

“Rational Medicine” Initiative
－「合理的な医療」を目指して－

平成 29 年 2 月
(独) 医薬品医療機器総合機構 近藤 達也

私は、これまでの臨床現場における経験の中で、常に、医療は、合理的な判断をベースに行われなくてはならないと考えてきました。

「合理的な医療」とは、患者さんを軸にして、周産期から人生の最終段階までのあらゆる局面において、最新の科学的な知見を踏まえた最適な医療が提供される体制を構築すべきということであり、これは、医療関係者、企業、行政を含むすべての関係する主体が考えるべきことであると思います。

PMDA も、当然、その重要な一員だと自負しております。私が理事長就任時に策定した理念においても、「国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき」業務を行うこと、「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確な判断」を行うことを掲げ、審査業務、安全業務及び健康被害救済業務に取り組んできました。

PMDA は、全人的な医療の実現に向けて、レギュラトリーサイエンスによる医薬品・医療機器・再生医療等製品等のリスク・ベネフィットバランス向上とエビデンスに基づいた医療環境の創出を目指し、2017年、これまで経験したことがない革新的な技術に基づく製品であっても、最適な使用による「合理的な医療」の恩恵をより早く国民が享受できるよう、次の4つの取組みをさらに進めていきます。

- ①承認審査の質と合理性の向上によるイノベーションの推進
- ②レギュラトリーサイエンスの推進
- ③リアルワールドデータに基づく安全対策の高度化
- ④国際連携の強化

1. 承認審査の質と合理性の向上によるイノベーションの推進

PMDA は、新医薬品について、2014年に欧米規制当局より早い世界最短の審査期間を達成し、2015年にもその記録を更新しました。新医療機器についてもデバイスラグはほぼ解消しています。

今後は、審査期間の早さだけではなく、その質と合理性の向上を図っていくことが重要だと考えています。2016年10月には、新薬承認申請時の臨床試験成績の電子データの受付を開始し、将来的な疾患別ガイドラインの策定

などを見据えて、まずは個別品目審査でのデータ活用を始めます。医療機器審査においても、引き続き「医療機器審査迅速化のための協働計画」（2014年）に基づき、より早期の審査の質と合理性の向上を目指すとともに、早期承認のあり方についても厚生労働省とともに検討を進めてまいります。

また、承認審査の質の向上と革新的な製品の審査の迅速化のためには、承認申請前の相談、特に開発早期の相談が重要であり、薬事戦略相談や各種相談業務の充実を図っていきます。これらを進めて、2017年も先駆け審査指定制度を通じたさらなる審査の迅速化に取り組んでまいります。

さらに、2016年7月に公表された厚生労働大臣の「医療のイノベーションを担うベンチャー企業の振興に関する懇談会」報告書において、「『オール厚労省』でのベンチャー支援体制の構築」が提言されたことも踏まえ、PMDAとしても、2016年10月に「イノベーション実用化支援準備室」を立ち上げたところであり、2017年4月には体制の整備を図って、本格的に取り組みを開始します。

2. レギュラトリーサイエンスの推進

PMDAでは、これまでに、薬事戦略相談の開始、科学委員会の設置、先駆け審査指定制度の実施、包括的連携協定、AMEDとの連携協定、横断的基準作成等プロジェクトなど、レギュラトリーサイエンスに基づいて様々な規制のイノベーションを進めてきました。また、2018年には「レギュラトリーサイエンスセンター」を設置する予定であり、これからもレギュラトリーサイエンスをさらに積極的に推進していきます。

そこでは、新規の作用機序の革新的な医薬品が最適に使用されるためのガイドラインの作成など、医療現場やアカデミアとも協力し、レギュラトリーサイエンスを基本にしながら、「合理的な医療」を積極的に支援していきます。

特に、レギュラトリーサイエンスの基盤強化のため、2016年から第三期に入った科学委員会では、次の3つを新たなテーマとして議論を開始しました。2017年は革新的医療技術の導入に貢献できるような成果となるよう、これらの議論を深めていきます。

①希少な疾患における臨床評価のあり方について

希少疾病用医薬品（患者数50,000人未満等）の中でも特に患者が少なく、比較試験による薬効の評価が困難な分野（例：希少がん）における臨床評価の現状と、とりうる評価手法について整理し、今後の希少疾患分野の臨床開発に役立てる。

②新薬開発（特にアカデミア発創薬）の問題点について

医薬品開発においてボトルネックとなっている事項について現状を整理するとともに、問題点解決に向けた考え方（例えば、疾患モデル細胞等（例：iPS 細胞）を用いた薬効・安全性を評価する等の非臨床の新手法の活用）をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

③人工知能（AI）の医療応用について

人工知能（Artificial Intelligence: AI）を活用した医療機器、医療機器ソフトウェア実用化への期待が近年高まっている。AI 関連技術を医療に活用・応用する形態には様々なものが考えられることから、関連技術の研究開発の現状とその限界を調査・分析し、医療応用を促進するための課題を科学的見地より議論する。

3. リアルワールドデータに基づく安全対策の高度化

PMDA では、医療機関において電子的に生成・保管される診療情報を活用して薬剤疫学的手法により有害事象発現リスクの定量的評価等を行う MIHARI Project を進めています。

2011 年から、このための医療情報データベースのひとつとして、10 拠点 23 病院からなる MID-NET（医療情報データベース基盤整備事業）の構築を進めており、各拠点にオーダリングデータ、検査データ、レセプトデータ、DPC データなどの医療情報データのデータベースを構築し、それらから目的に応じて抽出・分析したデータを統合して解析できる分析システムを PMDA に構築しています。2018 年度の本格稼働に向け、データ解析の試行を始めていますが、2017 年には、これらの試行を本格化させ、リアルワールドデータを安全対策に活用する体制の整備を進めます。

2018 年度の本格稼働後は、製薬企業等の PMDA 外部の方にも製造販売後調査等に活用可能とする予定であり、現在、厚生労働省が設置した検討会において、データ取扱いのルール、費用負担の考え方を検討中です。

4. 国際連携の強化

PMDA では、2015 年 6 月に「PMDA 国際戦略 2015」を策定し、情報発信と国際協力の推進、国際規制整合活動への貢献などを進めています。2016 年 4 月には、アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを設置し、北陸支部での医薬品 GMP 研修、タイ・台湾での医薬品審査等の研修など 7 回の研修を実施しました。2017 年にも、国際共同治験、薬事監視に関する研修を皮切りに海外での研修も含め精力的に実施していきます。

また、ICH（医薬品規制調和国際会議）、IMDRF（国際医療機器規制当局フォーラム）などの国際規制整合活動にも積極的に取り組んでいきます。特に、2017年秋に、薬事規制当局サミットを日本で開催することとしており、国際薬事規制の中でのリーダーシップを取ることを目指しながら、PMDAの国際協力活動を展開していきます。

私は、世界最短の審査期間で新医薬品、新医療機器を承認し、患者さんに届けるということは、最先端の革新的な医療を患者さんに届けることであり、PMDAが、これに貢献できることに誇りを持っています。

革新的な医療技術を伴う製品をより早期に承認していく一方、これらの医療技術は、導入される時点から国民に最適に使用され、「合理的な医療」が実現されなければなりません。最先端の革新的な医療は、世界でまだ誰も経験していない医療であるため、これまで以上に、新しい技術に対して、持てる叡智を結集して、最新のレギュラトリーサイエンスに基づき、最も合理的な評価法を見出した上で、最適な医療として合理的な使用法（効能効果、用法用量・使用方法）を支援していく必要があります。

同時に、リアルワールドでの最適な医療の実施状況を合理的な方法でモニターし、フィードバックしていくことを徹底していかねばなりません。

「合理的な医療」を目指す日本の取組みは、PMDAの国際戦略を通じて、国境を越えて世界の患者さんのためにも貢献するものと考えています。

PMDAは、2017年、このような「合理的な医療」の実現に全力で取り組んでいきます。