

# 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 Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

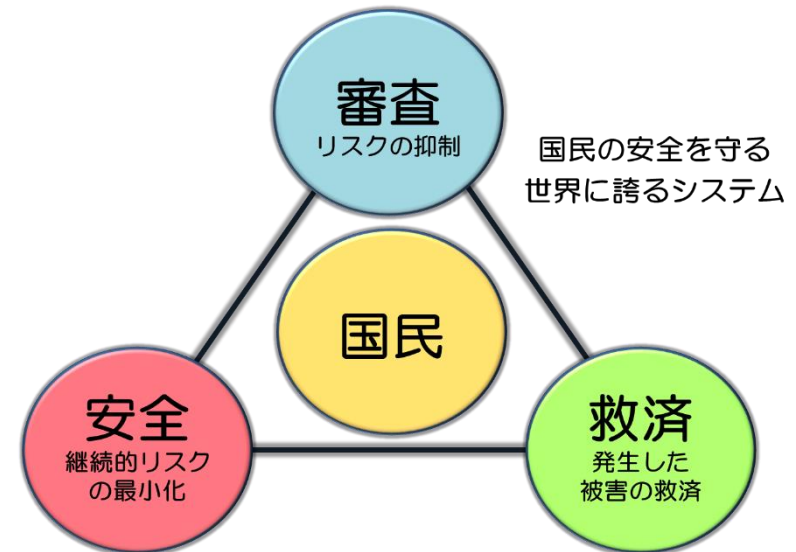


PMDAは、  
医薬品の副作用や生物由来製品を介した  
感染等による健康被害に対して、迅速な  
救済を図り(健康被害救済)、

医薬品・医療機器・再生医療等製品など  
の品質、有効性及び安全性について、治  
験前から承認までを一貫した体制で指導・  
審査し(承認審査)、

市販後における安全性に関する情報の収  
集、分析、提供を行うこと(安全対策)  
を通じて、国民保健の向上に貢献すること  
を目的としている独立行政法人。

## PMDAのセイフティ・トライアングル



# PMDAの理念(2008年9月)

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。

- ① 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。
- ① 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。
- ① 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の的確な判断を行います。
- ① 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。
- ① 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。

# なぜ科学委員会なのか

## PMDAを取り巻く課題

- ① 再生医療等先端科学技術分野(抗体医薬、コンパニオン診断薬、人工心臓、再生医療、ガンワクチンetc)における研究内容を理解した審査・相談業務が求められている。
- ② より迅速に医療現場に届けるには、申請前の非臨床、臨床試験、あるいはシーズ段階からの先端科学技術に対する的確な相談・助言が求められている。
- ③ 加速する技術革新をキャッチアップし、最先端の技術の実用化に貢献できる審査員の継続的な育成にはアカデミアとの密接な連携が必要。



## 科学委員会の設置(平成24年5月)

## PMDA第三期中期計画(平成26年3月)(抜粋)

医学・歯学・薬学・工学等の外部専門家から構成される「科学委員会」を積極的に活用し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品の評価方法に関して、大学・研究機関等や医療現場との連携・コミュニケーションを強化するとともに、薬事戦略相談を含め先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図る。

# 科学委員会とは

- 今後の医療イノベーションの推進も踏まえ、レギュラトリーサイエンスの積極的推進とともに、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の確な対応を図ることを目的とし、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として、平成24年5月14日に設置されたPMDAの業務から独立した機関。
- 具体的役割として、薬事行政上の「審査(承認)基準」や「審査(開発)ガイドライン」ではなく、最先端科学技術等に係る内容を中心に「各審査項目の科学的評価にあたっての留意事項」の取り纏め等が期待される。個別品目の承認審査には関わらない。
- 委員は、医歯薬工などの外部専門家から構成されている。
- 議論すべきトピックごとに、科学委員会に専門部会が置かれる。
- 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。
- これまでに16報の取りまとめ報告書が作成されている。

# 科学委員会の親委員会、専門部会の役割

## 親委員会の役割

- ① 議論すべきテーマを決定し、そのトピック毎に専門部会を設置する。
- ② 専門部会委員の選定を行う。
- ③ 専門部会において作成された報告書(案)等について確認する。
- ④ 最新のトピックに関する情報提供(ご講演等)

## 専門部会の役割

- ・親委員会で決定されたトピックについて議論を行い、報告書(案)をまとめる。

# 第6期科学委員会のテーマ

## 1 エクソソームを含む細胞外小胞(EV)を利用した治療用製剤

部会長：高倉 喜信(京都大学大学院薬学研究科 教授)

副部会長：華山 力成(金沢大学 ナノ生命科学研究所 教授)

新規のモダリティとして、ウイルス安全性や、EVの不均質性(heterogeneity)をふまえた品質の確保、生産工程管理及び非臨床安全性の評価の考え方について検討し、評価における考慮事項を報告書として取りまとめる。

## 2 AIを活用したプログラム医療機器

部会長：佐久間 一郎(東京大学大学院工学系研究科 教授)

副部会長：伊藤 雅昭(国立がん研究センター東病院 副院長・大腸外科長)、  
中岡 竜介(国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部 埋植医療機器評価室長)

- ①データ再利用のあり方
- ②評価データに求められる条件
- ③市販後に性能変化することを意図するAI(Adaptive AI)の審査のあり方  
について取りまとめ、審査に役立てる。

## 3 標的指向性を有する*in vivo*遺伝子治療用製品のベクターに関する評価の考え方

部会長：久米 晃啓(自治医科大学 教授)

ベクターを患者に投与することにより生体内で効率的かつ安全にCAR-T細胞等を作製する*in vivo*遺伝子治療技術について、近年の開発状況、及び生体内で特定の細胞に遺伝子導入を行う製品を開発する上で留意すべき点を整理し、審査に役立てる。

# これまでの科学委員会の成果

## 第1期(平成24年5月～平成26年3月)

- ・医薬品の開発・承認審査に関わる個別化医療の現状評価に関する議論の取りまとめ
- ・抗がん剤の非臨床薬理試験に関する取りまとめ
- ・iPS細胞等をもとに製造される細胞組織加工製品の造腫瘍性に関する議論のまとめ

## 第2期(平成26年4月～平成28年3月)

- ・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 (Cancer Science誌に採択)
- ・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



## 第3期(平成28年4月～平成30年3月)

- ・アカデミアと企業との連携による創薬を促進するための課題と提言 2017 一日進月歩の科学の中で一
- ・希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言 2017  
ーアカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点からー (Cancer Science誌に採択)
- ・AIを活用した医療診断システム・医療機器等に関する課題と提言 2017 (Advanced Biomedical Engineering誌に採択)

## 第4期(平成30年4月～令和2年3月)

- ・薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価に関する報告書
- ・ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書  
(Human Gene Therapy誌に採択)

## 第5期(令和2年4月～令和4年3月)

- ・コンピューターシミュレーションを活用した医療機器ソフトウェアの審査の考え方に関する専門部会報告書
- ・マイクロバイオーム研究に基づいた細菌製剤に関する報告書
- ・エクソソームを含む細胞外小胞(EV)を利用した治療用製剤に関する報告書



令和 2 年 2 月 7 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
理事長 藤原 康弘 殿

科学委員会  
委員長 井上 純一郎

科学委員会では、今般、下記について科学的見地からの議論をまとめました。  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構における通常業務にご活用ください。

### 記

ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の  
品質・安全性等の考慮事項に関する報告書

PMDAについて

安全性情報  
回収情報等

添付文書等検索

再生医療等製品

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




ホーム 審査関連業務 安全対策

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 > [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](#)

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

## 議論の取りまとめ報告書

- [コンピューターシミュレーションを活用した医療機器ソフトウェアの審査の考え方に関する専門部会報告書](#)  (2021年3月30日)  
[コンピューターシミュレーション専門部会報告書の概要](#) 
- [ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書](#)  (2020年2月7日)

国際比較を加えた英文概要版“[Aspects of Gene Therapy Products Using Current Genome-Editing Technology in Japan](#)”は、European Society of Gene & Cell Therapyなど9つの国際学会の機関誌であるHuman Gene Therapy誌に掲載されました (Volume 31, Issue 19-20, 1043-1053, 2020)。

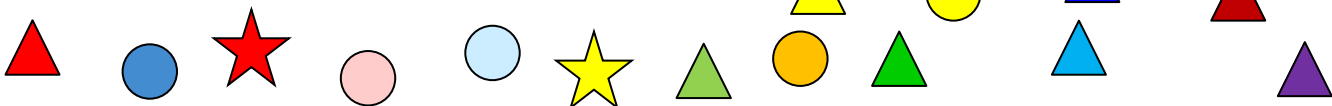
# PMDAにおけるホライズンスキヤニング の取組みと科学委員会について

# ホライズン・スキャンングとは

レギュラトリーサイエンスに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのか網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組

1. 同定

新しい技術の同定



2. 優先順位付け

優先順位 高



優先順位 中



優先順位 小



3. 評価



技術★

についての報告書



技術★

についての報告書

4. 必要な対応

例えば



技術★の  
ガイドラインの作成



など

必要な審査体制の整備

# 第4期中期計画(平成31年4月から令和6年3月)より

## <RSの推進による業務の質の向上>

### ① RS研究の推進

ア 最先端科学技術の積極的な情報収集及び評価についてのガイドラインの作成・ゲノム編集技術等の最先端科学技術の情報を積極的に収集・選別し、科学委員会、横断的基準作成等プロジェクトチーム(注1)、関係部門において評価を行い、報告書やガイドラインを作成する。

(注1) 機構の職員が、テーマごとに分野横断的なプロジェクトチームを結成し、開発・評価の考え方を検討し、ガイドラインの策定等につなげる活動

イ ホライゾン・スキャニング(注2)手法の確立

・海外規制当局との間で情報交換等の連携を進め、医薬品の開発を見据えた最先端科学技術の情報の収集と評価のための効率的・効果的なホライゾン・スキャニング手法を確立する。

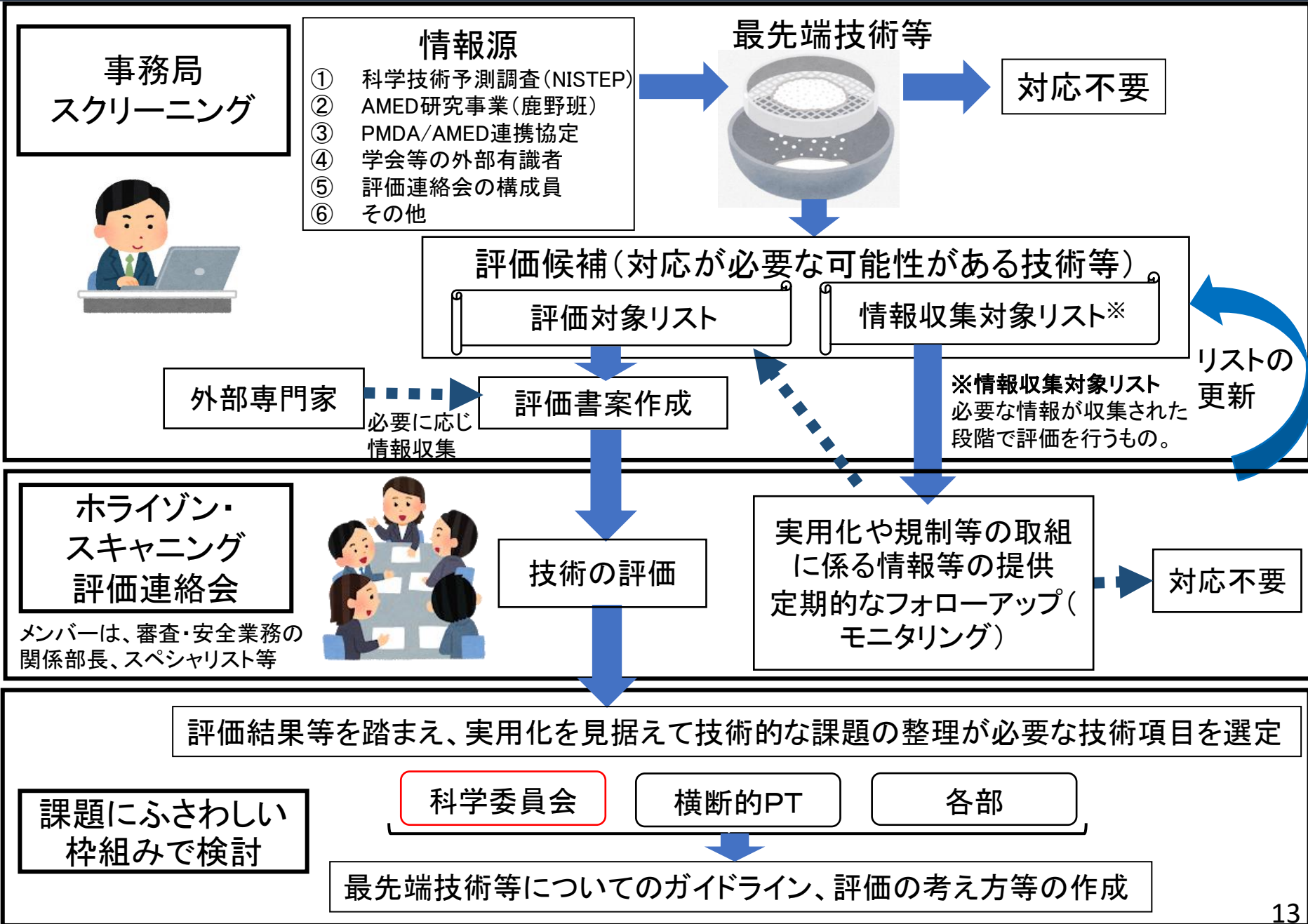
(注2) RSに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのかの網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組

ウ～オ(略)

カ 科学委員会の活用とその成果を踏まえた評価の考え方等の取りまとめ

・先端科学技術のうち、新たな対応が必要な技術等について、科学委員会を積極的に活用し、先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図る。

# PMDAにおけるホライゾン・スキャンニングの枠組み



# PMDAのホライゾン・スキャンニングに関する取り組みの学術雑誌への掲載

Frontiers in Medicine誌  
(DOI: 10.3389/fmed.2021.756870)



BRIEF RESEARCH REPORT  
published: xx xx 2021  
doi: 10.3389/fmed.2021.756870



## Identification of Novel Modalities Through Bibliometric Analysis for Timely Development of Regulatory Guidance: A Case Study of T-Cell Immunity

Received: 8 June 2021 | Revised: 19 July 2021 | Accepted: 20 July 2021

DOI: 10.1111/bcp.15065

LETTER TO THE EDITOR



## Pharmaceuticals and Medical Devices Agency's horizon scanning and the Science Board: Cooperation toward extracellular vesicle-based products

British Journal of Clinical Pharmacology誌  
(DOI: 10.1111/bcp.15065)



TYPE Opinion  
PUBLISHED 17 April 2023  
DOI 10.3389/fmed.2023.1141880



OPEN ACCESS

EDITED BY

Frontiers in Medicine誌  
(DOI: 10.3389/fmed.2023.114188)

## *In vivo* CAR T cells and targeted gene delivery: A theme for the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency Science Board to address

Medicine, United States  
Sol Ruiz,  
Agencia Española de Medicamentos y