PMDAにおける
レギュラトリーサイエンスの取組み

フォーラム富山「創薬」第44回研究会

独立行政法人　医薬品医療機器総合機構
レギュラトリーサイエンス推進部　推進課長
堀　明子

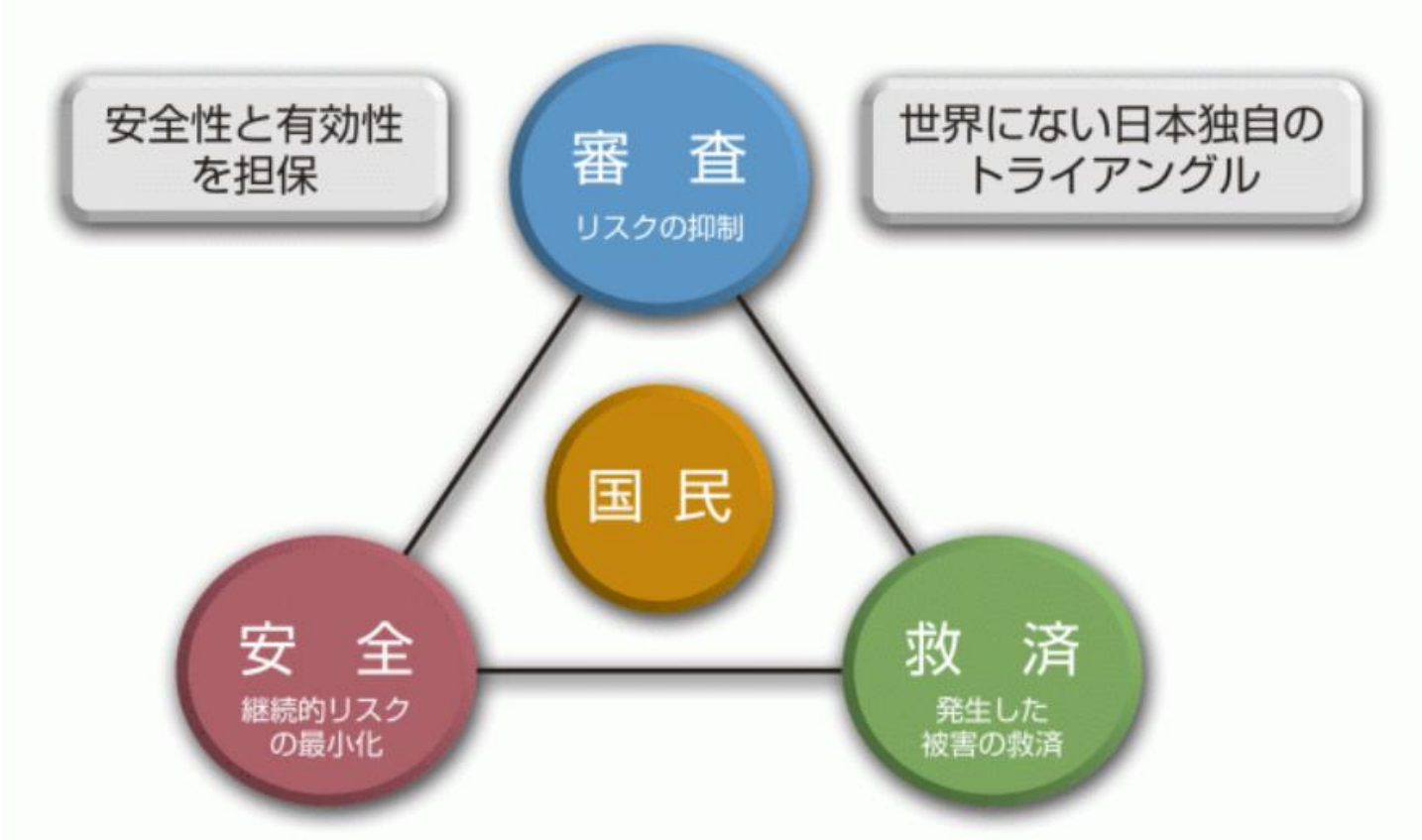
本日お話しすること

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- PMDAの業務とレギュラトリーサイエンス
- レギュラトリーサイエンス推進部における主な業務
  - アカデミアとの連携
  - 横断的基準作成等プロジェクト
  - 科学委員会

PMDAの三業務（セイフティ・トライアングル）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構



業務の基盤となるものがレギュラトリーサイエンス

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」（第4次科学技術基本計画　平成23年8月19日閣議決定）
- 「医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学の振興」（健康医療戦略推進法）

PMDAの理念

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- わたしたちは、以下の行動理念のもと、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します。
- 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- 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により、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点で的確な判断を行います。
- 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します。
- 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

PMDAにおけるレギュラトリーサイエンスの推進

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- アカデミアとの連携
  - 革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業
  - 連携大学院協定
  - 包括的連携協定
  - その他（大学等への講師派遣調整等）
- PMDA職員に対する研究推進、研修、人材育成
- 横断的基準作成等プロジェクト
- 科学委員会

＊赤字はレギュラトリーサイエンス推進部にて実施

革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- 最先端の技術を研究している大学等におけるレギュラトリーサイエンスを基盤とした安全性と有効性の評価法の確立を支援。
- 大学等と、国立医薬品食品衛生研究所（NIHS）、医薬品医療機器総合機構（PMDA）等との間で人材交流を行い、レギュラトリーサイエンスに精通した人材を育成。
- 厚生労働省予算事業（平成24年度から平成28年度まで）

最終年度！

医薬品医療機器総合機構

国立医薬品食品衛生研究所

人材交流による人材育成の推進

審査員の出向（派遣）

研究者の受入

大学等研究機関

医療機関等

研究等の成果

革新的技術の習得

審査等の迅速化・質の向上

レギュラトリーサイエンスに精通した人材の育成

適切な研究開発の促進

基準、ガイドライン等の早期作成

革新的な技術の実用化促進

（ドラッグラグ、デバイスラグの解消）

革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

分野	実施機関	研究内容	開始年度
医薬品	北海道大学大学院薬学研究院	がん、ナノテクノロジー	平成24年度
	東北大学大学院薬学研究科	ゲノム薬理学	平成24年度
	東京大学医学部附属病院	アルツハイマー病、臨床評価	平成24年度
	国立がん研究センター中央病院	がん、個別化医療、分子イメージング	平成24年度
	国立成育医療研究センター病院	小児疾患、遺伝子治療薬	平成24年度
	名古屋市立大学大学院薬学研究科	がん、個別化医療	平成24年度
	京都大学大学院医学研究科	アルツハイマー病、非臨床評価、薬剤疫学	平成24年度
	大阪大学大学院薬学研究科	核酸医薬	平成24年度
	東京大学医科学研究所	がんウイルス療法	平成25年度
	三重大学医学部附属病院	がんワクチン・免疫療法	平成25年度
医療機器	東北大学大学院医工学研究科	がん、電磁波・超音波治療装置	平成24年度
	筑波大学医学医療系	整形・歯科領域、コンビネーションプロダクト	平成24年度
	国立がん研究センター東病院	がん、次世代型内視鏡システム	平成24年度
	東京大学大学院工学系研究科	低侵襲治療機器	平成24年度
	早稲田大学先端生命医科学センター（TWIns）	定量的評価法、国産人工弁	平成24年度
	国立循環器病研究センター	次世代型循環補助装置	平成24年度
	九州大学大学院医学研究院	循環器疾患、次世代型治療機器	平成24年度
再生医療製品	北海道大学大学院医学研究科	脳梗塞の再生医療	平成24年度
	国立成育医療研究センター	ES細胞	平成24年度
	千葉大学大学院医学研究院	脊髄損傷の再生医療	平成24年度
	京都大学iPS細胞研究所	iPS細胞、血小板等	平成24年度
	大阪大学大学院医学系研究科	心筋シート、角膜シート、軟骨再生等	平成24年度
	国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所	加工細胞の品質評価法	平成24年度
	国立研究開発法人理化学研究所	iPS細胞、ES細胞	平成25年度

https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/facilitate-developments/0001.html

連携大学院協定（平成21年度～）

斜体

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

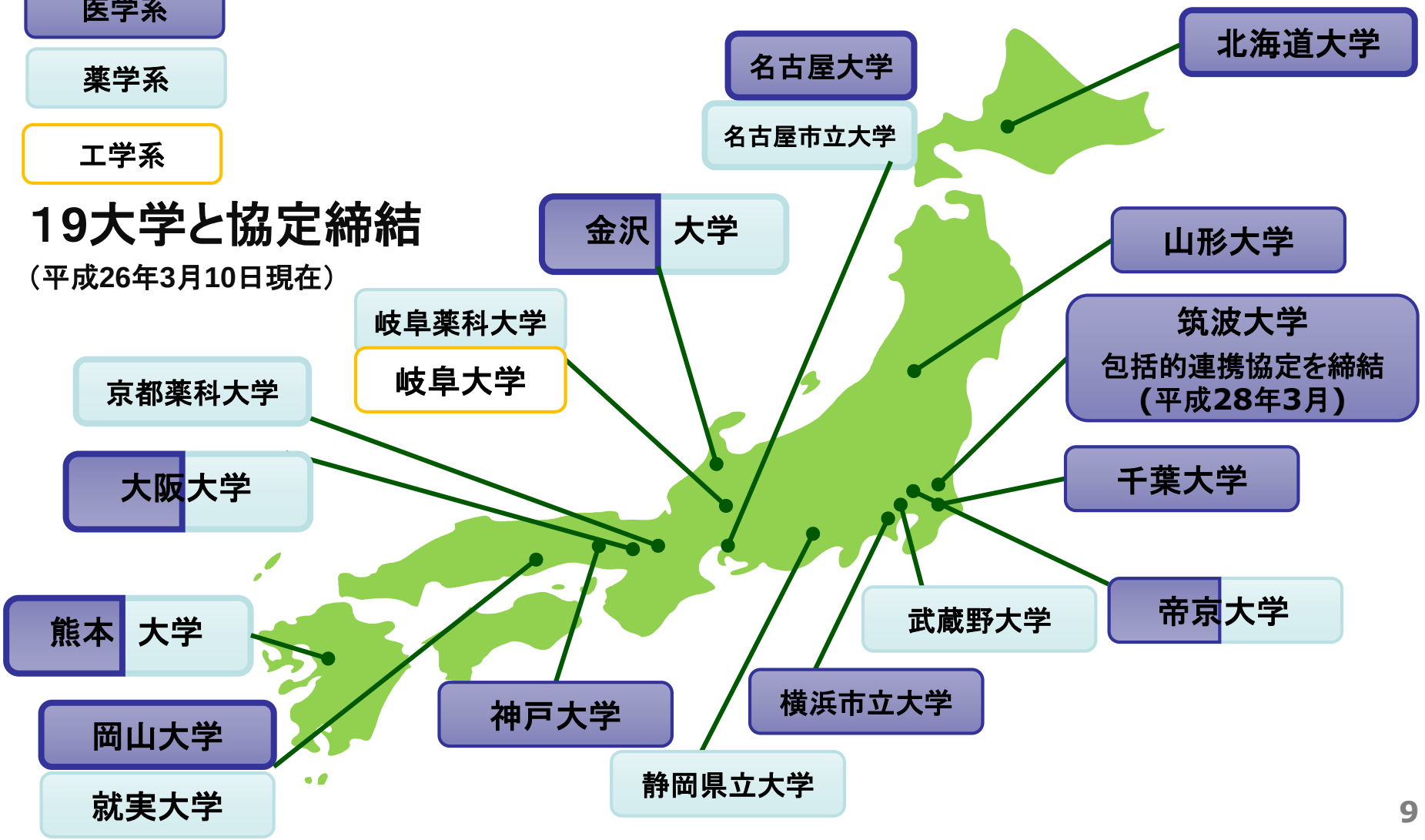
医学系

薬学系

工学系

19大学と協定締結

（平成26年3月10日現在）



包括的連携協定（平成27年度～）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

アカデミア等と連携し、有効性・安全性・品質確保及びその信頼性保証において医療水準の向上に貢献するために、専門機関と広範な分野で協力・連携を進める体制を構築する。

包括的連携協定の例

人材交流　（必須事項）
（PMDAへの恒常的な職員の出向、PMDAからの派遣等）

人材育成	教育課程編成参画	情報交換
学位審査参画	客員教員派遣・受け入れ	共同研究
大学院生の受け入れ・指導	PMDA職員の大学院入学・学位取得	情報発信普及啓発

●連携対象
大学だけではなく国立高度専門医療　研究センター（ナショナルセンター）等も連携対象とする。

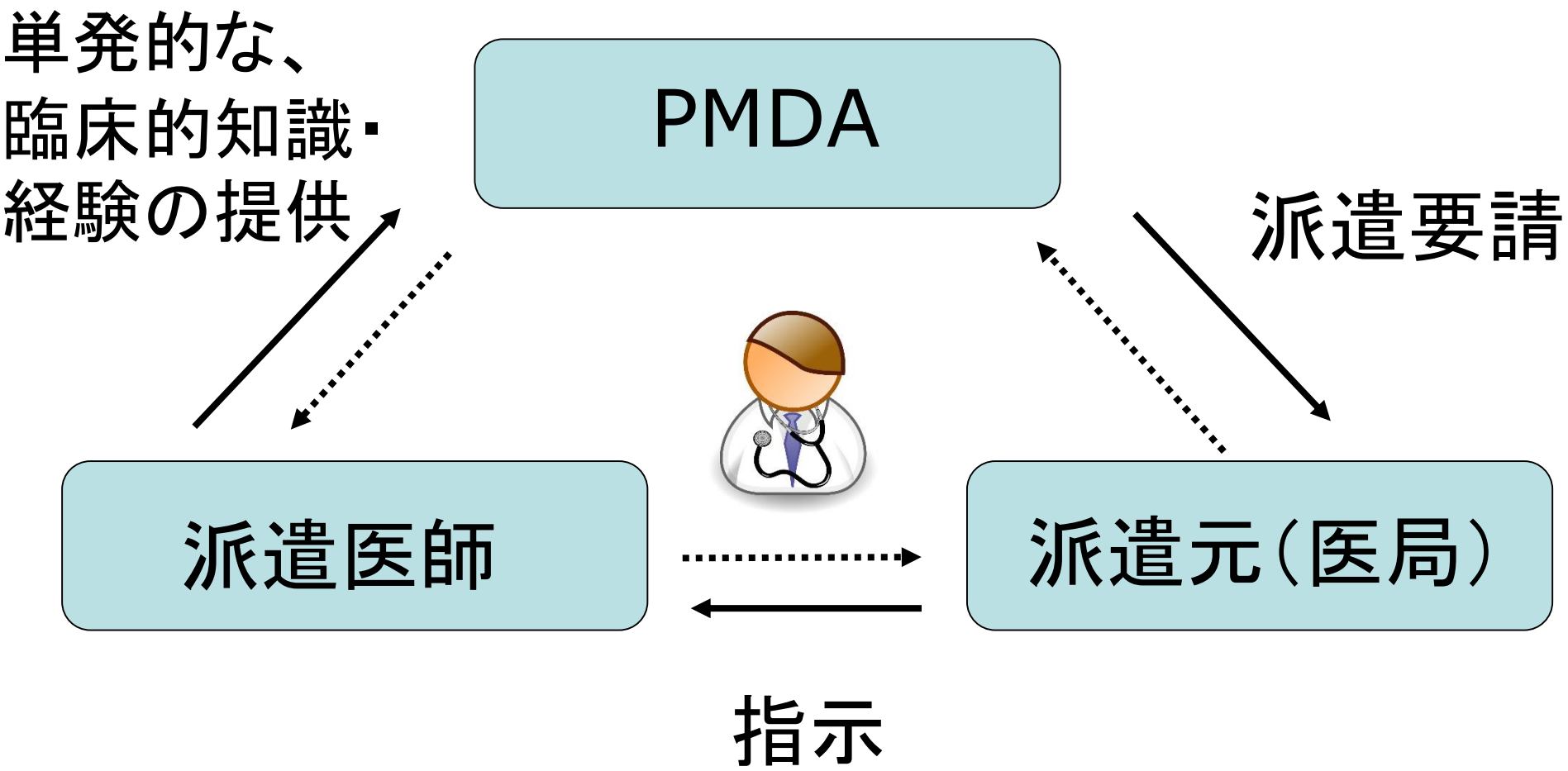
●人材交流
連携関係の基盤を人材交流とすることで、人材育成と連携テーマの実行可能性の向上を図る。

●連携テーマ
特徴ある効果的な連携の実現を目指して、連携項目や内容を双方で協議しながら選択、設定する。

連携先：国立がん研究センター（本年2月）、広島大学（本年3月）、
慶應義塾（本年3月）、筑波大学（本年3月）、国立精神・神経医療研究センター（本年7月）

これまでの人材交流イメージ（臨床医）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構



これからの人材交流イメージ（臨床医）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

PMDA

継続的な、臨床的知識・経験の提供

薬事の知識・経験の提供

レギュラトリーサイエンスの教育に協力

人材の安定供給

派遣医師

自らの使命の達成

派遣元大学、病院

組織としての戦略に基づく派遣

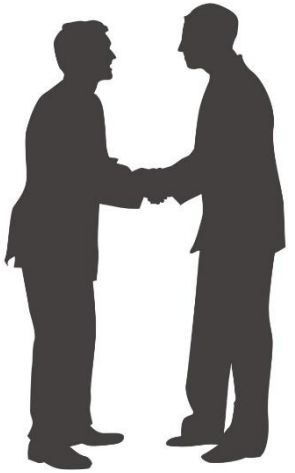
包括的連携協定のポイント（1）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

◆ 人材交流
- 必須事項であり、根本的な重要事項！

◆ 共同研究、情報発信、情報共有
- テーマを設定した共同研究、勉強会
- 双方の得意分野を生かして設定
- ガイダンスや考え方の発信等

◆ 人材育成、研修、学位取得
- 相互においてプログラム化を目指す
- 学位取得支援へつなげる　等



広範な連携、協力体制を組み、医療水準の向上に貢献することが目的！

包括的連携協定のポイント（2）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- あらかじめ、組織間での連携の意義や目的等を十分に整理すること
- 想定される課題もあらかじめ整理が必要
- 互恵関係、相互補完のもと、成果を出していくこと
- 定期的に進捗状況を把握し、見直していくこと
- 締結後5年で継続の有無を判断

国立がん研究センター

平成28年2月2日　包括的連携協定を締結

共同研究	**製造販売後の臨床研究・安全対策への協力** NCCが実施する「新規抗がん薬の治療最適化を目指した包括的情報集積体制の確立に関する研究」を共同で行い、新しく承認されるがん領域の医薬品の適正使用促進を目指します。
情報発信 普及啓発	**実用性の高い指針・手引き等の作成についての協力** がん領域において、規制と臨床の双方を踏まえた実用性の高い指針・手引き等の作成を目指します。
人材育成	**研修体制の確立** PMDA職員に対し国立がん研究センターでの研修を実施します。NCC職員は、医薬品・医療機器行政での人材育成において、がん領域の専門家として貢献します。

広島大学

平成28年３月　包括的連携協定を締結

共同研究	**医薬品・医療機器等の適正使用の促進** 広島大学が実施する臨床研究や大学病院における調査・研究を共同で行い、医薬品・医療機器等の適正使用の促進を目指します。
人材育成	**研修体制の強化** 広島大学が進める各種教育プログラムや大学院 と連携し、PMDA職員も受講可能な研修を実施することで、生物統計学、薬物動態学、医工学など専門性の高い人材を育成・輩出します。

慶応義塾

平成28年３月　包括的連携協定を締結

共同研究

医薬品・医療機器等の適正使用の促進

「安全対策にかかる検証的研究」を共同で行い、安全対策のより効果的な方策に向けて検討を行います。

人材育成

研修体制の強化

PMDA は、職員を慶應義塾大学に派遣し、医学部・薬学部を中心に講義を受講、あるいは講義を行うことを通して、行政の視点を持つ人材を育成します。

慶應義塾は、臨床医学分野の専門家が医薬品、医療機器等の審査業務等を行うことを通じて、レギュラトリーサイエンス振興に寄与する人材を育成します。

筑波大学

平成28年３月　包括的連携協定を締結

共同研究	革新的な医薬品等の開発に役立つ評価方法の共同研究の実施を検討する。これにより我が国における革新的な医薬品等の実用化に向けた研究開発の促進に貢献する
人材育成	PMDA役職員を筑波大学の連携教員とする「連携大学院」を継続し、大学院人間総合科学研究科において医薬品医療機器等のレギュラトリーサイエンスに関する教育、研究指導を実施する。 筑波大学が推進する医療現場研修プログラムや連携大学院の人材育成プログラムを充実させる。

国立精神・神経医療研究センター

平成28年7月　包括的連携協定を締結

情報共有	**精神・神経領域の情報交換の推進** 精神・神経医療研究センターの医薬品開発（患者レジストリ、治験ネットワーク等）について意見交換等を行い、医薬品開発、安全対策等における精神・神経領域の特徴や課題を共有します。
情報発信 普及啓発	**指針・手引き等の作成についての協力** 精神・神経領域の医薬品開発に資する考え方の指針や手引き等の作成に向けた検討を実施します
人材育成	**研修体制の確立** PMDA職員に対し、精神神経医療研究センターでの研修を実施します。PMDA職員は、薬事やレギュラトリーサイエンスに関する考え方をセミナー等を通して提供します

NCCとPMDAとの人事交流

国立がん研究センター作成資料改変

NCC

双方向性の人事交流

異動人員数
約40人(1997年～2015年)

pmda

国立研究開発法人国立がん研究センター中長期目標
（平成27年4月1日）

人事の最適化に関する事項
医薬品や医療機器の実用化に向けた出口戦略機能の強化や、新たな視点や発想に基づく研究等の推進のため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構や諸外国を含めた他の施設との人事交流をこれまで以上に推進する。

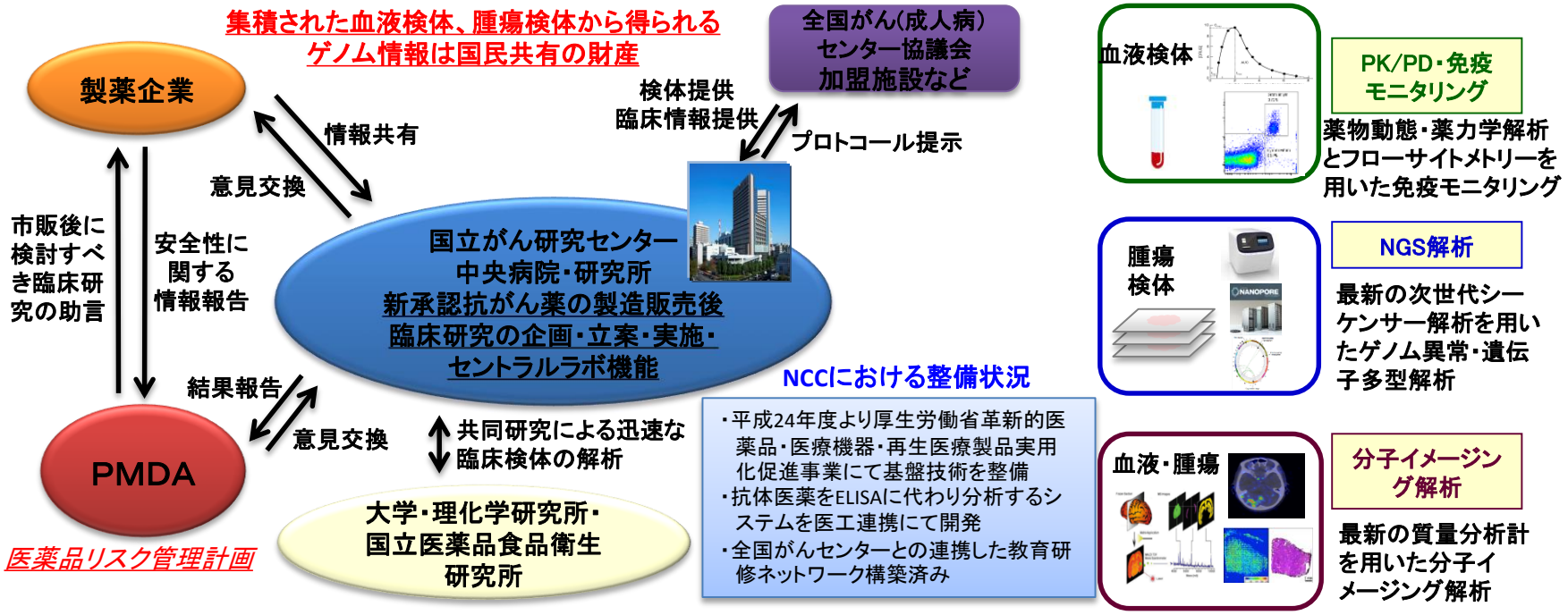
平成27年度　革新的がん医療実用化研究事業
新規抗がん剤のPK/PD/PGx に基づく適正使用と安全性確保に関する研究

目的

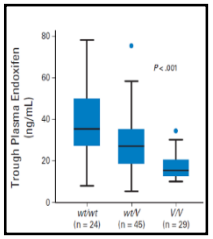
アカデミア・製薬企業・行政連携関が連携し、承認前より安全監視計画を立案し、販売直後からNCCと全がん協加盟病院が共同で患者情報・血液・腫瘍検体を収集・分析することで、適正使用ガイドライン作成を目指す

現状

- 国際共同治験が先行し承認されるため、日本人における使用経験が少なく、PK/PD解析に基づく個別化医療は困難。
- 治験の対象とならない高齢者、臓器機能低下患者への用量設定に関する基礎情報が乏しい。



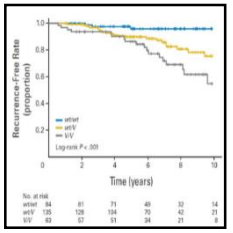
市販後に生じた問題を前向き臨床試験にて検証（*CYP2D6*の遺伝子多型とタモキシフェンの個別化医療研究）



・*CYP2D6*の遺伝子多型の違いにより、Endoxifenの血中濃度に有意な差があることの証明.
・人種差のデータ
→日本人に多い遺伝子多型では、過少投与の可能性

症例数：98

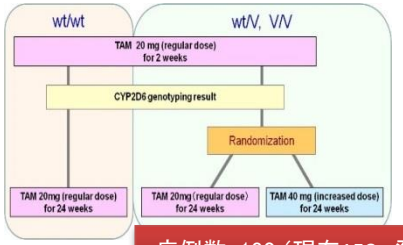
Kiyotani, et al. Hum Mol Genet. 2012; 21:1665-1671.



大規模後ろ向き研究では、*CYP2D6*の遺伝子多型の違いにより無再発生存期間に統計学的有意な差がある。

症例数：282

Kiyotani, et al. J Clin Oncol 2010; 28:1287-1293.



TARGET Trial

症例数：180（現在158　登録済）

研究費：文部科学省次世代がん(平成24−26年)

横断的基準作成等プロジェクトチーム

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

◆ 医薬品･医療機器の開発促進や審査基準等の国際連携の推進、審査迅速化につながる規準やガイドライン等を作成することを目的

Stakeholders：厚生労働省、業界団体、アカデミア、海外規制当局等

横断的基準作成等プロジェクトチーム

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- 2011年8月に「横断的基準作成プロジェクト」として設置
- 現在、10のワーキンググループ（WG）が活動中

WG		活動目的・成果等
1	コンパニオン診断薬WG	**① 次世代シークエンサー(NGS)を用いたコンパニオン診断システムの規制上の取扱い・評価方針の検討** 1）H28.4.28薬生機発0428第1号・薬生監麻発0428第1号通知 「遺伝子検査システムに用いるDNA シークエンサ等を製造販売する際の取扱いについて」 2）H28.7コンセプトペーパー 機構HP掲載 「次世代シークエンサーを用いたコンパニオン診断システムの評価方針について（案）」 **② コンパニオン診断薬の同等性評価に係る考え方を整理** 1）「コンパニオン診断薬の同等性評価に係る検討事項（案）」取りまとめ中
2	ナノ医薬品WG	**ロ ナノテクノロジーを応用した医薬品の評価方針作成への協力** 1）H26.1.10薬食審査発0110第1号通知 「ブロック共重合体ミセル医薬品開発に関する厚生労働省／欧州医薬品庁の共同リフレクションペーパー」 2）H28.3.28薬生審査発0328第19号通知、事務連絡 「リポソーム製剤の開発に関するガイドライン」、「質疑応答集（Q&A)」 3）H28.3.28事務連絡 「核酸（siRNA）搭載ナノ製剤に関するリフレクションペーパー」

横断的基準作成等プロジェクトチーム

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

	WG	活動目的・成果等
3	CIN対応WG	□ **医薬品・医療機器開発、製造販売後調査に活用可能な患者レジストリ活用に向けた検討** ■ H28.2活動開始 ■ レジストリ構築に関するAMED研究事業への協力
4	革新的製造技術WG	□ **革新的な医薬品製造技術に関する審査・GMP調査における対応方針の検討** ■ H28.７活動開始 ■ 当面は連続生産について検討

【上記以外の活動中WG】

5	オミックスWG	オミックス（PGx、プロテオミクス等)を利用した医薬品・医療機器に関するガイドライン等の作成検討
6	小児医薬品WG	小児用医薬品の開発促進等に関する事項の検討（H28.11ワークショップ開催予定）
7	オーファン医薬品WG	希少疾病用医薬品の開発促進等に関する事項の検討
8	ICH Q12対応WG	ICH Q12（医薬品のライフサイクルマネジメント）に対応した国内制度の検討
9	国際共同治験WG	国際共同治験に関する事項の検討
１０	心血管系リスク評価WG	催不整脈リスク等心血管系リスク評価に関する検討

科学委員会について

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

- 医薬品・医療機器審査等業務の科学的側面に関する事項を審議する機関
- 平成24年5月14日に設置
- アカデミアや医療現場との連携・コミュニケーションを強化し、先端科学技術応用製品へのより的確な対応を図ることを目的
- 個別品目の承認審査には関わらないが、個別品目に係る資料を用いることがあるために、会議は非公開（PMDA職員は傍聴可）

科学委員会の枠組み

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

PMDA

科学委員会事務局

理事

審査センター長

副審査センター長

構成及び具体的業務内容

科学委員会と連携して、医薬品・医療機器、再生医療等製品の審査等業務をより科学的なものへと向上させる活動を行う。

審査・安全等の関係部

連携

意見交換

科学委員会

- 医薬品・医療機器審査等業務の**科学的な課題**に関する審議。
- 科学委員会委員は、医歯薬工などの外部専門家で構成。委員名簿は　専門部会委員も含め公開。科学委員会、専門部会とも個別事例を基に議論することがありうるため、**会議は非公開。ただし、議事録は原則公開。**
- **個別品目の承認審査には関わらない。公正性の確保。**

親委員会

テーマを選定し、専門部会を設置する。
専門部会委員の選定を行う。

○専門部会

△専門部会

□専門部会

科学委員会の報告書
（PMDAのホームページに掲載）

独立行政法人
医薬品医療機器総合機構

訪問者別ナビゲーション
おすすめのコンテンツをご案内します
製品種類別ナビへ切替

一般の方向け | 医療従事者向け | アカデミア向け | 企業向け

ホーム | 審査関連業務 | 安全対策業務 | 健康被害救済業務 | レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方 | 国際活動（ICH・IMDRF等）

このページをよくみるページ一覧に追加する　本文のみ印刷する　Click here for English Pages

ホーム ＞レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方 ＞科学委員会運営業務 ＞議論の取りまとめ報告書

レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方
- レギュラトリーサイエンス推進業務
- 科学委員会運営業務
  - 科学委員会運営業務の概要
  - 科学委員会
  - 議論の取りまとめ報告書
  - 科学委員会専門部会（第2期）
  - 科学委員会専門部会（第1期）
- 基準作成調査業務
- シンポジウム・ワークショップ

議論の取りまとめ報告書

第2期（平成26年4月～平成28年3月）に公開された報告書

- プラセボ対照試験の現状と考え方
- 抗悪性腫瘍薬開発における非臨床試験の活用に関する提言※
- 整形外科インプラントの強度評価への数値解析使用に関する報告書
- 医療機器の小児への適応評価のあり方に関する議論のまとめ
- 再生医療等製品の品質確保における基本の考え方に関する提言

※英語に翻訳されたもの"Report on the use of non-clinical studies in the regulatory evaluation of oncology drugs"は日本癌学会の機関誌であるCancer Science誌に掲載された（*Cancer Sci.*, 107(2):189-202, February 2016, DOI 10.1111/cas.12857）。論文はオープンアクセスとしてクリエイティブコモンズのCC-BY-NC-NDライセンスにて出版された。CC-BY-NC-NDでは論文の書誌情報および論文へのリンクを表示し、かつ非営利目的であり元の論文を改変（翻訳を含む）しなければ第三者が論文を自由に再配布できる。（CC-BY-NC-ND についての詳細はこちら）

第1期（平成24年5月～平成26年3月）に公開された報告書

ご清聴ありがとうございました