

【医薬品関係】**1. 承認審査におけるポイントを整理することについて**

多数の疾患において臨床評価ガイドラインが作成・公表されているが、その改訂頻度についてはバラツキがある。また、診療ガイドラインは承認品目が出てから作成に取りかかることが多い。今後は、審査時にポイントとなる事項について、「現時点の考え方」を予め PMDA から提示していきたいと考えており、学会の活用方法や専門家の選定・活用方法について意見交換したい。

2. 有効性評価の主要評価項目について

抗悪性腫瘍剤は、根治困難な疾患が多く、また、医療現場でも全生存期間（OS）の情報が重要視されており、有効性評価に際しては OS を用いることが重要と考えている。しかし、現実には奏効率、無増悪生存期間（PFS）、増殖抑制期間（TTP）を主要評価項目とした試験結果をもって申請される品目があり、PMDA としても当該データをもって有効性が期待できると判断し、承認された品目も存在する。抗悪性腫瘍剤における主要評価項目の考え方について、意見を聴きたい。

3. 個別化医療の進展に対応するための承認審査等について

近年、遺伝子レベルで癌のメカニズムが研究されており、癌細胞特異的に発現している遺伝子又は遺伝子変異に着目した医薬品がある（例：①HER2 過剰発現が確認された転移性乳癌、胃癌 ハーセプチン注射用（トラスツズマブ（遺伝子組換え）） ②ALK 融合遺伝子陽性 NSCLC ザーコリカプセル（クリゾチニブ））。抗悪性腫瘍剤の治験については臓器別実施されているが、このような癌細胞特異的な機序を有する医薬品については、個々の患者数も少なく、従来どおりの治験デザイン・手法では医薬品開発効率性の観点から、必ずしも適切と考えられないケースもあるのではないかと考える。当該遺伝子発現、遺伝子変異を標的とした医薬品における試験デザインの考え方等、承認審査・対面助言に必要な知見等について意見を聴きたい。

【医療機器関係】

1. 診断等の機能を有するソフトウェア単体の評価のあり方

ソフトウェアをインストールすることにより、既存のハードウェア端末が医療機器の機能を果たしてしまうが、ソフトウェアとして流通する場合、薬事法で規制できない状況にあり、制度の見直しによりソフトウェアを医療器と見なすこととなった場合、どのように評価すべきか。

2. PET 用の新規体内診断薬の合成装置の評価のあり方

PET 用の体内診断薬は、FDG（フルオロデオキシグルコース）のように既存の薬物を放射化ラベルしたものだけでなく、 β アミロイドに特異的に結合して診断するようにデザインされた新規有効成分が開発されている。放射化ラベルの半減期の問題から、薬剤として供給せず当該薬剤を合成する「医薬品合成器」として合成能だけ評価すべきと考えている開発者がいるが、薬剤の有効性及び安全性を評価した上で、当該薬剤を合成できる機器としての性能を評価するべきと考えるが、臨床現場で調整する薬剤の合成器についてどのように考えているか。

3. 既存の機器でバリデートできない機器の評価のあり方

胎児心電計のように、確立された既存の測定計が存在しない場合、新規に開発された製品の妥当性を検証することができないが、このような製品の場合、正確性及び臨床的有用性については比較検証ができないため、単に機械として測定できるということをもって評価としていいか。

4. リスクベネフィット評価が困難なものの評価のあり方

美容整形に使用される医療機器のように、得られるベネフィットに対する価値観の違う製品の場合、リスクベネフィットの評価が困難な場合には、単純にリスクのみの評価を行い、当該リスクを前提にインフォームドコンセントによる使用を想定した承認することがどうか。

5. 埋込み型整形インプラント分野の後発医療機器の評価のあり方

整形外科インプラント分野の後発医療機器区分で申請される医療機器は、性能試験の多くが省略されるケースが少なくない。検証データを確認しなくても臨床現場では問題ないか？また、性能試験を省略して承認する場合、期待できる能力を規定する品目仕様の設定ができなくなることが少なくないが、形状と素材のみ特定すれば、製品として保証される能力（性能規格）がなくても、臨床現場としては問題ないか？

【細胞組織加工製品関係】

1. 業界（アカデミア含む）とのコミュニケーション不足解消

PMDA がコメントしていない話が学会等で語られることがある（例：動物血清や feeder cell を使用して幹細胞を培養・調製した細胞を使用することを PMDA は認めない）。このような話題について、科学委員会委員等から事情を聴取し、担当部から説明をすることでコミュニケーション不足から生じている誤解を解きたい。