

PMDAの次世代審査・相談体制 に関する説明会

2013年9月10日
タワーホール船堀

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取り組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

健康・医療戦略

(平成25年6月14日内閣官房長官・厚生労働大臣・関係大臣申合せ)

基本理念(3つの理念)

- 健康長寿社会の実現
- 経済成長への寄与
- 世界への貢献

そのため
の戦略

PMDAの強化

- 薬事戦略相談室の体制強化
- 創薬支援ネットワークと緊密に連携する相談事業の整備・強化
- **PMDA自らが臨床データ等を活用した解析や研究を推進**
- 大規模医療情報データベースを量・質ともに拡充して早期に1,000万人規模のデータ蓄積を達成
- PMDAの役割にふさわしい財政基盤の検討と必要な措置

※日本再興戦略よりもさらに踏み込んだ提言や日本再興戦略では取り上げられていない項目が含まれている

第3期中期計画の体制強化の方向性

(新薬審査に係る主な事項)

有効で安全な医薬品・医療機器・再生医療等製品の迅速な実用化に必要な体制強化
～PMDAの体制を質・量両面で強化～

○審査ラグ「0」の実現

- 審査の更なる迅速化(新医薬品の総審査期間を80%マイル値で12ヶ月(通常)等を目指す)
- 事前評価相談の充実(実質的な審査の前倒し)
- 海外査察体制(GMP等調査)の充実

○開発ラグ解消の支援

- 薬事戦略相談の拡充
- 治験相談の拡充

○~~審査・相談の高度化と基盤となるレギュラトリーサイエンス研究・人材育成の強化~~

- ~~先進的な解析・予測評価手法を用いた審査・相談体制の構築~~
- ~~科学委員会の積極的活用等を通じたレギュラトリーサイエンス研究・人材育成の強化~~

○さらなる国際化への対応

- 国際ビジョン・ロードマップ達成による人材育成の強化・情報発信等の推進
- 欧米諸国等の審査当局とのハーモナイゼーションの推進及び連携強化
- アジア諸国からの研修生の受入強化及びアジア諸国の審査当局との連携強化

○薬事法改正への対応

- 再生医療等製品への条件及び期限付承認制度導入による相談・承認申請件数増加への対応

大前提：欧米並の体制と優秀な人材の確保

【参考】医薬品・医療機器規制当局の審査・安全対策関係人員の国際比較^{注1)}

日本	米国	欧州		
PMDA ^{注2)} /厚生労働省 636人 [2013.4]	食品医薬品庁(FDA) 約5,400人 [2010]	欧州医薬品庁(EMA) 約750人 [2011]	主なEU加盟規制当局 英国 約900人	ドイツ 約1,050人

注1) 各組織の所掌範囲は異なるので、単純比較には限界がある5 注2) PMDAの全職員数は708人[2013.4]

先進的な解析・予測評価手法の活用

例：モデリング & シミュレーション (M&S)

多様なデータ・情報に基づいて数学的モデルを構築し、数学的・統計的な処理により結果を予測する手法。

薬物動態 (PK)
薬力学 (PD)

有効性
安全性
⋮

数学的
モデル
の構築

コンピューターにより
各要因を変動

疑似的に
試験結果
を予測

活用例と期待される効果

臨床試験成功率を予測
→ 早期の開発中止の判断
により無駄な投資を回避

開発の効率化

- 動物試験のPKデータからヒトPKを予測して I 相試験の用量を決定
 - 試験デザインの各種要因 (患者選択基準、例数、試験期間等) について、試験成功に必要な範囲を予測
 - 薬物相互作用や小児・高齢者等での用量予測 ... etc.
- 開発成功率向上、開発期間短縮

承認申請審査において

- 最適な使用法を検討
- 製販後の有効性・安全性の予測向上

→ ベネフィット/リスク比の最大化

新薬への
アクセス
迅速化

国民の利益向上

データ蓄積・利用のイメージ

承認申請時

電子データの提出

- ◆ 非臨床試験及び臨床試験データの電子データの提出

電子データの専用サーバへの保管とデータベースへの登録



データ閲覧ソフトの支援によるデータの視覚化、解析

承認審査

電子データの利用

- ◆ 視覚化された電子データに各審査員がアクセス可能
- ◆ 個別症例データ等の容易な確認、データの掘り下げ
- ◆ 内部解析(*)の実施
* 当面は部分集団解析等の簡易なもの



...



内部解析結果に基づく科学的議論・意思決定

蓄積されたデータの利用

品目横断的な情報の統合

- ◆ 薬効群毎の網羅的な情報の審査・相談への活用
- ◆ 特定テーマの内部での検討例) M&Sの積極的利用
 - ー 小児用量の検討
 - ー 疾患モデルの作成
 - ー 評価指標の開発、等
- ◆ ガイドライン作成への利用



全ての品目の情報入手できる審査当局だからできることも

審査・相談、GL作成による開発効率化への貢献
ドライラボでのさらなる分析

申請データの利用例と期待される効果①

臨床分野： 日本人データの検討、外国人データとの比較 等

テーマ	その効果
薬物相互作用のモデルによる予測(例: in vitroからin vivoでのPK予測) 用量－反応モデルの構築と至適用量の予測 (例: 小児用量、国際共同治験での日本人至適用量など) 適切な評価指標がない疾患領域における新規評価指標の開発 (例: アルツハイマー病 など) 有効性又は安全性に影響を与える因子の同定 (例: うつ病薬のプラセボ反応性)	•試験成功率上昇 •不必要な試験の回避 •審査でのモデルの妥当性確認、照会事項低減
まれな有害事象に関するクラスエフェクトの検討 (例: 心不全、自殺など) 血中濃度－QT関係のモデル化によるQT延長予測	•安全性予測向上等

申請データの利用例と期待される効果②

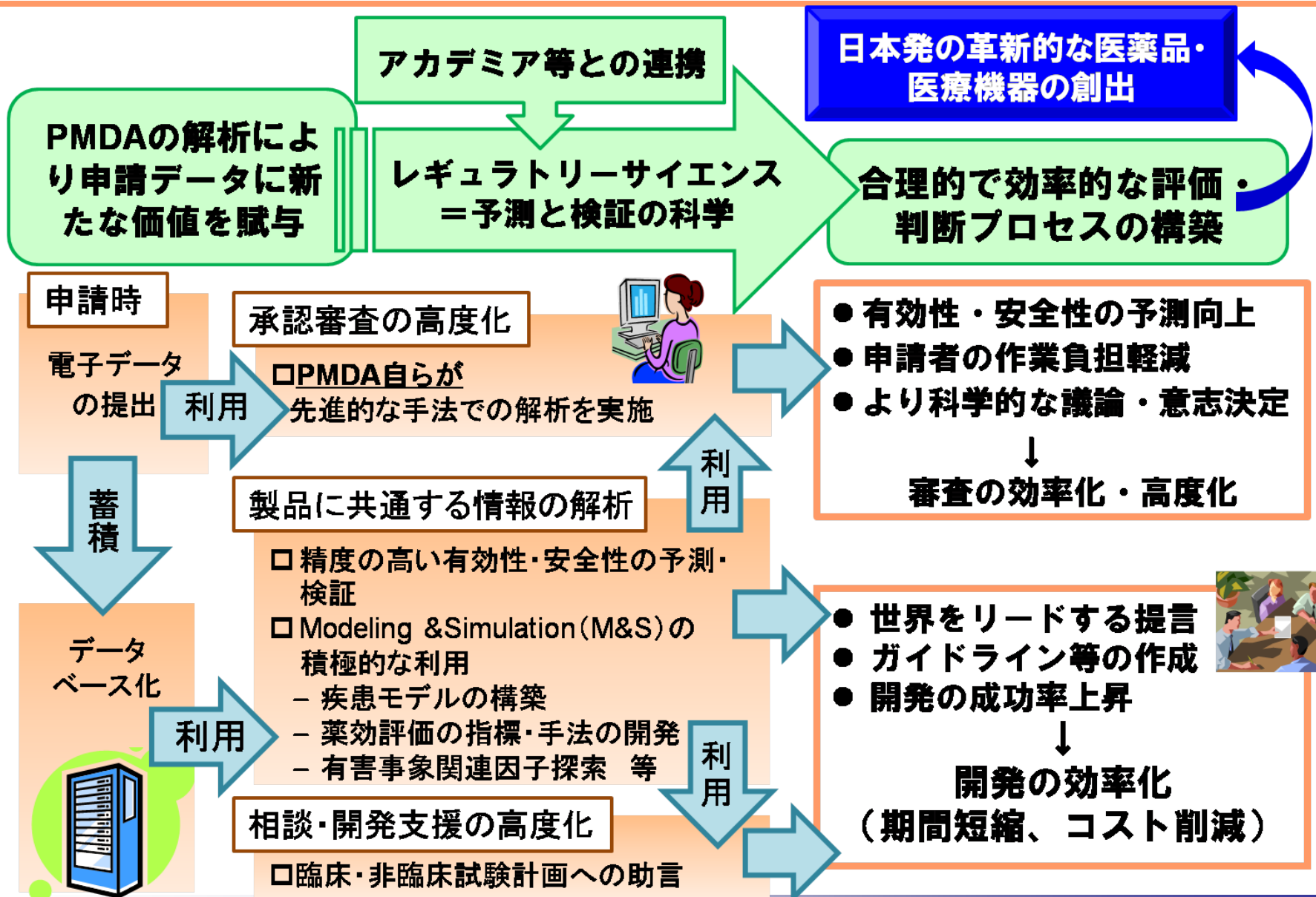
品質分野

テーマ	その効果
Quality by Designへの利用 例：NIRスペクトルを利用した製剤中の有効成分含量、結晶多形のRTRT 例：品質デザインスペースへの利用	品質恒常性の確保
安定性試験結果に基づく長期安定性の予測	

非臨床分野

テーマ	その効果
毒性データベースに基づく長期毒性の予測及びヒトでの安全性予測	安全性の予測向上 等
トキシコゲノミクスデータを活用した毒性予測	

先進的な解析・予測評価手法を用いた審査・相談体制の概略



海外での臨床電子データ利用状況

米国

FDA

- 医薬品開発の効率化を目指し、約10年前からM&Sの利用を推進。
- 2009年から、End of Phase II Meetingにおいて、開発前期データの解析に基づき開発後期の試験デザインについて助言。
- 関連ガイダンス、品目横断的な申請データに基づく複数の疾患モデルを公表



新薬承認数が増加
2001-2010: **22.9**件/年
↓
2011-2012: **35**件/年

欧州

EMA

- 2013年1月からM&Sを相談・審査に導入。
- 2014年から臨床試験データ公表へ。
→ M&Sへの利用推進が期待される

業界・アカデミア

- 2011年コンソーシアム設立。疾患モデルライブラリー構築へ。

中国

- 2013年6月に、CFDAの医薬品評価センターは、臨床試験データ標準の統一に向けてCDISC (FDAが採用している臨床電子データ標準) 利用の検討を開始。
- 2013年7月には、医薬品臨床試験データの提出、データベース化に向けた5カ年計画を発表。

次世代審査・相談体制準備室の設置

H25年9月1日設置

理事(技監)

Steering Committee

関係役員、幹部

サポートチーム

関係部長、担当者

次世代審査・相談体制準備室

室長 鹿野真弓(併任)

規格基準部

特命主任専門員 但野恭一

専門員 佐藤正延

専門員 新田晃子

審査マネジメント部

部長 吉田易範

ITパート

審査マネジメント部 審査企画課長 宇山佳明

情報統括化推進室 主任専門員 平本成彦

審査マネジメント部 専門員 渡邊 卓

Businessパート

スペシャリスト 安藤友紀(生物統計)

スペシャリスト 永井尚美(ADME・臨床薬理)

スペシャリスト 中林哲夫(臨床)

規格基準部 専門員 佐藤正延

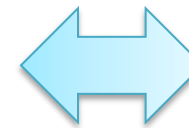
新薬二部 専門員 菅野弘美(生物統計)

新薬三部 主任専門員 飛田英祐(生物統計)

新薬定期意見交換会

審査WG

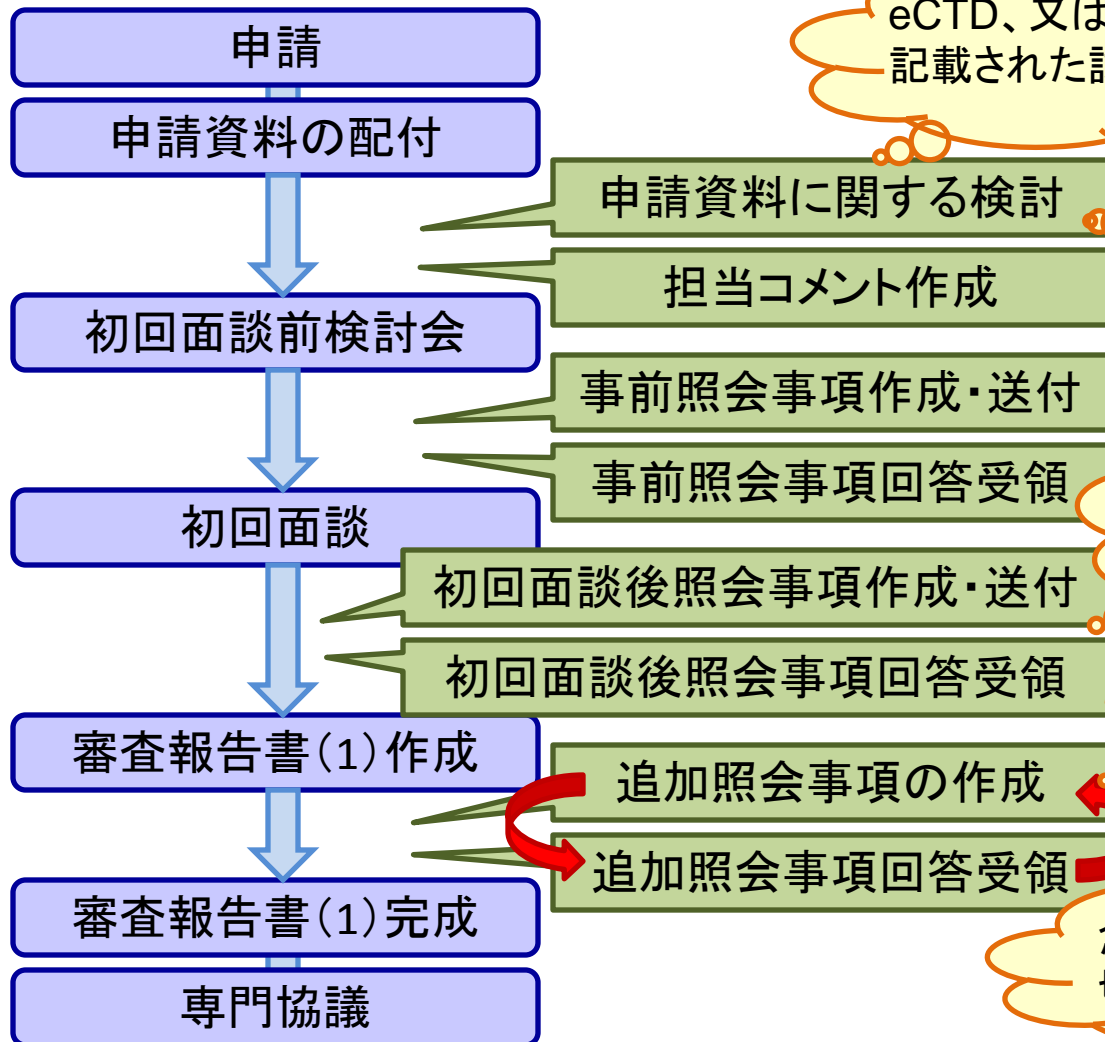
申請電子データ利用体制構築に向けたWG



意見交換

審査プロセスにおいて想定される変化

現在のプロセス



eCTD、又は資料配付後の紙の資料で記載された試験結果等に基づき検討

個別症例の情報はリストやケースカードで確認

例えば、資料に記載のない部分集団解析の結果等は、まず再解析を依頼し結果を検討

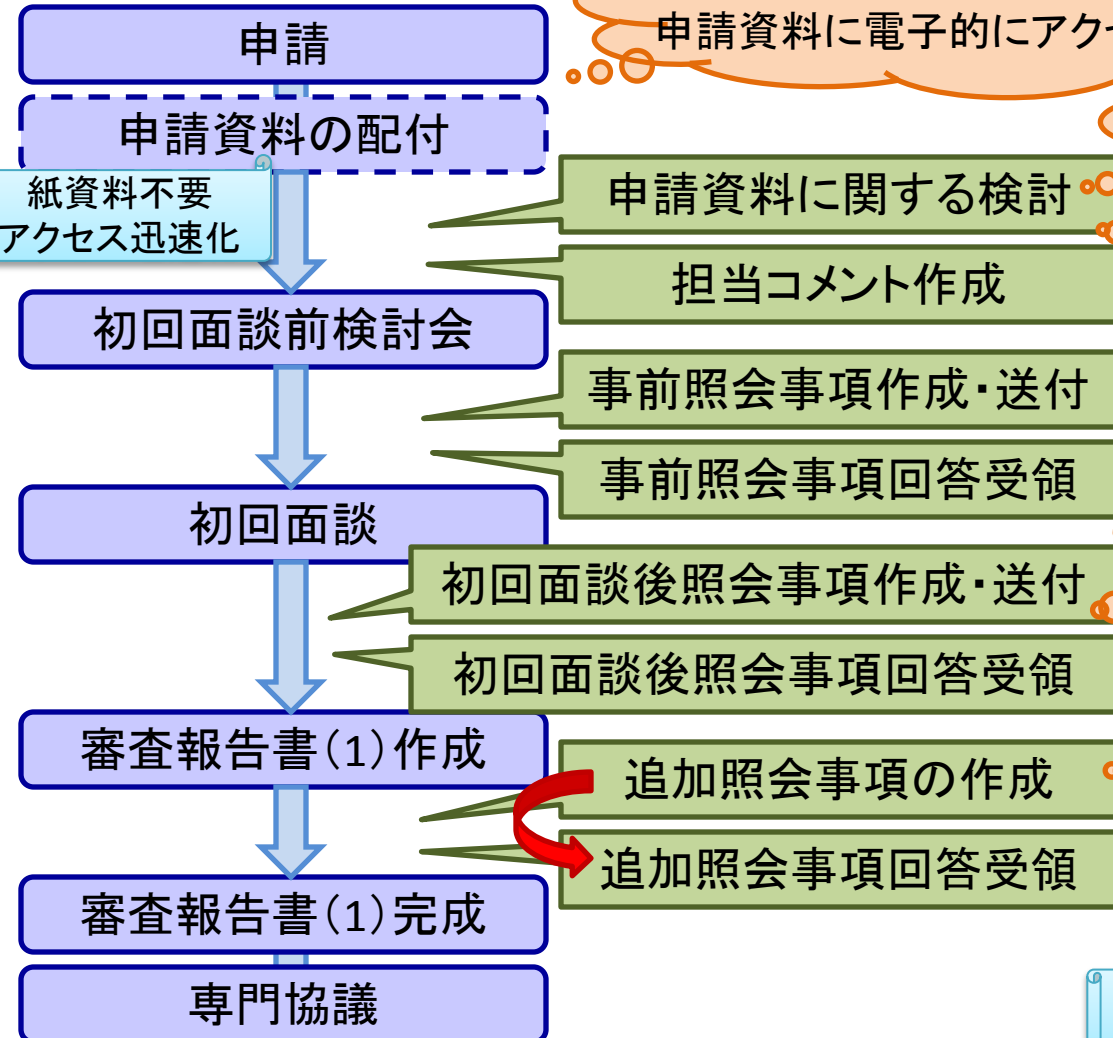
解析結果を踏まえた懸念点をさらに照会

念のため確認したい、といった切り口の解析もすべて照会



審査プロセスにおいて想定される変化

将来的なプロセス



個別症例一覧表不要

申請後速やかに、生データを含む
申請資料に電子的にアクセス可能



全体の傾向、個別症例の情報が
手元でグラフィカルに確認可能

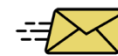
主要解析の結果を
内部で再確認



部分集団解析等、容易な解析は
内部で実施し、結果に基づき
具体的な懸念点を照会

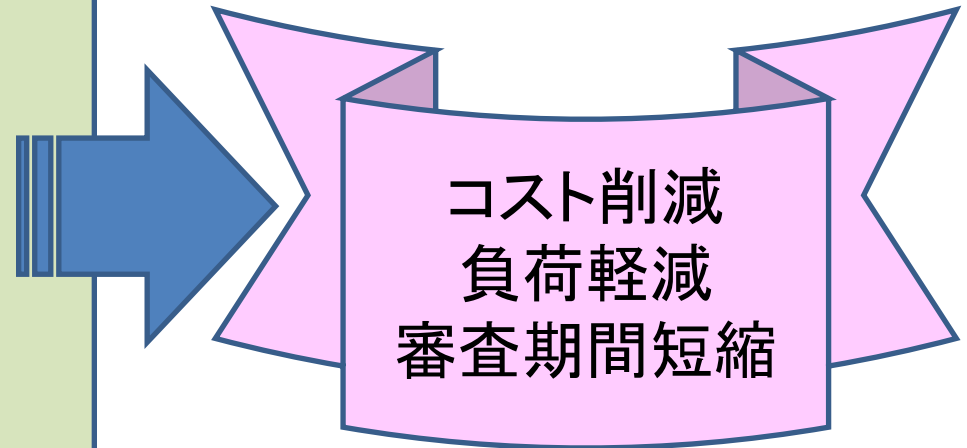
念のため確認、といった内容は
可能な限り内部解析で確認

照会事項減少



業界側のメリット

- 申請資料作成時
 - 紙資料作成不要
 - 症例一覧表不要
- 審査時
 - 審査側の申請資料へのアクセス迅速化
 - 再解析等の照会は減少



- 将来的には...
品目横断的解析結果の活用による開発効率化

申請電子データ利用体制構築プロジェクト － 目指す未来 －

- 世界をリードする提言
- ガイドライン等の作成
- 開発の成功率上昇

↓
開発の効率化
(期間短縮、コスト削減)

PMDAの解析
→申請データ
に新たな価値
を賦与

レギュラト
リーサイエン
ス=予測と検
証の科学

合理的で効率
的な評価・判
断プロセスの
構築

- アカデミアと
の連携？

- 有効性・安全性の予測向上
- 申請者の作業負担軽減
- より科学的な議論・意志決定

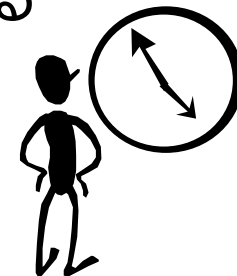
↓
審査の効率化・高度化



日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出

本説明会の目的

- PMDAの次世代・審査相談体制に向けた動きに関する情報提供
 - 各社で計画中の臨床試験への対応が必要？
 - 各社での体制整備が必要？
- 各ステークホルダー（業界、規制当局、医療現場、患者さま）にとって望ましい将来像に向けた意見交換の開始
 - 問題点の洗い出し
 - 解決策の検討
 - 将来像の共有



次世代審査・相談体制に関する情報発信

PMDAの理念

このホームページは、PMDAの事業について紹介しています。

医薬品・医療機器の説明書(添付文書) 審査報告書などの情報については、こちらをご覧ください。

医薬品医療機器 情報提供ホームページ www.info.pmda.go.jp

添付文書に記載された警告情報が検索できます

警告情報

Click

添付文書に記載された副作用情報が検索できます

副作用情報

Click

添付文書に記載された禁忌情報が検索できます

禁忌情報

Click

特定フィブリノゲン製剤及び特定血液凝固第Ⅸ因子製剤によるC型肝炎感染被害者を救済するための給付金の支給に関する特別措置法に基づく給付金の支給等について
給付金支給相談窓口 TEL 0120-780-400

一般の皆様向け 薬に関する情報を提供しています

PMDAから患者の皆様へのお願い

患者副作用報告

医療用医薬品添付文書検索

一般用医薬品添付文書検索

患者向医薬品ガイド

重篤副作用疾患別対応マニュアル

おくなりQ&A

医療機器Q&A

副作用救済給付の決定に関する情報

おくなり相談・医療機器相談のご案内

注意 独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)職員を装った不審な電話にご注意ください(平成25年4月25日更新)

注意 「間違い電話」、「間違いFAX」が多発しております。お問い合わせの際は「0」発信の有無を含め電話番号、FAX番号をよくお確かめください。(平成25年8月22日更新)

新着情報

RSS

審査 [平成25年9月3日] ナノ医薬品プロジェクト及びマイクロドーズ臨床試験プロジェクトのページを更新しました。

審査 [平成25年9月3日] 「次世代審査・相談体制について(申請時電子データ提出)」の情報提供ページを新設しました。

その他 [平成25年9月3日] 再生医療製品関連情報を更新しました。

採用 [平成25年9月2日] 事務補助員(医療情報データにおける傷病、医薬品、検査等のコード体系)

審査 [平成25年9月2日] 簡易相談の実施予定等について(平成25年10月分の予定を掲載しました)

パブリックコメント [平成25年9月1日] 日本薬局方収載原薬のうち溶出規格原薬(平成25年9月分)に関するご意見

パブリックコメント [平成25年9月1日] 日本薬局方収載原薬(平成25年9月分)に関するご意見を募集しています。

採用 [平成25年8月30日] 事務補助員(電話対応、データ入力、書類の作成・受付・整理・保管等業務)

医薬品関連企業の皆様

次世代審査・相談体制 (申請時電子データ提出)

採用情報

医薬品・医療機器の



医療機関の皆様

医療機関の皆様

大学・研究機関、ベンチャー企業及び医薬品・医療機器関係企業の皆様

業事戦略相談

医薬品関連企業の皆様

次世代審査・相談体制(申請時電子データ提出)

医薬品・医療機器関係企業の皆様

各種審査等手数料について

対面助言(治験相談・簡易相談、事前面談等の実施について)

様式ダウンロード 承認申請・届出等様式

次世代審査・相談体制について (申請時電子データ提出)

<http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/iyaku/jisedai.html>

[医薬品](#) | [医薬部外品・化粧品](#) | [医療機器](#) | [体外診断用医薬品](#) | [機構来訪予定の皆様へ](#) | [各種審査等手数料について](#) | [申請・届出等の様式ダウンロード](#) | [機構で実施する各種相談制度等](#) | [外国製造業者の認定等](#) | [原薬等登録原簿\(MF\)について](#) | [特定の製剤や特定の条件下においてのみ使用が認められた添加物の取扱いについて](#) | [再生医療製品関連情報](#) | [遺伝子治療関連情報](#) | [カルタヘナ法関連情報](#) | [輸出証明](#) | [第三者認証](#) | [治験関連情報](#) | [新医薬品、新医療機器承認品目一覧](#) | [研修会・講習会・説明会・レポート等](#) | [FD申請のホームページ](#) | [申請ソフト等に関するQ&Aについて](#) | [申請窓口への問い合わせについて](#) | [申請・届出等に関するお知らせ](#)

次世代審査・相談体制について(申請時電子データ提出)

近年の医薬品開発においては、Modeling & Simulationの利用等、開発の意思決定において、データに基づく定量的な情報の積極的な利用が進められております。一方、本邦では、健康医療戦略(平成25年6月14日内閣官房長官、厚生労働大臣・関係大臣申合せ)において、「PMDA 自らが臨床データ等を活用した解析や研究を進め、審査・相談において、より合理的で効率的な評価・判断プロセスの構築を進める」と述べられており、承認申請データを一層活用した承認審査や相談の質の向上が求められています。

そこで、PMDAでは、将来的な申請データの電子的提出義務化も視野に入れ、医薬品承認申請時の電子データ利用のための具体的検討を開始し、平成25年9月1日には「次世代審査・相談体制準備室」を設置しました。医薬品承認申請時に添付されるデータを電子的に集積し、先進的手法により解析等を行い、その情報を活用することが可能となれば、根拠に基づく審査・相談が可能となり、業務の質が向上するだけでなく、承認申請時ににおける企業の負担軽減にもつながると考えられます。また、データが電子的に集積されることで、Modeling & Simulation等の品目横断的な検討も可能となり、新規ガイドラインの作成等が促進され、医薬品開発の成功率向上にもつながると期待されることです。

このページでは、次世代審査・相談体制(申請時電子データ提出)に関する各種情報を掲載しています。

- 📄 [次世代審査・相談体制\(申請時電子データ提出\)とは？](#)

お知らせ

- 📄 [PMDAの次世代審査・相談体制に関する説明会\(主催:日本製薬工業協会\)のご案内\(PDF形式\)](#)

※ 申込み締切りは9月5日(木)17時までに延長されました。

申請電子データ利用システムのフェーズビリティ確認計画(パイロット計画)について

- 📄 [臨床電子データの試行的提供について\(お願い\)\(PDF形式\)](#)
- 📄 [平成25年度パイロット実施計画骨子\(案\)\(PDF形式\)](#)

このページの内容についてのお問い合わせは[こちら](#)
(必ずしも個別のお問い合わせ全てに回答できるものではありません。予めご了承くださいませようお願い申し上げます)

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取り組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

世界一の審査機関を目指して

～医療イノベーションの推進に貢献するために～

主要課題

**開発初期から承認
までの期間短縮**
審査ラグ「0」の実現
開発ラグ解消の支援

**審査・相談等
の高度化**

**安全対策
強化**

**国際化
対応**

対応策

審査の更なる迅速化
(承認の予見性も向上)

事前評価の拡充
(承認審査の実質的前倒し)

海外査察体制の充実

相談業務の大幅拡充
開発初期段階からの積極的関与
➢ 薬事戦略相談の拡充
➢ 治験相談の拡充等

**レギュラトリー
サイエンス研究・
人材育成の強化**

- 先進的な解析・評価手法による次世代審査・相談体制の構築
PMDA自らが蓄積された膨大な試験データ等を横断的に先進的手法により分析・解析
- 科学委員会の活用
(アカデミアとの連携)

**医療情報
データベース
の利活用**

**リスク
管理計画
導入
への対応**

ゴール

- 日本発の革新的医薬品・医療機器の創出
- 再生医療製品の実用化

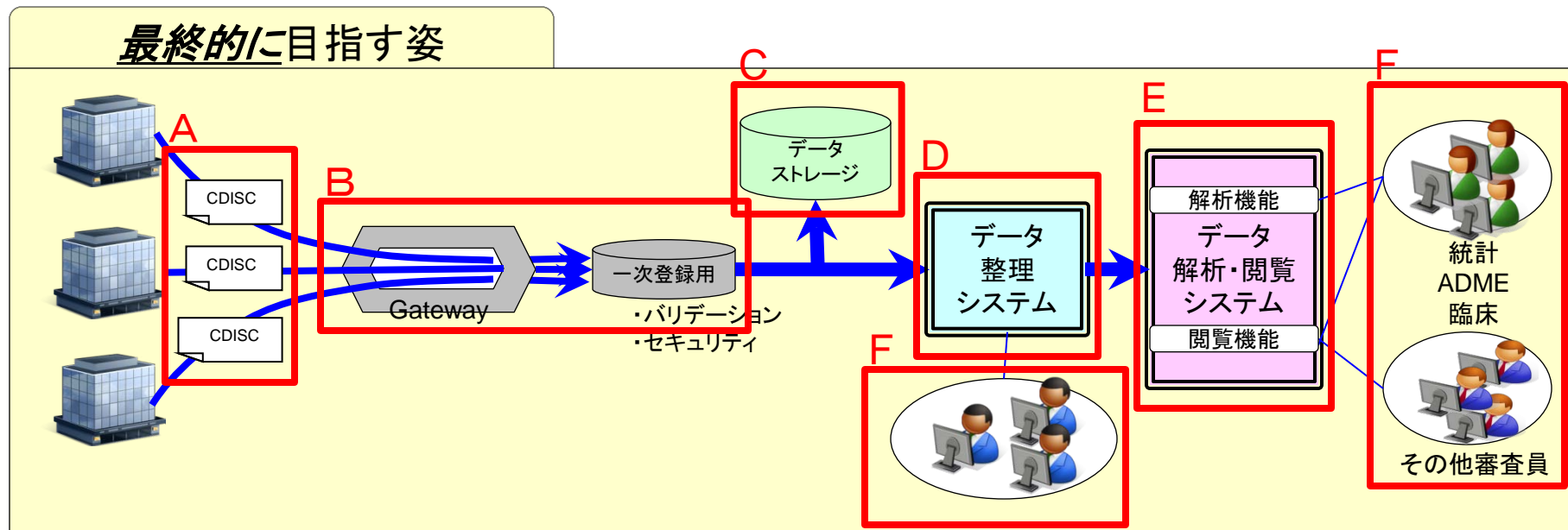
**産業
の活性化**
**国民の
健康寿命
延伸**
**世界の
医療にも
貢献**

個別化医療・再生医療などの最先端技術に適切に対応

**日本再興戦略や
健康・医療戦略等の
社会的要請に対応**

大前提：欧米並の体制と優秀な人材の確保

PMDA内申請電子データ利用全体像



目的

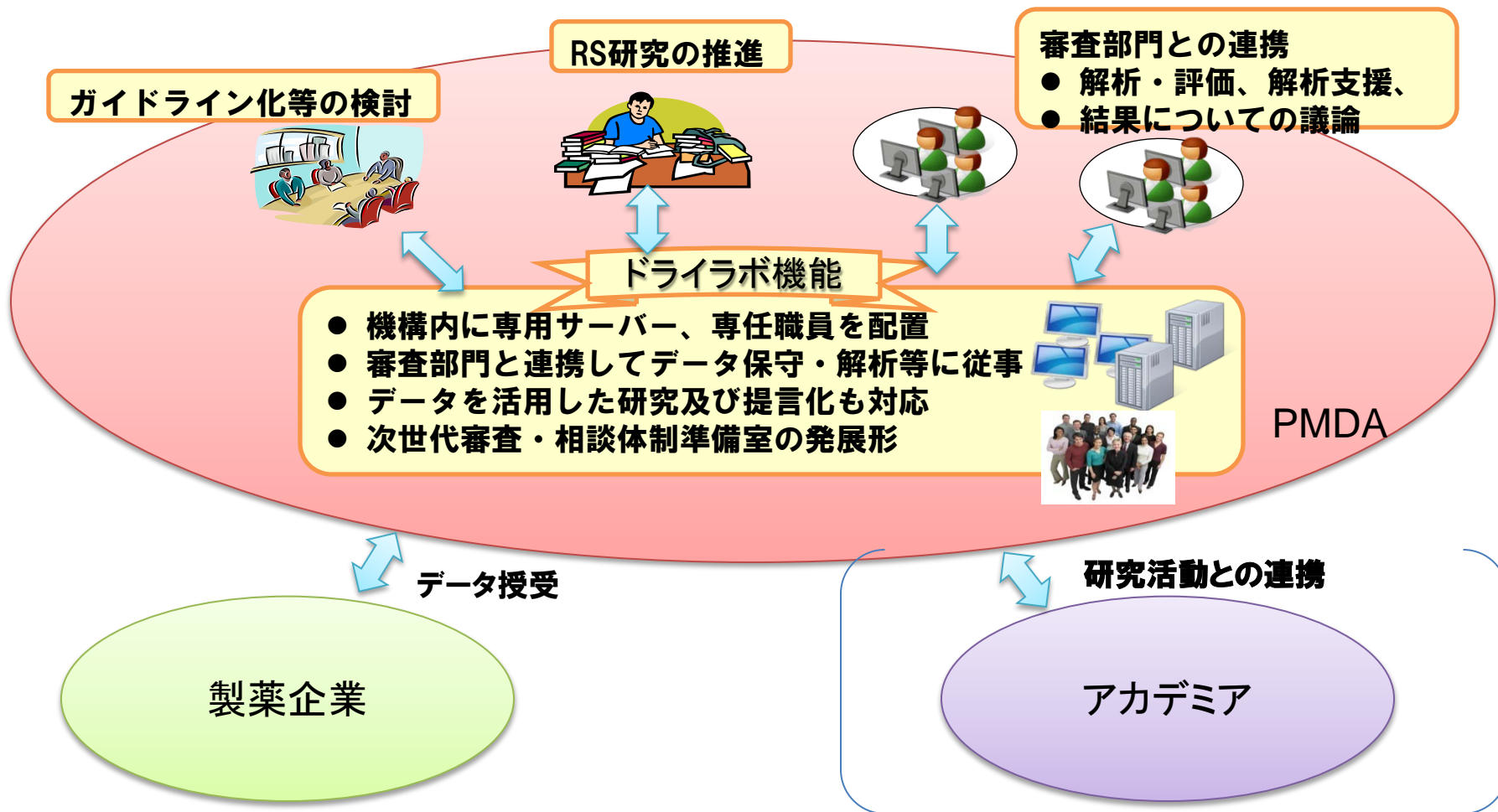
・承認審査・相談の質の向上

・医薬品開発効率化支援

○「目指す姿」が含む要素

- A) 標準化された形式で受け取りたい (CDISC)
- B) 電子的に提出してもらい、データ検証を行いたい (Gateway + バリデーション)
- C) 原本を一元的に保管したい (Storage)
- D) 解析しやすいように加工したい (データ整理システム)
- E) 解析したい (データ解析・閲覧システム)
- F) 「目指す姿」を有効利用したい (人材育成)

ドライラボの将来構想



PMDA体制強化の一環として、ラボ関係職員の増員も見込む

電子データ利用体制構築スケジュール案

あくまでも当初提示案、引き続き検討中

平成25年度

各種調査、ハード・ソフト調達、パイロット実施

平成26～27年度

パイロット継続実施。ラボを開設後、本格稼働へ
(電子データ閲覧・内部解析の試行)

平成28年度(目標)

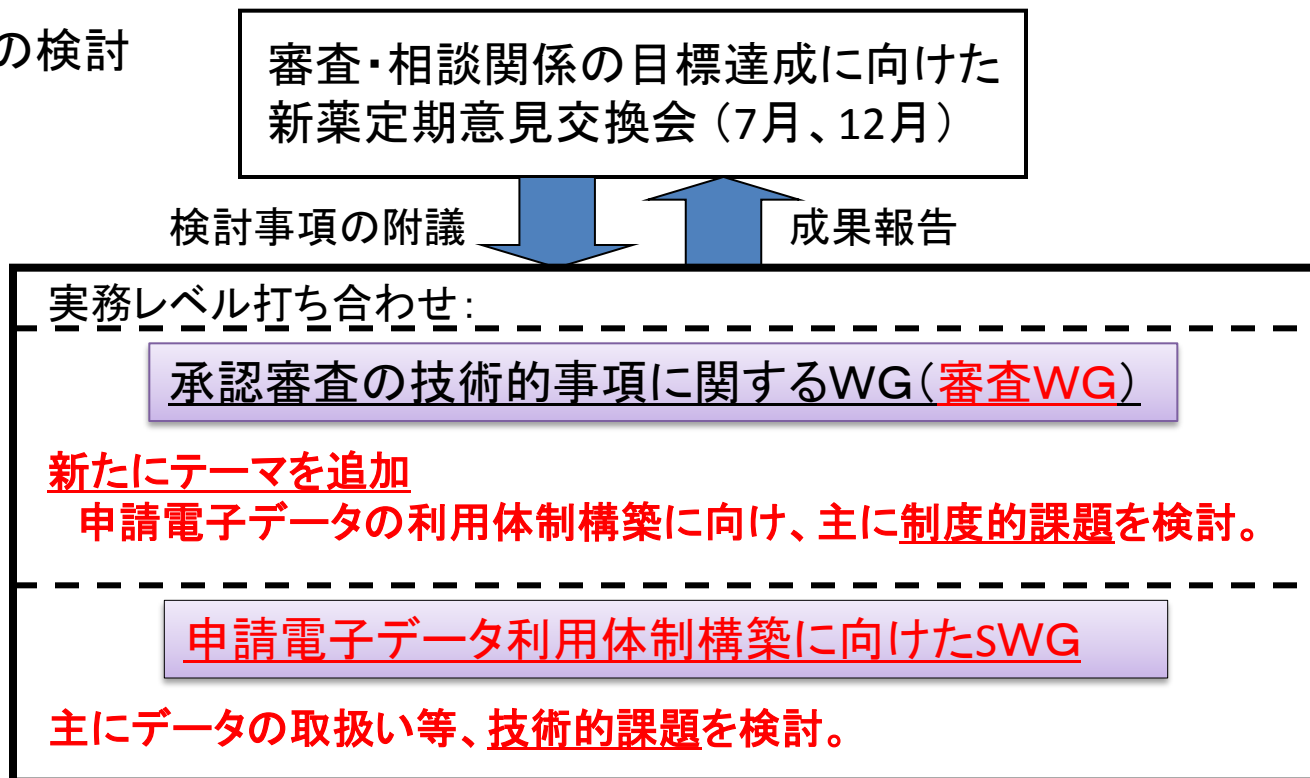
新薬申請で臨床電子データ提出(+経過措置)

平成29年度以降

新薬申請で臨床以外の電子データ提出(要検討)

申請電子データ利用体制構築に向けた業界との話し合い

1. 各種課題の検討



2. 業界向け周知

企業にとっても、実施(計画)中の臨床試験データ収集に影響があり、各社の体制整備が必要

「PMDAの次世代審査・相談体制に関する説明会」
今後の方針、検討状況について業界向けに説明
9月10日(火) 13:00-16:00 タワーホール船堀

申請電子データ利用体制構築のための検討課題 (審査WG、SWG検討中の事項)

	検討課題
1	提出電子データの範囲(非臨床データの取り扱いも含む)
2	データ提出方法と要求されるセキュリティー対策 (1)データ形式(CDISC)、(2)提出する際のルール、(3)その他の技術的問題
3	CDISCとの関係の構築
4	電子データの提出とeCTD申請義務化への課題 (1)eCTDに入れ込んで電子データを提出してもらうための方策(制度面・技術面) (2)申請・審査完全電子化(Paper free)に向けた課題
5	申請電子データ提供に関するプロセスについての検討 (データ提出に関する事前のPMDAと企業との打ち合わせ等)
6	欧米における運用との調整事項 (1)FDA、EMAにおける状況の情報収集、(2)米国INDとの関係の整理
7	体制構築に向けたスケジュール(特に平成25年度)
8	平成25、26年度の試行新薬候補品目の選定ルールの作成、入手すべきデータ範囲の検討
9	データ提出義務化までの移行期間
10	データの知的財産権(情報開示の取り扱い、二次利用問題)

申請電子データ利用体制構築のための課題 検討スケジュール(案)

平成25年

平成26年

検討課題	平成25年					平成26年				
	8	9	10	11	12	1	2	3	4~	
1 提出電子データの範囲	→					<div style="border: 2px solid red; border-radius: 15px; padding: 10px; text-align: center;"> <p style="color: red; font-size: 24px; margin: 0;">H25年度 パイロット 実施</p> </div>				→
2 データ提出方法 と要求されるセキュリティー対策	→									→
3 CDISCとの関係の構築										
4 電子データの提出 とeCTD申請義務化への課題						→				
5 申請電子データ提供 に関するプロセスについての検討	→									
6 欧米における運用との調整事項						→				
7 平成25年度のスケジュール	→									
8 試行新薬候補品目の選定ルールの作成、 入手すべきデータ範囲の検討	→									
9 データ提出義務化までの移行期間						→				
10 データの知的財産権						→				

随時実施

H25年度パイロット①

平成25年度パイロット実施計画(案)

1. 目的

新医薬品の承認申請時に提出される臨床試験データを、機構内のシステムにおいて適切に保管、管理し、担当者が導入ソフトウェアを使用した解析を行うことが可能であることを確認する。

2. 実施対象

実施期間中に申請中又は申請予定の品目に関する、CDISC標準に準拠した、日本人データを含む臨床試験(1品目1試験以上、3品目程度)

3. 実施期間(予定)

平成25年10月～平成26年3月

データ入手:平成25年10月～12月

解析等実施:平成26年1月～3月

H25年度パイロット②

4. 実施内容

- 提出された臨床試験データを適切に保管、管理し、指定された審査担当者がアクセス可能であることを確認する。
- 提出された臨床試験データがCDISC標準に準拠していることを確認する。
- ソフトウェアに応じて、データを必要な形式に変換することが可能であることを確認する。
- データ閲覧／探索的解析用ソフトウェアを利用し、被験者集団や各評価項目の特徴の視覚的な把握及び主要な因子による部分集団解析の実施が可能であることを確認する。
- 統計解析用ソフトウェアにより、臨床試験において計画、実施された主要評価項目に関する主要な解析等、また、主要な因子による部分集団解析を実施できることを確認する。解析プログラムが提出されている場合には、内容の確認及び内容に沿った解析を実施し、結果を確認する。
- その他の導入ソフトウェアの利用が可能であることを、提出された臨床試験データに基づき確認する。

5. 実施担当者

プロジェクト担当者及び臨床試験データが提出された各品目の審査担当部の審査員

H25年度パイロット③



薬機審長発第 0902001 号
平成 25 年 9 月 2 日

日本製薬工業協会会長 殿

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
審査センター長 矢守 隆夫



臨床電子データの試行的提供について(お願い)

平素より大変お世話になっております。

さて、近年の医薬品開発においては Modeling & Simulation (M&S) の利用等、開発の意思決定において、データに基づく定量的な情報の積極的な利用が進められております。

このため、当機構においても、承認申請データを電子的に集積し、先進的手法により解析等を行い、その情報を活用することが可能となれば、承認申請における企業の負担軽減が期待され、また、集積データを利用することにより、根拠に基づく審査・相談のレベルの向上につながるほか、ガイドライン等の作成により、医薬品の開発成功率の向上にもつながると期待されるところであります。

そこで、当機構としては、将来的な申請データの電子的提出による活用に向け、申請電子データ利用体制を構築する取組みとして、「申請電子データ利用体制構築プロジェクト」を立ち上げ、体制構築に向けた制度面又は技術面での課題について、業界との間で作業部会を設置し各々検討を行っており、今年度中に基本的なシステムの導入とそのフィージビリティの確認までを行いたいと考えているところであります。

つきましては、システムのフィージビリティ確認を行うにあたり、その試行に臨床電子データが必要となりますので、当該データの提供について、貴会会員企業にご協力をよろしくお願い申し上げます。

ご協力は会員企業の任意ではございますが、当方としては、例えば、

- ①日本で承認申請中又は申請予定の品目について、
- ②米国 FDA にも承認申請されている(申請見込みも含む)こと等から、CDISC

標準を用いて集積・取り纏められた、

③日本人データを含む臨床試験

に係る電子データのご提供を念頭に置いております。

また、試行にあたってご提供いただいたデータは、あくまでもシステムのフィージビリティ確認(システムでの動作確認、ソフトウェアでの閲覧可能性の確認等)のためのみに活用することとし、当該品目の承認審査には影響を及ぼさないことを申し添えます。

なお、貴会会員企業への具体的な協力要請は、後日改めて個別に行わせていただきたいと存じますが、こちらからの要請を待たずご協力いただける会員企業がございましたら、下記の間合せ先あてに、9月末までにお申し出いただけますようお願いいたします。

また、本件に関しご不明な点等ございましたら、同様に下記の間合せ先までご照会ください。

お忙しいところ申し訳ございませんが、趣旨等何卒ご理解賜り、貴会会員への協力要請方、よろしくご協力のほどお願い申し上げます。

【間合せ先】

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

次世代審査・相談体制準備室

e-mail: electronicdata@pmda.go.jp

H25年度パイロット④

Provisional Translation (as of September 2013)*

PMDA/CPE Notification No. 0902001
September 2, 2013

To: As specified in the Appendix separately

From: Takao Yamori, Ph.D.
Director, Center for Product
Evaluation of
Pharmaceuticals and Medical
Devices Agency

Re: Request for Electronic Clinical Study Data for Pilot Project

First, we would like to express our gratitude to all of your support.

In recent drug development, the use of data-based quantitative information such as those using modeling and simulation (M&S) methods has been proactively promoted in decision-making process. Under such circumstances, the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (hereinafter referred to as PMDA) recognizes the need for accumulating electronic study data, analyzing the data by advanced methods, and making use of the data in the process of its reviews and consultations. The use of such accumulated data is expected to reduce the workload of regulatory submission for sponsors, improve PMDA's evidence-based reviews and consultations, and lead to development of new guidelines, which will eventually result in the rise of the success rate of drug development.

In order to promote utilization of submitted electronic study data in the future, PMDA internally set up the Project for Constructing the Framework for Utilizing Electronic Study Data, and organized a joint working group with the industry to discuss regulatory and technical issues. It is planned to develop a basic system and confirm the feasibility of the system by the end of this fiscal year.

In this regard, your member companies are kindly requested to provide electronic clinical study data to PMDA so that the Agency may test the feasibility of the system. Participation in this

* This English version of the Japanese Notification is provided for reference purposes only. In the event of any inconsistency between the Japanese original and the English translation, the former shall prevail.

pilot project is not mandatory and the details will be informed later, but PMDA will need, for example, the data that meet the following three criteria for this feasibility test:

1. data of drug products that are under regulatory review or going to be filed to PMDA;
2. data amassed and summarized according to the CDISC standards (prepared because of planned submission to the US Food and Drug Administration, or other reasons), and;
3. clinical study data including those of Japanese subjects

Please note that the electronic data provided for this pilot project is used only for the purpose of testing the system feasibility (check of the system's operational capability, data compatibility with software tools, etc.) and there will be no influence on regulatory review of the concerned products.

PMDA will contact your member companies individually with more specific plan at a later date to ask for cooperation on this pilot project. However, your member companies that are willing to participate in this pilot project, even before PMDA contacts them individually, are encouraged to contact us at the e-mail address stated below by the end of September 2013. Also, if you have any inquiries on this pilot project, please contact us at the e-mail address below.

It would be appreciated very much if you could understand this matter and take time in your busy schedule to ask for cooperation from your member companies. Thank you very much again for your cooperation in advance.

Please contact:

E-mail: electronicdata@pmda.go.jp

Task Force for Advanced Review and Consultation with Electronic Data
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

臨床電子データの試行的提供へのご協力(お願い)

- 25年度パイロット計画のための臨床電子データ提供にご協力をお願いします。
- パイロット実施(システムのフェージビリティ確認)のためのみを活用し、当該品目の承認審査には影響しません。

※ご協力頂ける企業の方は9月末までにご連絡ください。

※想定品目数以上の申し出があった場合、最も計画の趣旨に沿った解析等の実施が可能と考えられる品目に絞らせていただく場合がございますので予めご了承いただきますようお願い致します。

H26年度パイロット

- 26年度もパイロット試験を継続実施する方向。
- パイロットの内容については、25年度の状況等も踏まえ検討予定。
- 追って協力をお願いしたい。

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取り組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

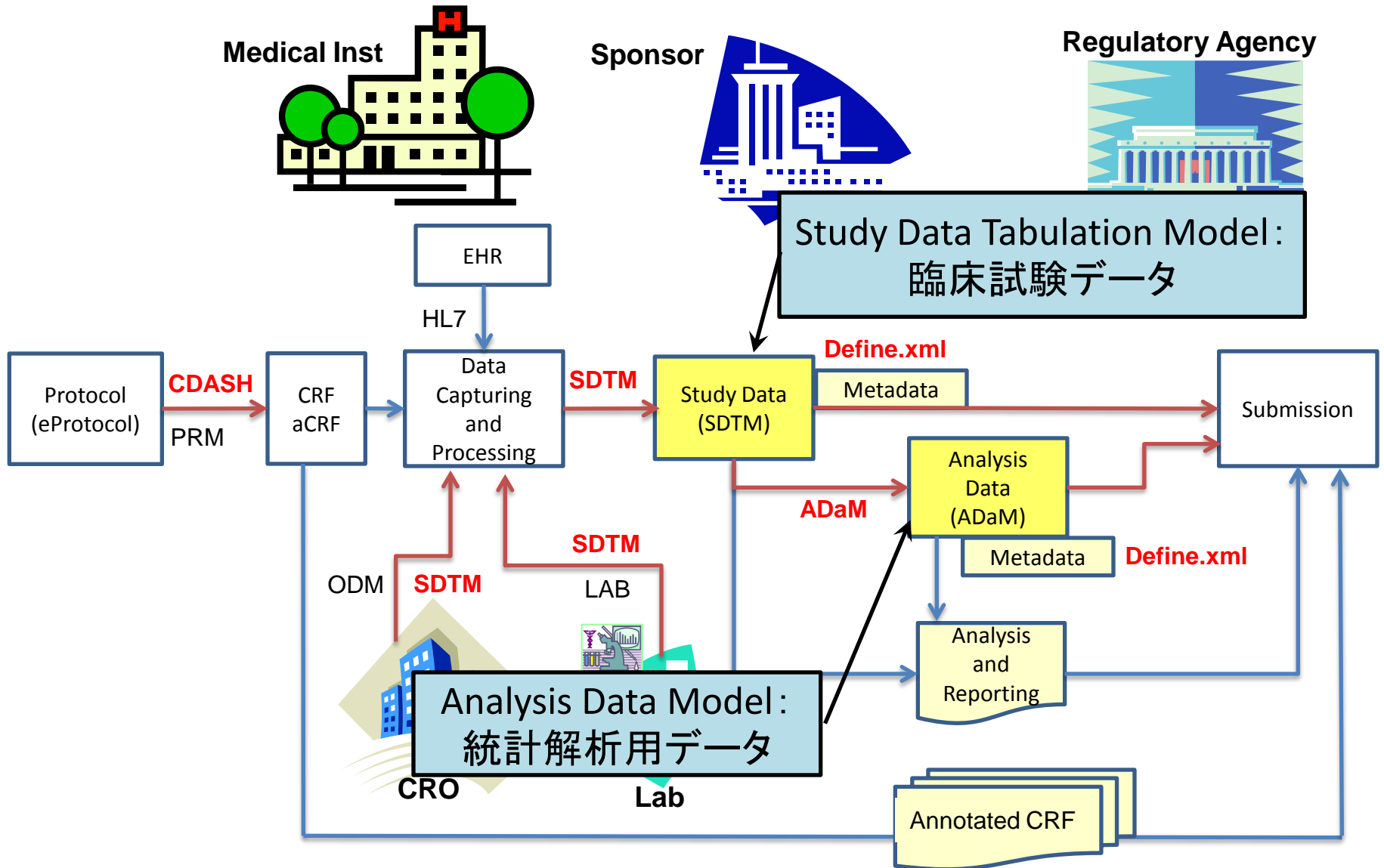
CDISCについて

CDISC標準



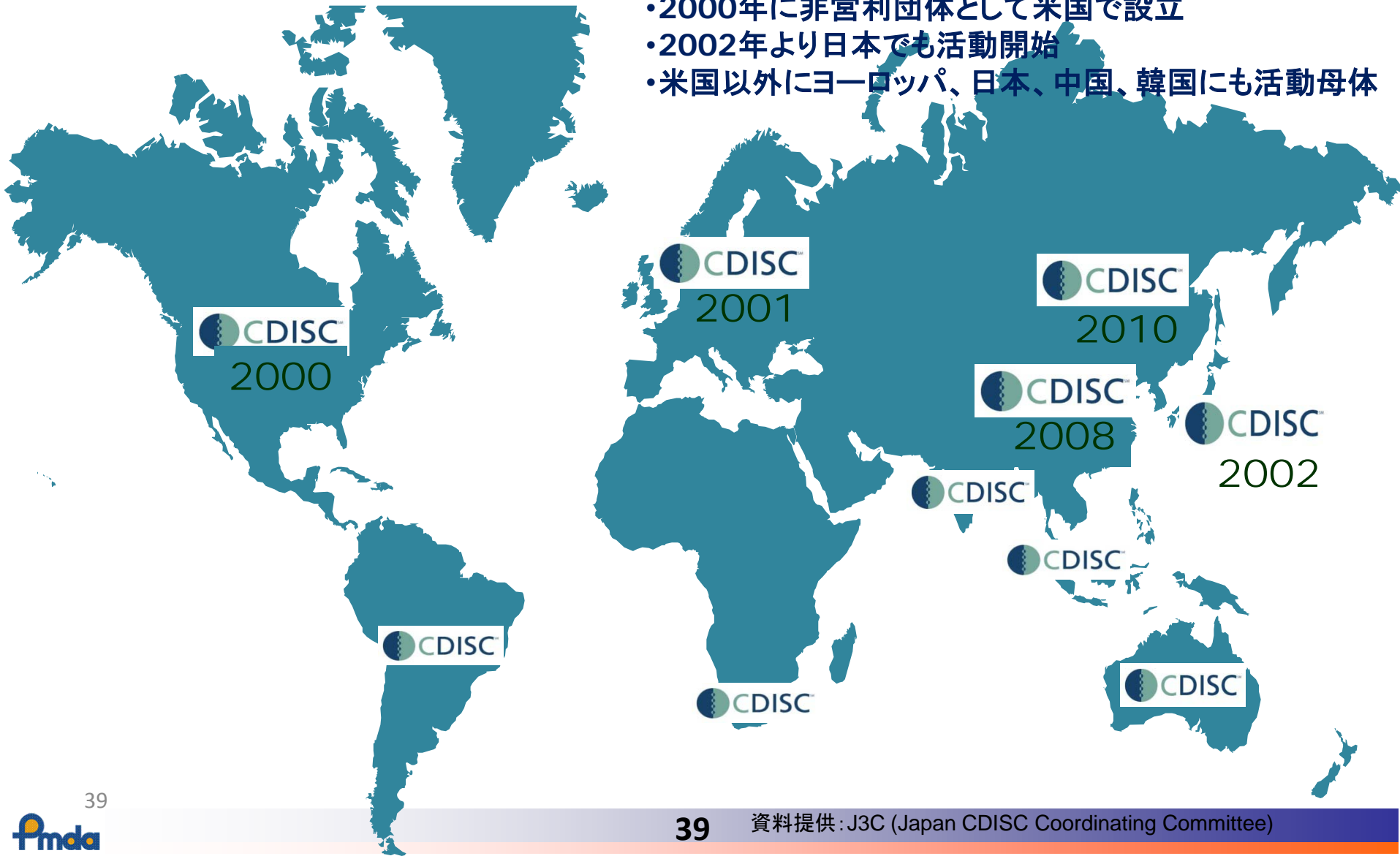
- CDISC (Clinical Data Interchange Standards Consortium)
 - 「医学研究及びヘルスケア関連領域の改善のため、情報システムの相互運用を可能にする、プラットフォームに依存しないグローバルレベルのデータ標準を開発・サポートする」
- CDISC標準
 - CDISCの策定した標準規格群
 - 既にFDAにおいて提出データ形式として推奨

CDISC標準



CDISCの現状：活動地域

- 1997年にボランティアグループとして活動開始
- 2000年に非営利団体として米国で設立
- 2002年より日本でも活動開始
- 米国以外にヨーロッパ、日本、中国、韓国にも活動母体



CDISCとPMDAとの関係構築

- PMDAから、CDISC (J3C、CJUG) へオブザーバーとしての参加を本年7月から開始。
- 今後も、情報収集を図りながら対応予定。

検討課題に対する考え方

＜留意事項＞

ここに記載した案は、検討中の課題について、現時点での考え方を示したものであり、今後の検討を踏まえて、変更される可能性があります。

● 現在検討中の事項

- 提出電子データの範囲
- データ提出方法
- eCTDとの関連
- 申請電子データに関する相談プロセス
- データ提出義務化までの移行期間
- データの知的財産

提出電子データの範囲①

Q 承認申請時に電子データとして、提出を求められる対象とその範囲は？

(案)

- 新規に承認申請される新医薬品の臨床試験データ
(義務化の対象)
- 既承認等の新規承認申請以外で提出可能なデータがある場合には個別に相談(義務としてではなく、協力的提供)。

提出電子データの範囲②

Q 第 I 相臨床試験データの提出も求められるのか？

(案)

- 全ての第 I 相試験について、一律に電子データの提出は求めない予定。
- 提出が必要な場合は、個別に判断。

(例)

- 国際共同治験やブリッジングによる申請など、海外臨床試験データを利用した申請の場合等には、電子データの提出を求める。

提出電子データの範囲③

Q 非臨床試験データ、特に毒性試験に関する電子データの提出は必要か？

(案)

- 毒性試験の電子データについても、将来的にはCDISC標準 (SEND: Standard for the exchange on non-clinical data) での提出を求める予定。
- 具体的な開始時期については未定。臨床試験データの提出義務化以降を想定。

データ提出方法①

Q これまでの承認申請で提出を求められていた症例一覧表については、提出が不要になるとの理解で良いか？

(案)

- 電子データの提出を求める一つの目的に、申請者側の負担軽減がある。
- 症例一覧表については、電子データの提出義務化の時期に合わせて廃止できるよう検討を進めていく予定。

データ提出方法②

Q 提出する電子データで使用する言語は、日本語又は英語のどちらか？

(案)

- CDISC標準に基づき提出していただくデータとそれ以外のデータを今後整理する予定。
- CDISC標準に基づき提出していただくデータに関しては、英語のみでの対応を基本としてシステム開発を進める予定。
- それ以外のデータについては、これまでどおり日本語での提出も想定して対応予定。

データ提出方法③

Q 提出義務化後には、全ての臨床試験データをCDISC標準で提出することが求められるのか？

(案)

- 臨床試験データの提出については、引き続き検討中であるが、平成28年度(目標)に開始予定。
- 提出義務化後(経過措置後)には、全ての臨床試験データをCDISC標準に基づき提出いただく必要がある。
- したがって、臨床試験データをCDISC標準へ変換することも想定した対応をお願いしたい。

データ提出方法④

Q 電子データの提出とともに、解析プログラムの提供も必要か？

(案)

- 検証試験のデータについては、解析プログラムの提出も求める予定。
- それ以外については個別に判断。

(例)

- ブリッジング試験や用量反応性を検討する試験等で、審査上重要と考えられる試験、別途提出を求める場合がある。

データ提出方法⑤

Q 承認申請時に提出する電子データに関し、利用するCDISCやMedDRAのバージョンは、どのように決定すれば良いのか？

(案)

- 原則は、承認申請時点での最新バージョンを利用。
- 実際の運用上は、現実的に対応可能な範囲で最新バージョンでの提出を求める予定。

データ提出方法⑥

Q 申請電子データの提出プロセスについてガイドライン等は公表するか？

(案)

- 申請電子データの提出プロセスについては、サポートするImplementation Guidelineも含めて、本格施行までにガイドラインとして通知することを検討中。

eCTDとの関連

Q 電子データの提出義務化に伴い、CTDについてもeCTDでの提出が義務化されるのか？

(案)

- ペーパーレス及び業務の効率化の観点から本課題の重要性は認識しているところ。
- 専門協議や薬事食品衛生審議会への対応等関連する事項があることから、長期的な課題として、厚生労働省とも連携しながら並行して検討を進める予定。

申請電子データに関する相談プロセス

Q 個々の品目における申請電子データの具体的な内容については、どのように相談すれば良いのか？

(案)

- 試行期間中においては、担当する審査チームが事前面談枠を利用して、全て無料で対応する予定。
- 提出義務化以降での相談枠の新設等については、試行での検討結果も踏まえて、今後検討予定。

データ提出義務化までの移行期間

Q 申請電子データの提出義務化に際して、一定の猶予期間は設定されるのか？

(案)

- 臨床試験データの提出については、引き続き検討中であるが、平成28年度(目標)に開始予定。
- 提出義務化にあたっては、円滑な導入を促進する観点から、申請者側での対応状況等も踏まえて、一定の猶予期間(経過措置等)を設定する予定であるが、具体的な方法や期間については、今後検討予定。

データの知的財産①

Q 承認申請時に提出するデータは、審査に利用することが目的であって、知的財産との関連で品目横断的な解析や他品目の相談業務等に利用することは困難ではないか？

(案)

- 申請電子データは、承認審査や相談業務の質の向上を目的として提出をお願いするもの。
- 米国FDAでは、既に承認申請電子データの収集および品目横断的な検討を行っていると認識しており、PMDAで実施する解析も、FDAと同様のもの。
- 申請電子データの提出に関連する事項については、今後、個別に検討予定。

データの知的財産②

Q 開示請求された場合に、申請電子データは開示請求の対象になるのか？

(案)

- 提出された電子データに関する情報公開については、これまでの承認申請資料と同様に、情報公開の手続きに基づき対応するもの。
- 提出されたデータがそのまま公開されるということは、現時点で想定していないが、具体的な取り扱いについては、今後検討予定。

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

Agenda

1. 先進的な解析・評価手法による次世代の審査・相談体制構築に向けたPMDAの新たな取組みについて

◆本事業の目的と将来展望

規格基準部長 鹿野真弓

◆今後のスケジュールと平成25～26年度の試行について

審査マネジメント部長 吉田易範

◆申請電子データの取扱いについて

審査マネジメント部審査企画課長 宇山佳明

2. 質疑応答

3. おわりに

申請電子データ提出・利用等 に関するお問合せ

- お問合せは下記までメールでお寄せ下さい。

【問合せ先】

PMDA次世代審査・相談体制準備室

E-mail: electronicdata@pmda.go.jp