のレギュラトリー・サイエンスにおける3つの側面を推進していくためには、医薬品開発担当者のみならず、既存科学の研究者や臨床現場の関係者がこのようなレギュラトリー・サイエンスの特徴や医薬品の承認がどのように行われているのかを理解できるよう、規制当局が規制判断プロセスの透明化を図ることが重要である。さまざまなステークホルダーが協力することで「レギュラトリー・サイエンス・ブリッジ」をより堅固にすることができる。PMDA においても今後さらにレギュラトリー・サイエンスの発展にむけた取り組みを行っていききたい。

(著者による注：本論文では、医薬品が世に出るにあたってのレギュラトリー・サイエンスの役割を論じているが、この関係は、医療機器に関しても当てはまるものである。)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構における
レギュラトリーサイエンス研究に関する基本的考え方

平成 23 年 10 月 11 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）は、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することを「理念」としており、医薬品、医療機器等の開発から使用に至るまでの全般にわたり、これら三業務の質の向上について、不断の努力が求められている。

審査、安全対策及び健康被害救済の三業務の質を更に向上させるためには、最新の科学的知見を取り入れながら、より明確な根拠に基づき、的確な予測、評価及び判断を行う必要があり、レギュラトリーサイエンス研究の推進が重要である。レギュラトリーサイエンスとは、『科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学』（総合科学技術会議 『諮問第 11 号「科学技術に関する基本政策について」に対する答申』（平成 22 年 12 月 24 日））とされている。今後、PMDA が国民の健康を守るという視点に立って、医薬品及び医療機器に関するレギュラトリーサイエンス研究を積極的に推進し、その成果を PMDA の三業務の遂行に役立てることで、PMDA 及び日本の薬事行政に対する国民の信頼を高めるためだけでなく、国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たすことにもつながると考えられる。

そこで、今般、PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究について、透明性と公正性を確保しつつ、円滑かつ適切に研究を実施するための基本的な考え方を定めたものである。

PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究については、関連する法令や疫学研究の倫理指針（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 1 号）等の関連する指針を遵守するほか、下記の基本的ルールに沿って実施するものとする。

記

I. 適用範囲

この基本的ルールは、PMDA の役職員が実施する研究を対象とする。ただし、役職員が外部機関等に所属して行う研究であって、当該所属機関名のみを明記し、法令を遵守した上で実施する研究は除く。

II. 研究の目的

PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究の目的は、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正、的確、迅速に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することである。また、これらの研究を推進することは、より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けること、有効性及び安全性について、科学的視点で適格な判断を行うこと、国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たすことにもつながると期待できる。

上記以外の目的に沿ったレギュラトリーサイエンス研究（例：Health Technology Assessment、感染症対策等）については、関連する外部機関との共同研究等を通じて、PMDA として期待される役割を果たしていくこととする。

なお、レギュラトリーサイエンスがデータに基づく予測、評価、調和の科学であることに留意すれば、PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究は、仮説検証型の研究のみにとどまらず、一定の事実、データ、結果に基づき、あるべき方向性や考え方を示し、それについて様々な議論を誘導し、展開しながら一定の方向に収斂させることを目指す側面があると考えられる。

III. 委員会の設置

PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究の実施に当たっては、一般の学術研究と同様、第三者による再現可能性を担保するという原則が尊重されなければならない。それと同時に、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第 13 条に規定される秘密保持義務はもちろん、個人情報や知的財産を適切に保護することも、研究以前の問題として、PMDA の役職員に要求されるコンプライアンスの重要な要素である。また、研究の公正性、信頼性を確保するために、研究を実施する職員等の利益相反についても適正に管理することが求められる。

このため、研究遂行上の課題や適切性については、外部有識者を含めたレギュラトリーサイエンス研究評価委員会（仮称）（以下「委員会」という。）の意見を聞いた上で検討し、最終的に理事長が判断することとする。

IV. 研究と業務との関連

PMDA で実施するレギュラトリーサイエンス研究は、次の 2 つに区分し、業務としての研究

活動の他、様々な研究課題に対する自由な発想での自主的な取組についても推奨する。

- ① 指定研究：業務として実施する研究であって、委員会の意見を聞いた上で、理事長が指定するもの。
- ② 自主研究：指定研究以外のものであって、役職員が自ら研究課題を考え、自主的に業務時間外に実施するもの。

指定研究については、役職員の意見も踏まえて課題を整理した上で、研究の目的、PMDAの三業務との関連性、研究方法・データの取扱いの適切性、必要性等を勘案して、委員会の意見を聴取した上で、理事長が指定するものとする。

なお、指定研究については、そのエフォート率（業務時間に占める割合）をあらかじめ指定する。自主研究についても、その実施を推奨するが、業務としては取り扱わない。

V. 研究において取扱うデータと対応方法

PMDAにおけるレギュラトリーサイエンス研究を実施する上では、医薬品・医療機器の審査報告書や申請資料、各種安全対策の実施に関する資料、健康被害救済の事例、業務報告等に含まれる様々なデータを取り扱うことが想定される。

研究で用いる主なデータは、公表・開示可能データ（公表論文、PMDA ホームページで公開されている情報等、一般に向けて公表されているデータ及び情報開示請求があれば公開される情報）であるが、一部には不開示データ（PMDA が業務の過程で入手するデータのうち、法令により外部に公開できない情報）が含まれる場合がある。

一般の科学研究においては、原則として不開示データが用いられることはないが、PMDA に集まるデータを利用して様々な解析を実施することで、開発・審査の質の向上や効率化をはじめとする公共の利益に資することがあると考えられる。したがって、不開示データについても研究の対象となりうるが、その取扱いについては、慎重を期す必要がある。

上記を踏まえ、公表・開示可能データについては、結果の公表に当たって、情報源を必ず明記することを前提として、指定研究及び自主研究のいずれにおいても利用可能とする。一方、不開示データについては、指定研究においてのみ、その利用を可とし、自主研究での利用は禁止するとともに、その研究結果の公表に当たって、個別の品目や企業などが特定されないよう配慮する。不開示データを用いた指定研究については、関係者から理解を得るとともに、学術研究としての質を担保するため、用いたデータの概略については、第三者がアクセスできるよう PMDA のホームページ等で可能な限り公表することとする。

なお、その結果の公表により品目、企業、医療機関名等が特定されるものについては、あらかじめデータの提出元に照会し、承諾が得られた場合のみ、研究を実施することとする。ただし、当該照会は、文書をもって行うとともに、不開示データの利用を拒否した場合においても不利益を与えるものではないことを明記することとする。

VI. 研究における手続き

(1) 研究の開始

指定研究については、理事長による指定後に研究を開始するものとする。また、自主研究については、所属部への研究計画の届出をもって研究を開始することができるものとする。

(2) 研究の実施体制

- ① 指定研究については、役職員の専門性等を考慮して、研究課題ごとにグループを設けるとともに、主任研究者を指定する。主任研究者は研究の適切な遂行やルール遵守の徹底に努めるとともに、グループ内の研究者の研究活動を管理監督するものとする。
自主研究においても、研究課題ごとに主任研究者を定め、ルール遵守の徹底を図る。
- ② 指定研究については、定期的にデータの取扱いの適切性や研究の進行状況等を PMDA で確認する。
- ③ 自主研究については、データの取扱いの適切性等（公表・開示可能データのみで、不開示データが含まれていないか）を公表前に PMDA で確認する。
- ④ 研究の遂行について、重大な問題があった場合には、遅滞なく、理事長に報告するとともに、適宜、委員会において内容を検討する。

(3) 外部機関との共同研究

- ① 指定研究：指定研究のうち、外部機関との共同研究を実施するものについては、研究目的達成のための共同研究の必要性、当該外部機関の妥当性等を判断するものとする。なお、研究過程で不開示データを利用する外部機関との共同研究においては、外部機関の研究者が個別の品目あるいは個別の企業が特定できる原資料にアクセスしないよう、主任研究者が管理監督を行う。
- ② 自主研究：自主研究においては、外部機関との共同研究は、必要に応じて実施可能である。ただし、研究計画にその旨を明記するものとする。

(4) 研究結果の公表

研究結果については、透明性を確保する観点からも指定研究については公表を原則とし、自主研究についても公表を推奨する。公表方法としては、PMDA としての業務報告書での公表、関連学会での講演、国内外の学術雑誌等への投稿等が考えられる。それぞれの研究課題ごとに適切な方法によって公表することが原則であるが、国際的な貢献及び一定の質の担保という見地から、英文で査読付き学術雑誌へ投稿することも考慮されるべきである。なお、研究結果の公表に当たっては、以下の点に留意する。

- ① 指定研究については、データの取扱い、公表方法や内容の適切性を確認したのち、公表の可否を理事長が判断する。
- ② 自主研究については、公表に当たって、主任研究者の所属部長が、研究課及び関連する分野リーダーの意見も踏まえてデータの取扱いの適切性等を確認する（内容等につ

いては、特段の場合を除き関与しない)。

- ③ すべての研究結果は、PMDA として一元的に集約し、定期的に委員会へ報告する。
- ④ 学術雑誌、学会等における公表時には、原則として、PMDA の公式見解ではない旨を統一的なフォーマットで付記する。

(5) 研究費

PMDA におけるレギュラトリーサイエンス研究を円滑かつ適切に実施し、かつ安定的に発展させるためには、PMDA 自らの予算で、必要な研究費を確保することが重要である。また、厚生労働省等の科学研究費補助金等の外部競争的資金についても、積極的に活用できるよう取り組んでいくことが必要である。このため、利益相反の管理も含めて、研究予算を適切に執行するための体制整備にも、早急に取り組んでいく必要がある。

また、指定研究については、研究遂行に必要な費用とともに、成果発表のための学会出張費、査読付き学術雑誌への投稿を前提として、公表に必要な費用（英文校正・校閲にかかる費用、論文投稿料・掲載料及び別刷代）を PMDA が負担することとする。

自主研究についても、主任研究者からの申請に基づき、研究の目的、PMDA の三業務との関連性、研究の必要性等を PMDA 内で審査した上で、国民の健康・安全の向上に資すると考えられるものについては、1 研究課題ごとに助成額の上限を設けた上で公表に必要な費用（英文校正・校閲にかかる費用、論文投稿料・掲載料及び別刷代）を予算の範囲内で PMDA が助成することとする。なお、自主研究に関して、当該研究者が、関連する研究において外部から研究費の助成等を受けている場合には、助成の対象としない。

レギュラトリーサイエンス研究評価委員会

(目的)

1. レギュラトリーサイエンス研究評価委員会は、PMDAにおけるレギュラトリーサイエンス研究が透明性と公正性を確保しつつ、円滑かつ適切に実施されるよう、理事長の諮問や自らの発議に応じて、必要な意見を述べることを目的とする。

(組織)

2. 委員会は、次に掲げる委員をもって組織する。
 - (1) 医学、歯学、薬学その他の医薬品又は医療機器に関する専門的知識を有する者 4名（うち少なくとも1名は、薬事分野でのレギュラトリーサイエンス研究に関する有識者）
 - (2) 知的所有権等の有識者 1名
 - (3) 医薬品及び医療機器の関係団体に所属する者 2名（医薬品1名、医療機器1名）
 - (4) 上記以外の有識者 1名
 - (5) PMDAの役職員 3名

(業務)

3. 委員会では次に掲げる事項について調査審議を行い、その結果を理事長に報告する。
 - (1) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構で実施するレギュラトリーサイエンス研究のうち、個々の指定研究の実施に関すること
 - (2) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第十三条の規定に基づき、研究において取り扱うデータの適正使用に関すること
 - (3) 「厚生労働科学研究における利益相反（COI）の管理に関する指針」（平成20年3月31日科発第0331001号厚生科学課長決定）におけるCOIの審査及び管理に関すること
 - (4) その他、レギュラトリーサイエンス研究を実施するために必要な方策に関すること