

「承認申請時の電子データ提出に関する基本的考え方について(通知)」
に基づく運用に関する説明会
平成26年7月24日 メルパルクホール



PMDAにおける次世代審査・相談体制の 構築状況について

(独)医薬品医療機器総合機構

理事(技監)

北條 泰輔

本日の内容

1. 次世代審査・相談体制構築に向けた全体像
2. 次世代審査・相談体制構築の今後のスケジュール

本日の内容

1. 次世代審査・相談体制構築に向けた全体像
2. 次世代審査・相談体制構築の今後のスケジュール

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

世界第一級の審査・安全対策機関を目指して

～PMDA第3期中期計画の主な項目～

主要課題

審査ラグ「0」の実現
開発ラグ解消の支援

安全対策
強化

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)

リスク管理計画
導入への対応

再生医療等製品の特別
な早期承認制度の導入

革新的な医療機器への
審査の重点化

再生医療製品や
埋植型医療機器等の
レジストリの構築

相談業務の大幅拡充
(薬事戦略相談の拡充)

- 有望なシーズの実用化促進
- 企業向け開発相談の拡充等

医療情報
データベース
の利活用

日本再興戦略
健康・医療戦略
などの
社会的要請
に対応

欧米と同等の電子申請データを活用した次世代審査体制の構築

大前提: 欧米並の体制と優秀な人材の確保 (参考)PMDA[751人→1,065人]

(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 ドイツ 約900人 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。

注2) PMDAの全職員数は708人[2013.4]

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

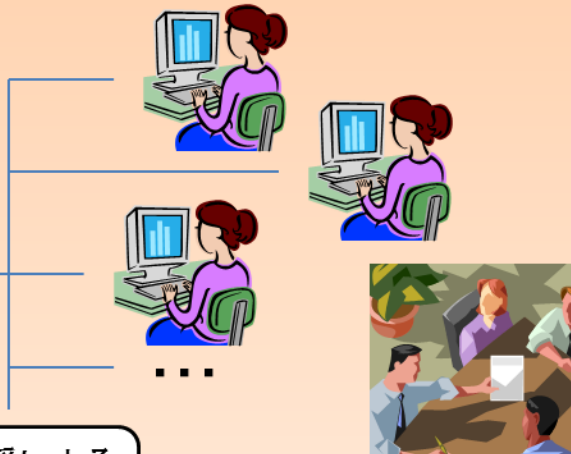


データ閲覧ソフトの支援によるデータの視覚化、解析

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



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
 - －小児用量の検討
 - －疾患モデルの作成
 - －評価指標の開発、等
- ◆ガイドライン作成への利用

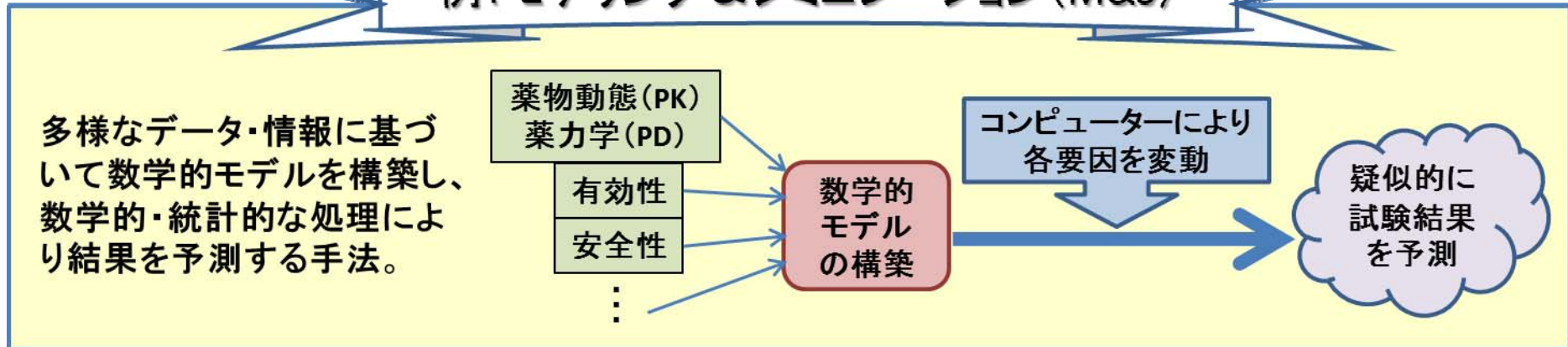


全ての品目の情報を入手できる審査当局だからできることも

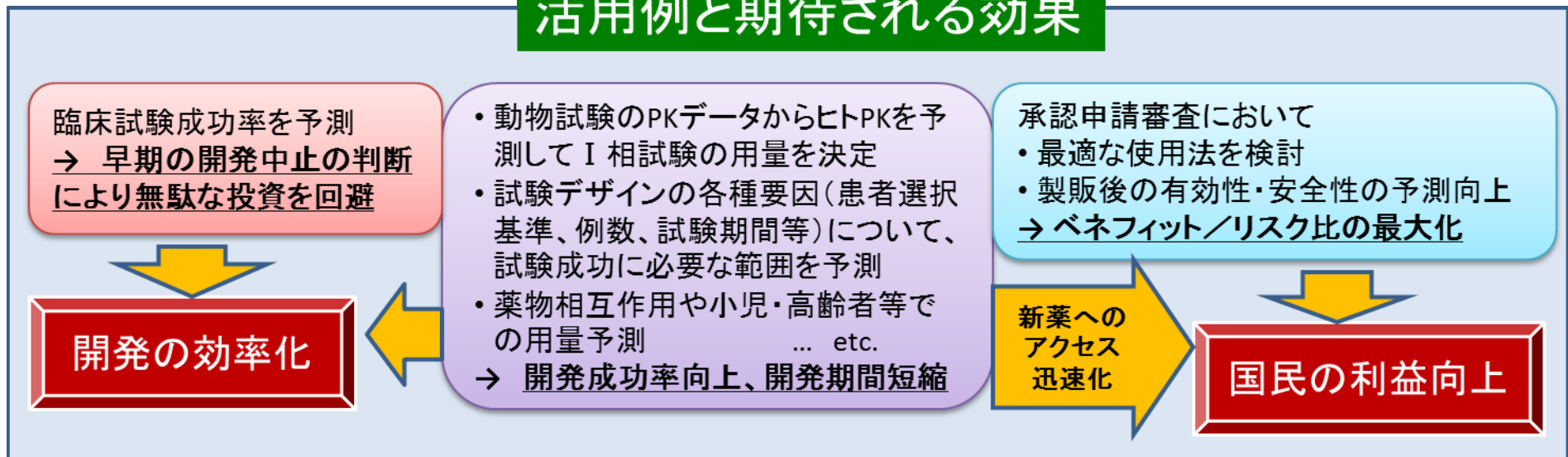
審査・相談、GL作成による開発効率化への貢献
ドライラボでのさらなる分析

モデリング & シミュレーション (M&S) の活用

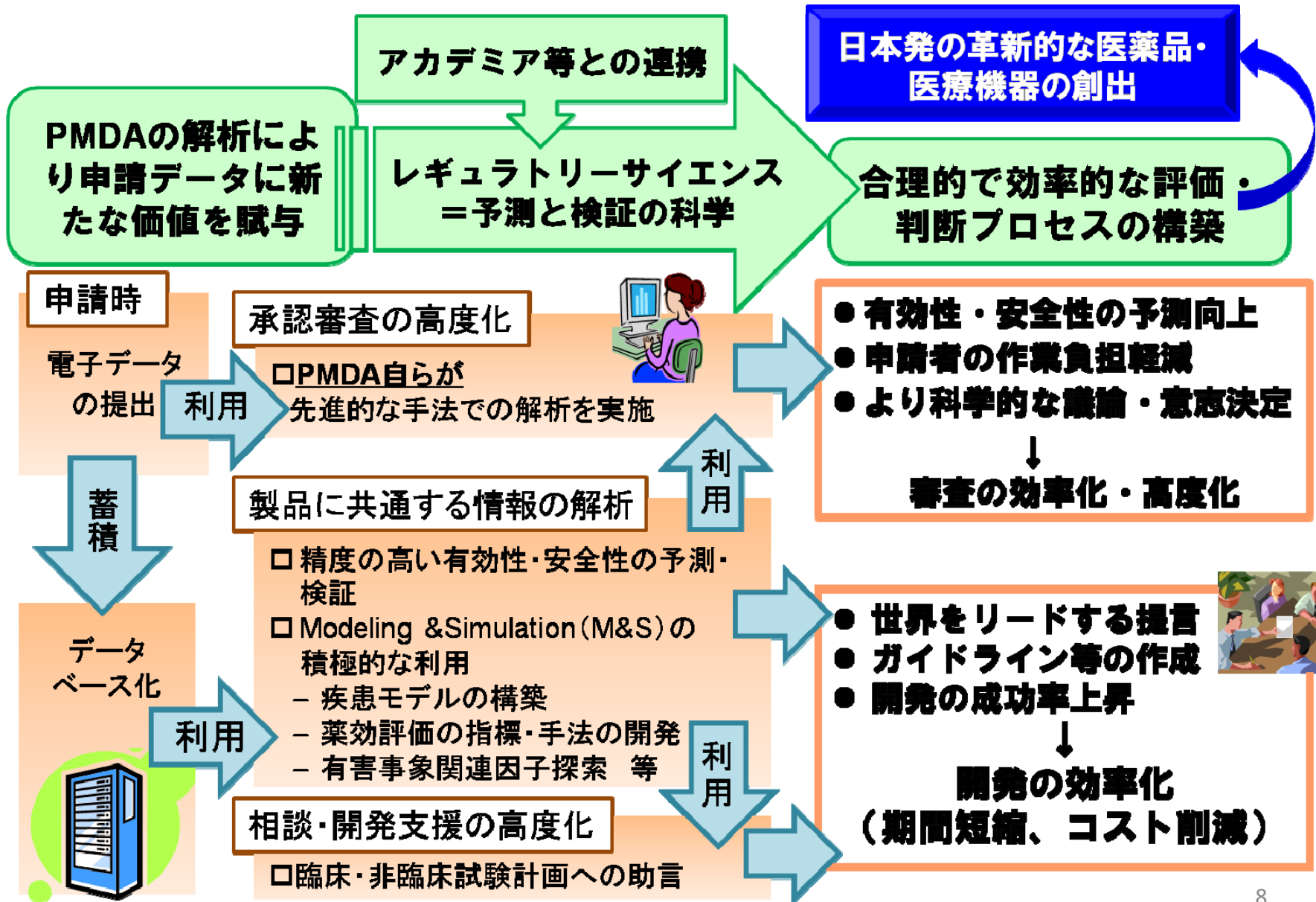
例: モデリング & シミュレーション (M&S)



活用例と期待される効果



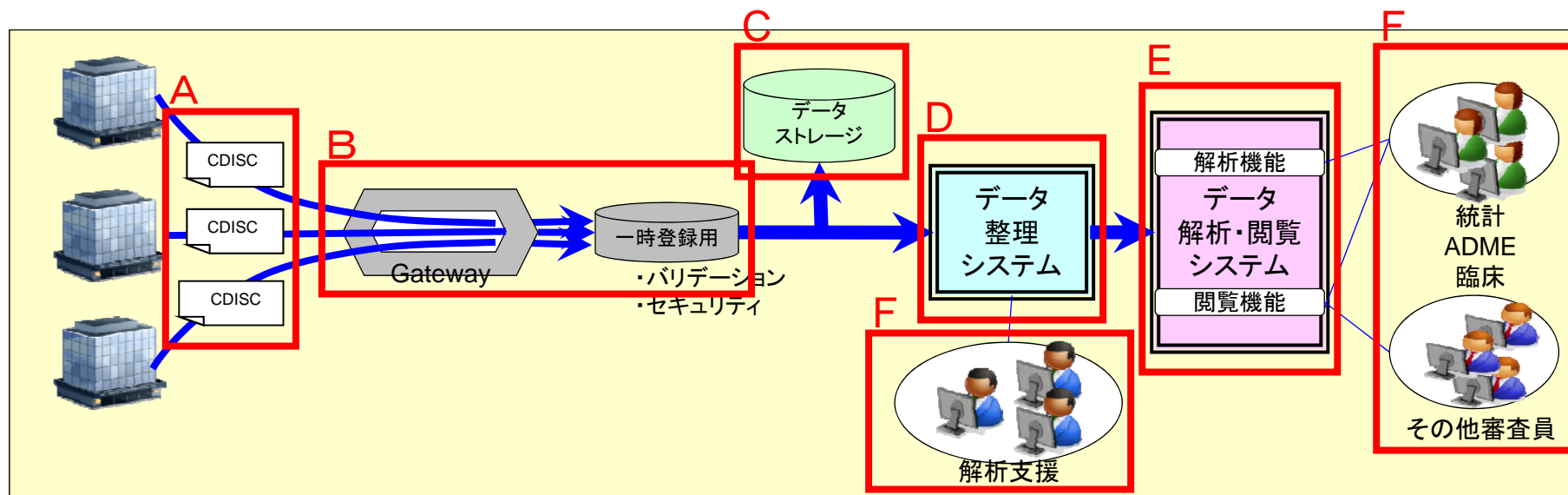
先進的な解析・予測評価手法を用いた審査・相談体制



海外における臨床試験電子データ及びCDISC標準活用に向けた取り組み

	臨床試験電子データ関連の状況	CDISC標準活用の状況
FDA (米国医薬食品局)	<ul style="list-style-type: none"> • PDUFA (Prescription Drug User Fee Act) の第五期更新 (2013~2017年) において電子データによる申請が原則化 • 2009年から、開発前期データを用いた Modeling & Simulation (M&S) 等による開発後期の試験デザインを助言 • 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 	<ul style="list-style-type: none"> • 2000年代から検討され、2004年にCDISCによるデータ提出を採用 • データ提出に際する技術的準拠ガイド (Technical Conformance Guide) などを公表
EMA (欧州医薬品庁)	<ul style="list-style-type: none"> • 2013年1月からM&Sを相談・審査に導入。(M&S Working Party等の発足) • 2013年より、電子データをeSubmission Gatewayを経由して提出することが可能となった 	<ul style="list-style-type: none"> • 治験の透明性向上を目的とした治験データの公開のための施策検討中 • 同施策におけるCDISC標準の採用を検討している
CFDA (中国国家食品薬品监督管理局)	<ul style="list-style-type: none"> • 2013年より、臨床試験電子データの提出、データベース化に向けた5カ年計画を発表 • 電子申請に関するパイロットプロジェクト実施 	<ul style="list-style-type: none"> • 2013年6月よりCDISC標準の利用を開始

システム概要



A) CDISC標準規格に準拠したデータ

B) ゲートウェイを介した電子的提出及び自動検証(バリデーション)

C) 原本データの一元的な保管

D) 解析に向けたデータ処理

E) データ解析及び解析結果の共有

F) 次世代審査運用体制

標準化された電子データの提出により 期待されるメリット

規制 当局

- 客観的でより科学的な議論・意思決定による審査の効率化・高度化
- 品目横断的な検討や、Modeling & Simulation等の活用にもつながる
e.g. 薬物動態と臨床効果との関連、臨床効果の用量反応性、疾患経過や予後予測
- 製品に共通する情報解析結果からのガイドラインや提言の早期作成

企業

- PMDAで実施した様々な解析結果に基づいた承認審査・対面助言による開発成功率の向上
- 従来の承認審査での負担軽減(再解析の照会事項減少・軽減)
- 国際標準に合わせた社内体制の整備推進

患者

- 迅速・効率的な開発による製品の早期実用化の恩恵
- 特に希少疾病用医薬品開発等、患者数が少なくデータ集積が困難な領域での開発促進につながる
- 有効性や安全性に関するより合理的・効果的な予測に基づいた治療を受けられる

本日の内容

1. 次世代審査・相談体制構築に向けた全体像
2. 次世代審査・相談体制構築の今後のスケジュール

中長期的な展望

現時点の想定と期待

- 申請データを滞りなく受け取り適切に管理
- 審査でのデータ活用が可能
- 承認までの期間維持、企業負担徐々に減少へ

H28年度

データ受け入れ体制整備

現在 (H26年度)

ペーパーレスの促進

- 審査での有効性・安全性の予測向上
- 毒性試験、市販後臨床試験等の電子データ利用の検討へ

H30年度

個別品目審査でのデータ活用が定着

H31~33年度

品目横断的検討本格的に開始

- 各ガイドラインや留意事項等を策定
- 品目横断的検討、疾患モデルの検討を本格化

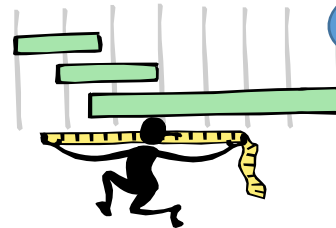
H34~35年度

ガイドライン発信→開発への貢献

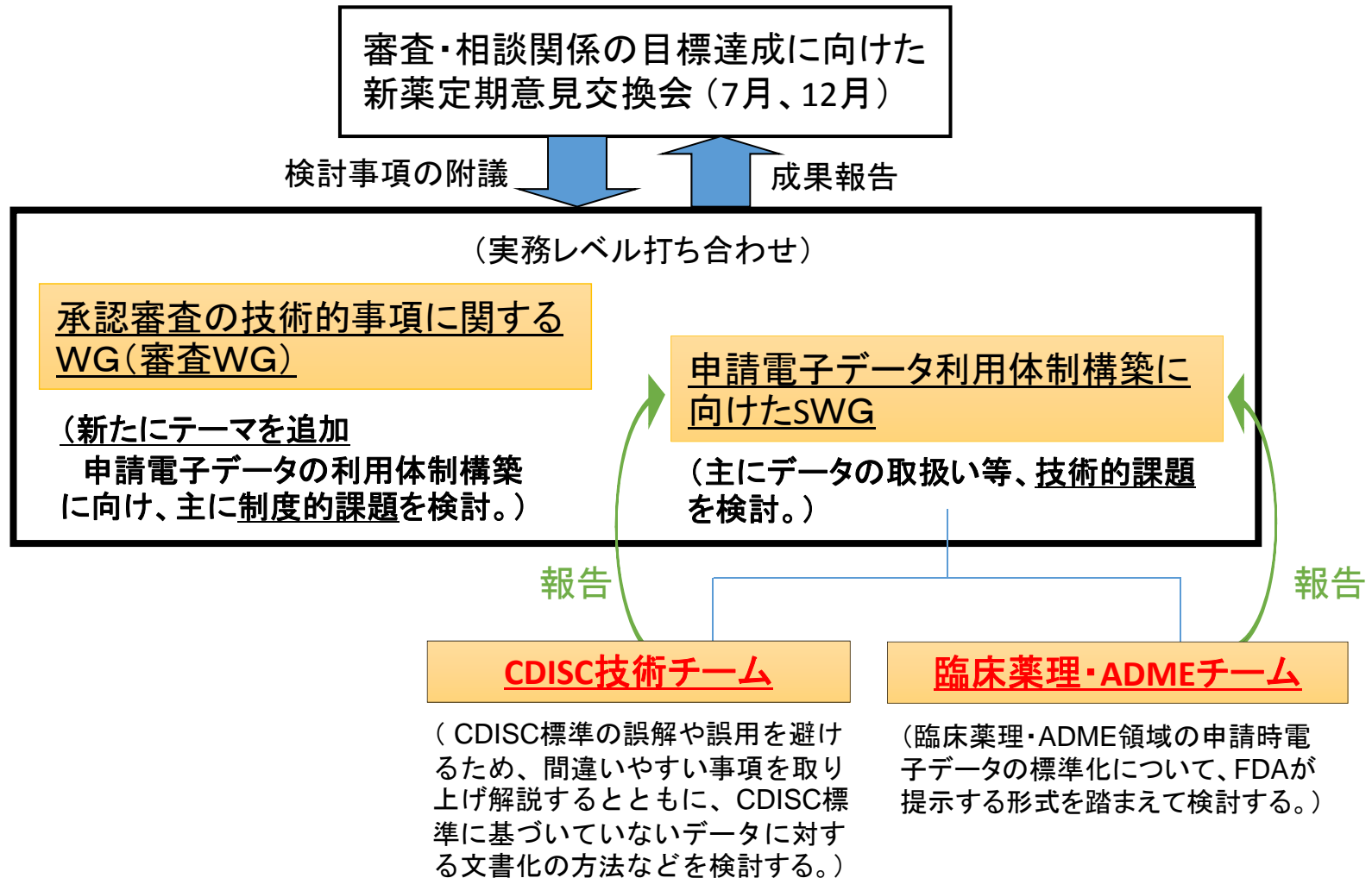
- 疾患モデルを策定
- 疾患別ガイドラインを策定

「世界第一級の」
審査機関へ

アジア人のデータに基づくガイドライン、疾患モデル等



臨床試験電子データ利用体制構築に向けた 業界との話し合い体制



臨床試験電子データ提出・活用実現へのプロセス

年度	おもな実施事項	目的
H25 年度	次世代審査・相談体制準備室設置 調査(FDA実態、業界意向等) データストレージ機材調達 データ標準規格評価、バリデーション仕様決定 閲覧・解析用ソフトの選定・調達、教育・研修 臨床電子データ試行的入手、閲覧・内部解析の試行	基本的なシステムの構築 システムのフィージビリティ確認 問題点の抽出と対応確認
H26 年度	次世代審査等推進室設置 電子データ利用の基本的考え方 通知発出 電子データ受付方法の決定 個別品目の電子データ閲覧・内部解析の試行 申請電子データ提出計画相談(仮称)試行	システム運用体制整備 審査プロセスの検討
H27 年度	電子データ利用の実務的内容 通知発出 データ整理システムの構築 審査実務を想定した電子データ閲覧・内部解析の試行 申請電子データ提出計画相談(仮称)開始	審査プロセスの確立
H28 年度	新医薬品の申請で臨床電子データの提出開始	新医薬品の審査で電子データ閲覧・解析を実施
H29 年度	非臨床試験等、適用範囲の拡大検討、助言品目への 内部解析による対応検討 品目横断的解析の試行	助言品目での内部解析利用検討 品目横断的解析の利用検討
H30 年度	全ての新医薬品の申請で臨床電子データ提出(移行 措置期間終了予定) アカデミアとの連携検討	助言品目での内部解析及び品目横断的解析の拡大 アカデミアとの連携体制構築

6/20付 発出されました！！

今後、変更の可能性もあります

平成28年度までのスケジュール(案)

タスク	H26年度												H27年度												H28年度											
	5	6	7	8	9	10	11	12	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1	2	3	
通知等	▲ 基本的通知 — 実務的通知 — データ提出計画相談(仮称)通知 — 技術的準拠ガイド(仮称) QA等 関連情報随時更新																																			
審査	第1回 パイロット				第2回 パイロット				H27年度パイロット												臨床電子データ提出開始 (時期は、別途通知予定)															
申請電子データ 提出計画相談 (仮称)	相談試行 (事前面談)												相談枠新設																							
システム構築	システム構築												システム構築												データ受付等 システム運用テスト											

申請電子データ利用体制構築プロジェクト — 目指す未来 —

