PMDA10年の実績と今後

独立行政法人　医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)
理事長　近藤　達也

2014年2月8日
PMDAフォーラム
第一部　世界のPMDAに向けて

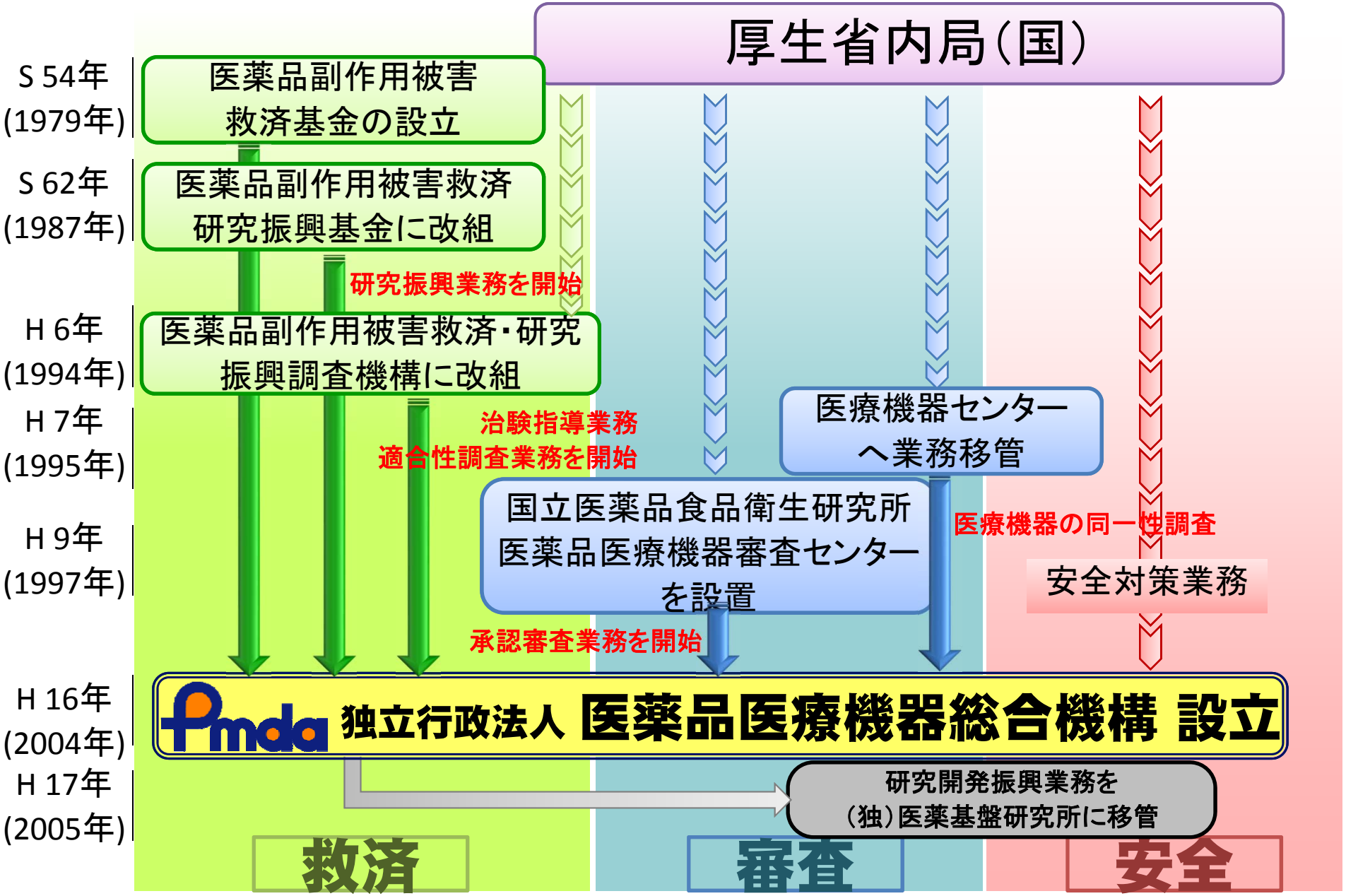
本日のお話

1. PMDAとは
2. これまでの課題と解決の基本方針
3. 具体的な取組みと実績
4. これからのPMDA

本日のお話

1. PMDAとは
2. これまでの課題と解決の基本方針
3. 具体的な取組みと実績
4. これからのPMDA

PMDA設立までの変遷



PMDAの3つの業務

医薬品等の副作用・感染による健康被害の救済

- 医療費、障害年金、遺族一時金等の支給
- 特定C型肝炎感染被害者への給付金の支給
- スモン患者,HIV感染者への健康管理手当等の支給

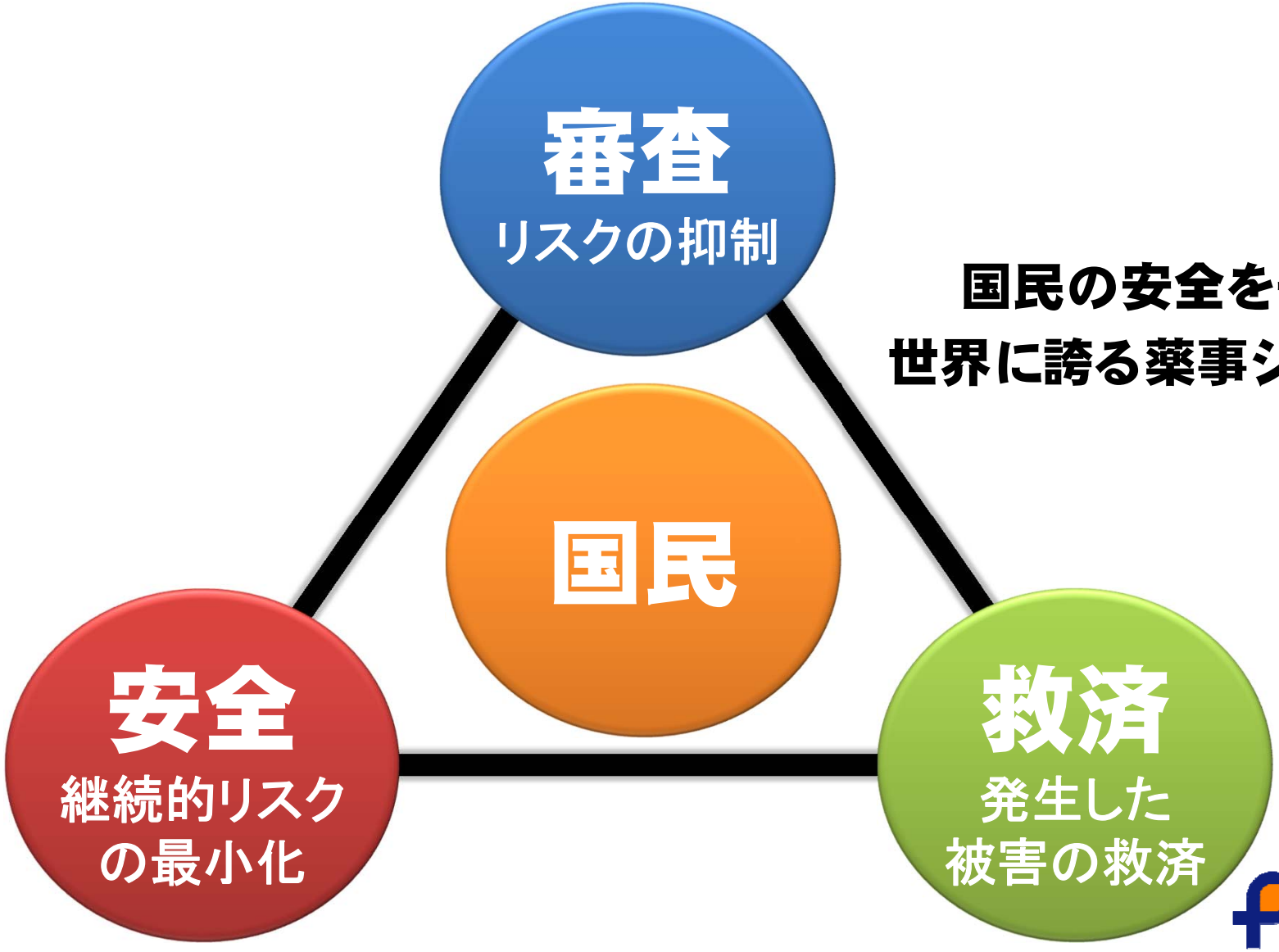
医薬品・医療機器等の承認審査

- 開発への助言（対面助言・薬事戦略相談）
- 治験計画届出調査
- 有効性・安全性・品質の審査
- 承認申請資料の信頼性調査（GLP・GCP等への適合性）
- GMP／QMSへの適合性調査
- 基準作成調査

医薬品・医療機器等の安全対策

- 安全性情報の一元的収集・データベース化
- 安全性情報の科学的評価分析・調査検討
- 情報提供・一般向け電話相談

セイフティ・トライアングル
～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～



国民の安全を守る
世界に誇る薬事システム

薬事とは

- 医療等に提供される医薬品・医療機器等の**品質、有効性、安全性の確保**の為の規制や、新薬、医療機器の**研究開発を促進**の為の必要な措置を講ずることにより保健衛生の向上を図ることにある。**ここでは常に信頼性確認が求められる。**
  - 医療：Individual Medicine (Health)
  - 薬事：Public Medicine (Health)
- **薬事は<u>究極の医療倫理</u>**といえる

本日のお話

1. PMDAとは
2. これまでの課題と解決の基本方針
3. 具体的な取組みと実績
4. これからのPMDA

PMDA改革の戦略と施策

PMDAを取り巻く環境	問題解決のための基本方針	これまでの取組み
◆ドラッグ・ラグ	◆PMDAの理念 （Mission Statement）	●成長戦略に基づく増員等の組織体制の強化
◆デバイス・ラグ	◆レギュラトリーサイエンスの推進	●アカデミアと連携したレギュラトリーサイエンスの実施 －連携大学院の設置 －科学委員会の設置 －革新的医薬品等実用化促進事業　等
◆安全対策の強化・充実	◆国際連携の強化 （Win-Win Relationship）	●薬事戦略相談の開始 ●電子診療情報等を用いた安全対策の強化・充実 －医療情報データベース基盤整備事業　等 ●副作用等救済制度への対応強化 ●欧米並びにアジア諸国を含む世界各国との連携強化

- 薬事は究極の医療倫理
- レギュラトリーサイエンスはその科学

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。

- 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。

科学的に行政を行うことが必要

➡ 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）

1987年：内山 充 博士により提唱.
（当時，国立衛生研究所 ※副所長）
※現　国立医薬食品衛生研究所

医薬品・医療機器等の分野では

実用化・普及のために必要とされる品質・有効性・安全性を「倫理観をもって国民が使ってもよいか」という観点から見定める科学

レギュラトリーサイエンスの3つの柱

2010年10月 PMDAからの提唱　2013年5月改変

社会・人類のための倫理的な科学

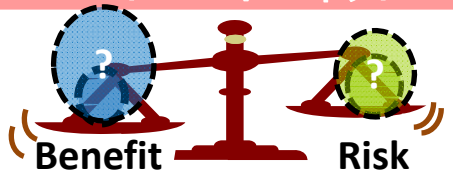
RS Microscopic
評価方法の改善
（品質・有効性・安全性）

知見の集積 → DB

RS Macroscopic
多要素間のバランスの検討
リスク・ベネフィット
コスト・ベネフィット　等

知見の集積 → DB

RS Engineering
トランスレーショナルリサーチへの対応
法令作成



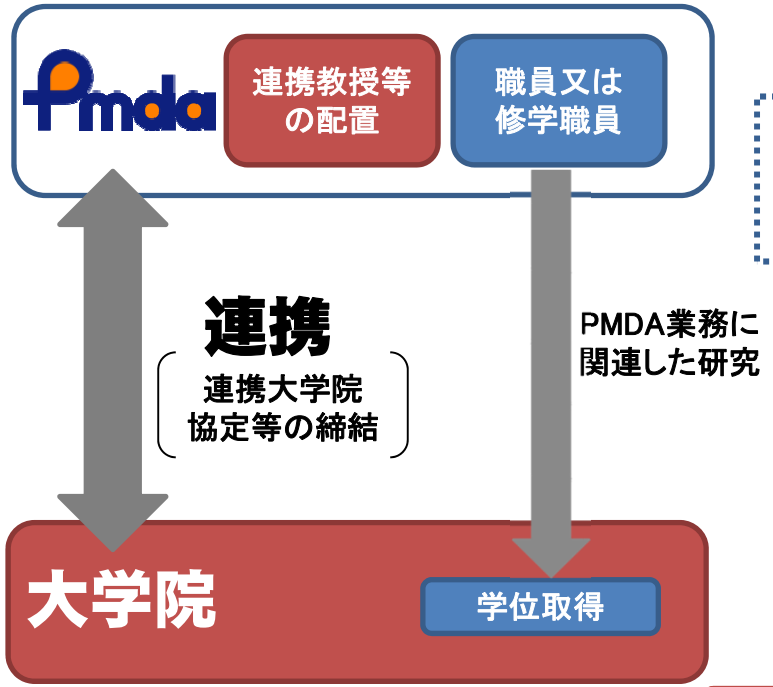
レギュラトリーサイエンスの成果（例）
- 先端技術に対応した評価法の確立
- ガイドラインの策定
- 審査基準の確立　　等

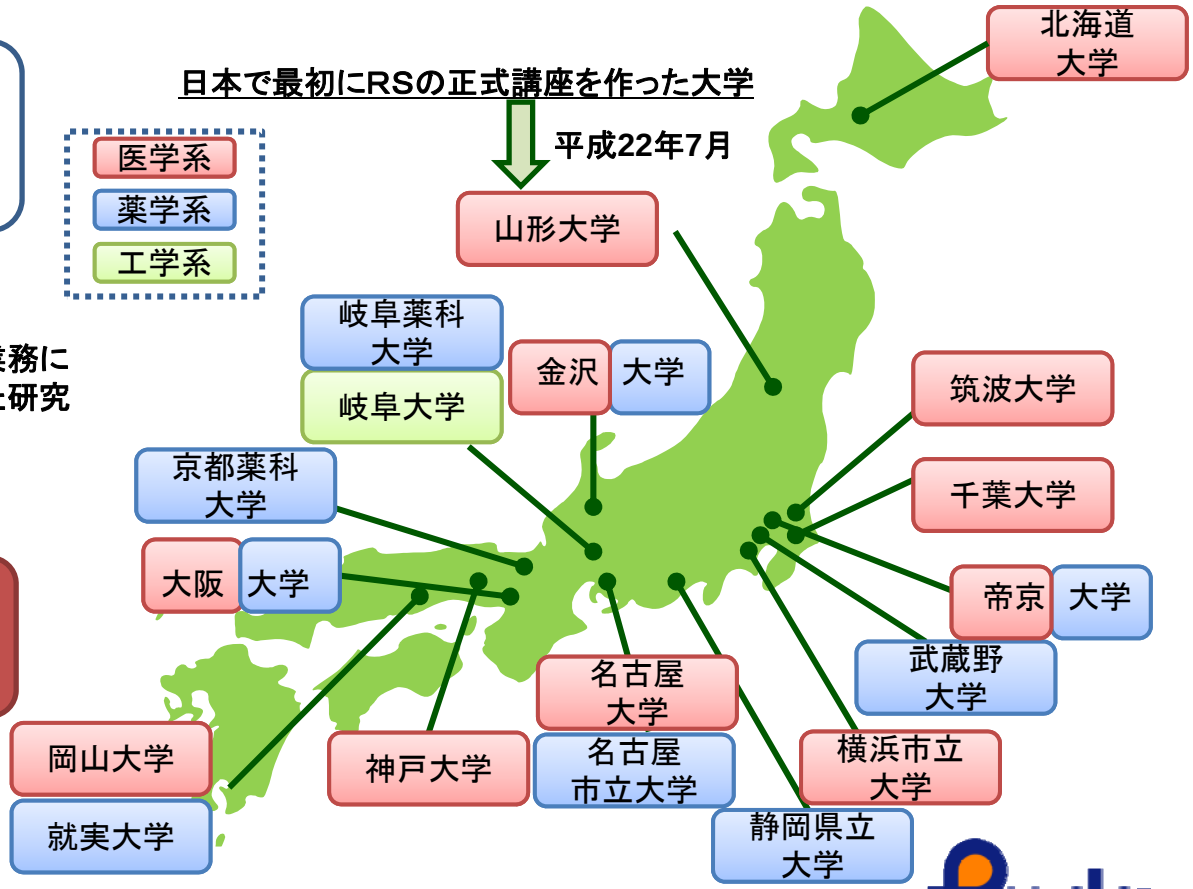
レギュラトリーサイエンスの推進

連携大学院制度

PMDAの職員が社会人入学の形で大学院生となる又は大学院生が修学職員となり、PMDAの業務に従事しつつ、PMDA業務に関連した研究を行うことにより、学位取得を目指す制度

【18大学と協定締結（平成25年11月1日現在）】





国際連携の強化①

基本方針の明確化

- **国際戦略の策定**（2008年）
  PMDA全体の国際活動の基本方針を明確化
- **国際ビジョンの策定**（2011年）
  今後５～１０年で目指す「姿」を明確化
- **国際ビジョン・ロードマップの策定**（2013年）
  ビジョンを達成するために重点的に取組むべき5つの分野を選定

国際調和の推進

- **医薬品･医療機器の承認審査･安全対策等について、各極の規制当局担当者等と議論を行い、国際調和を推進**
  - ICH（日米EU医薬品規制調和国際会議）
  - IGDRP（国際後発薬規制当局パイロット）
  - IMDRF（International Medical Device Regulators Forum）
  - HBD（Harmonization By Doing）
  - APEC LSIF RHSC

（アジア太平洋経済協力,生命科学イノベーション･フォーラム,規制調和運営委員会）等

国際連携の強化②

各国との連携強化・協力体制の構築

米国・欧州・スイス・中国・韓国・シンガポール・インドネシア等

- **協力協定の締結**（2004年～）
- **リエゾンオフィサーの派遣**（2009年～）
- **シンポジウム等の共同開催**（2010年～）

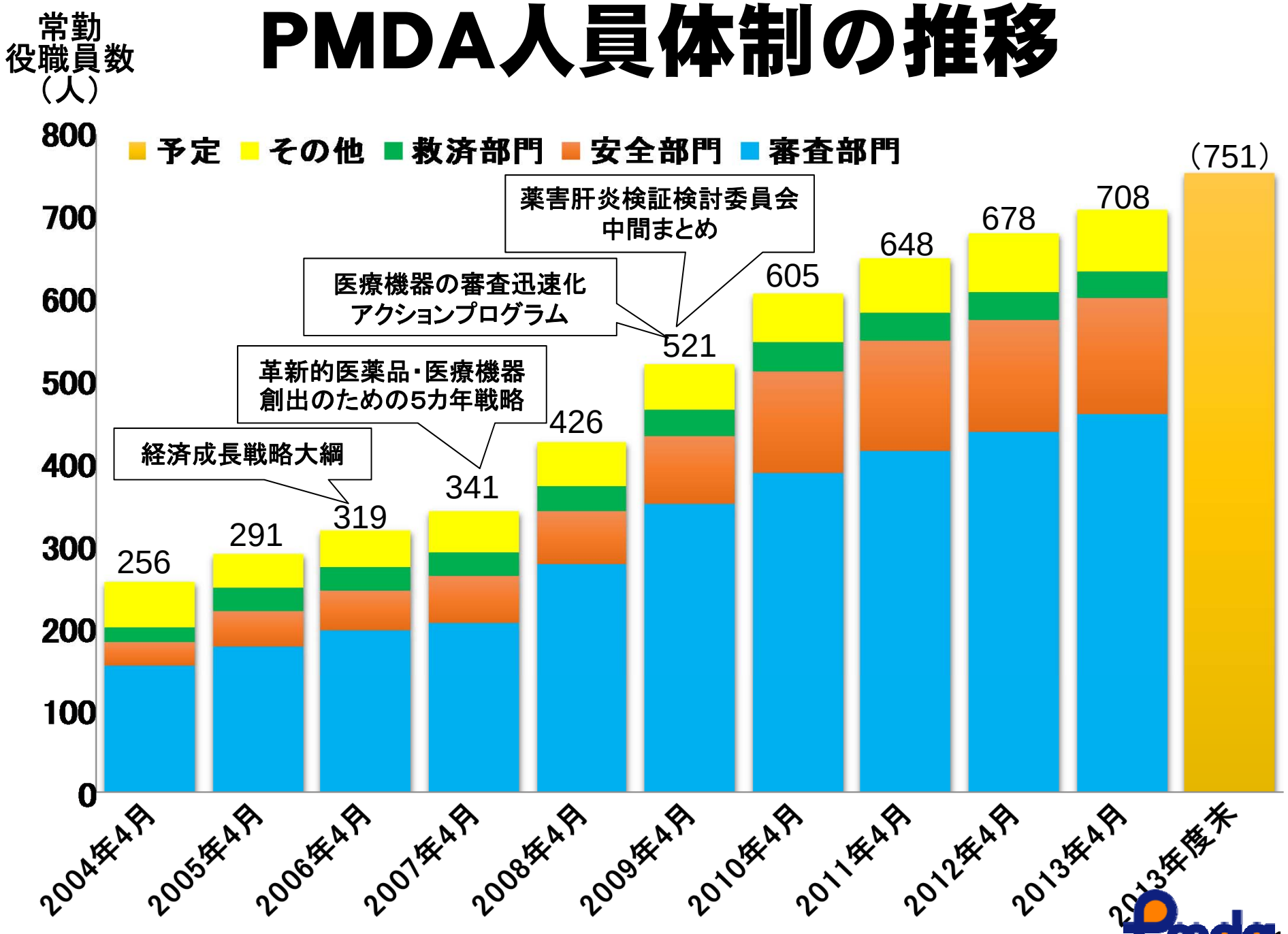
日本の薬事規制等の情報発信の充実

- **PMDAトレーニングセミナーの開催**
  規制当局対象、日本の薬事規制を紹介
- **審査報告書、緊急安全性情報などの安全対策などについて、英語での情報を発信**（http://www.pmda.go.jp/english/index.html）

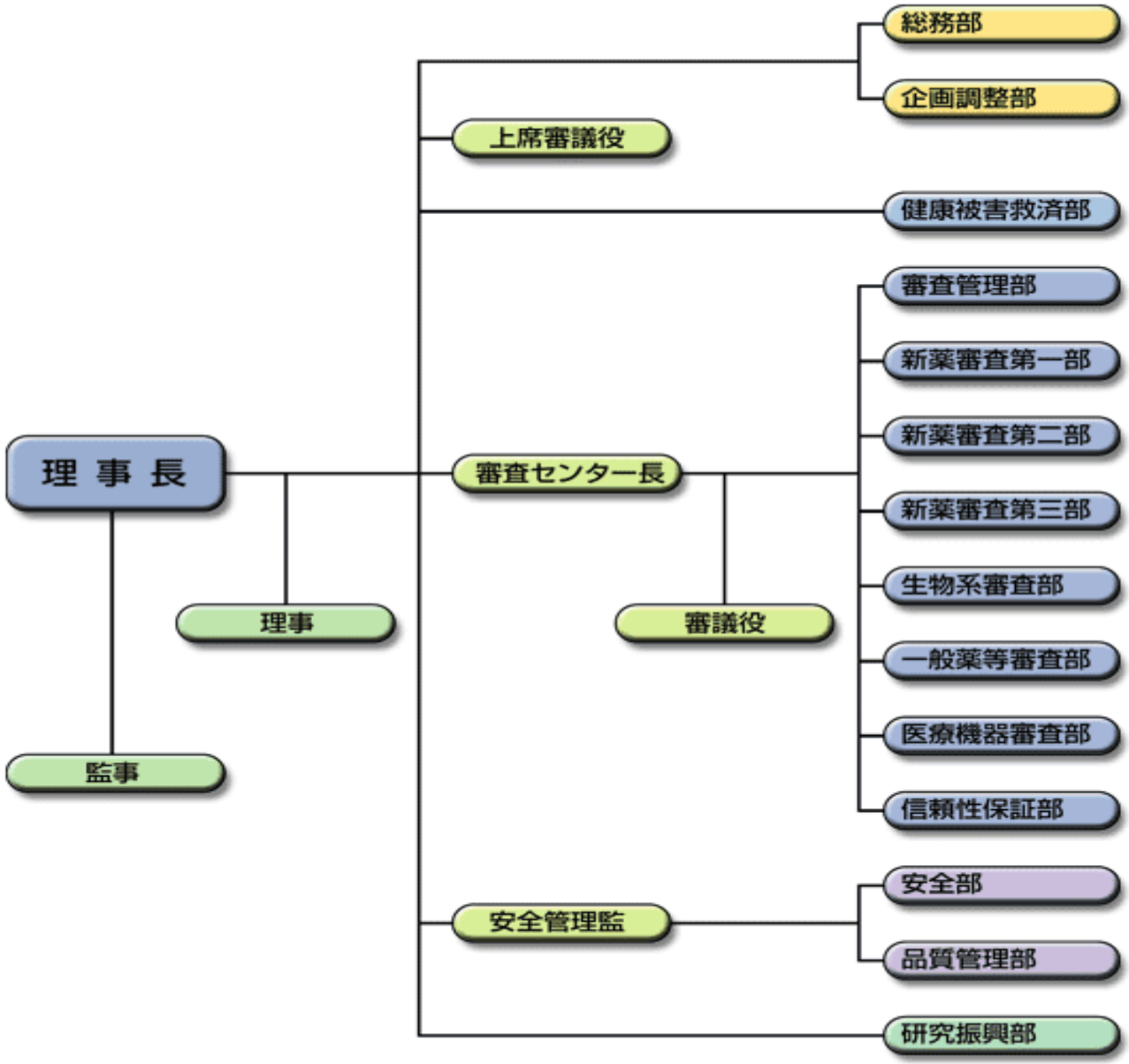
本日のお話

1. PMDAとは
2. これまでの課題と解決の基本方針
3. **具体的な取組みと実績**
4. これからのPMDA

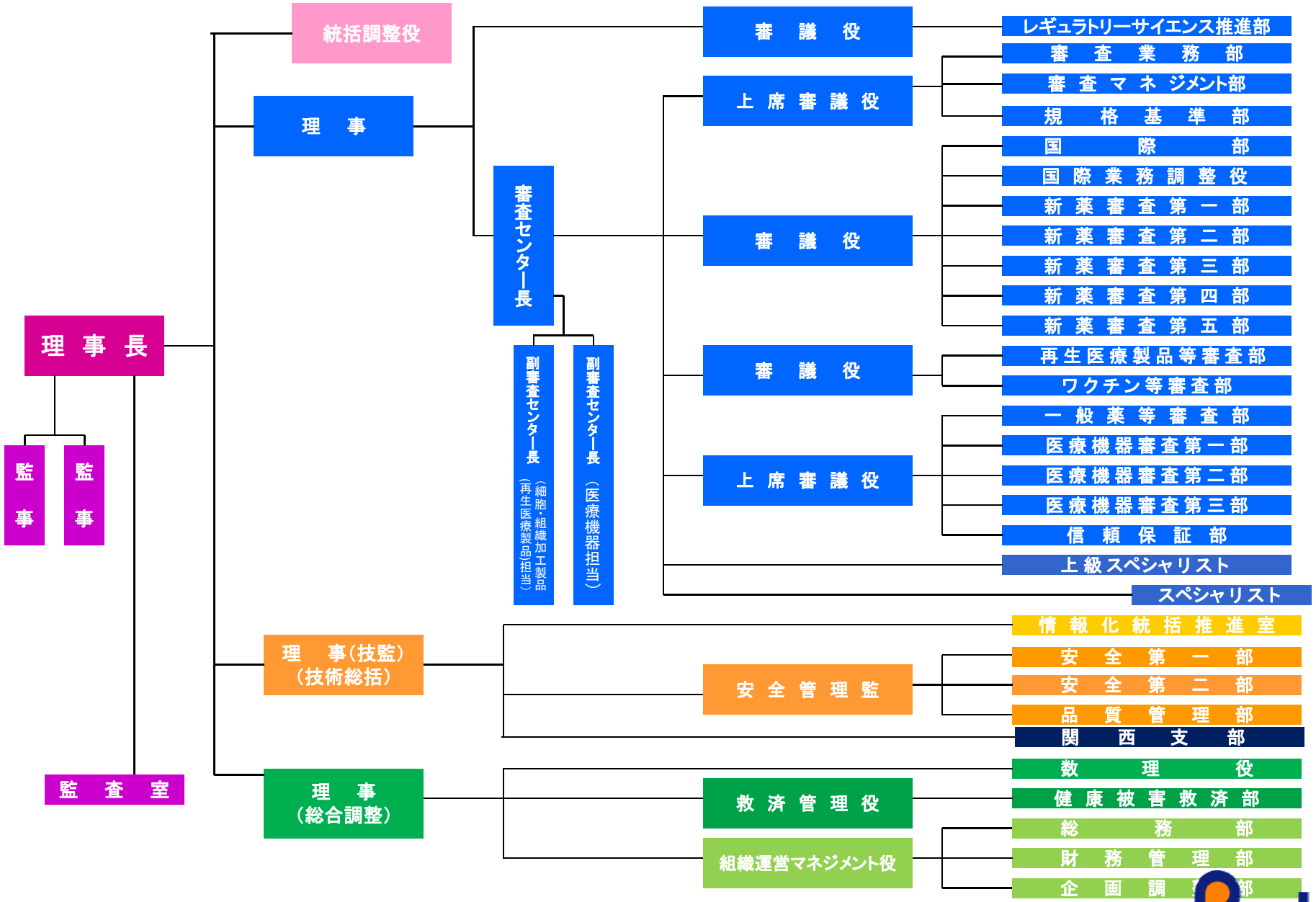
PMDA人員体制の推移



PMDAの組織図（2004年4月）

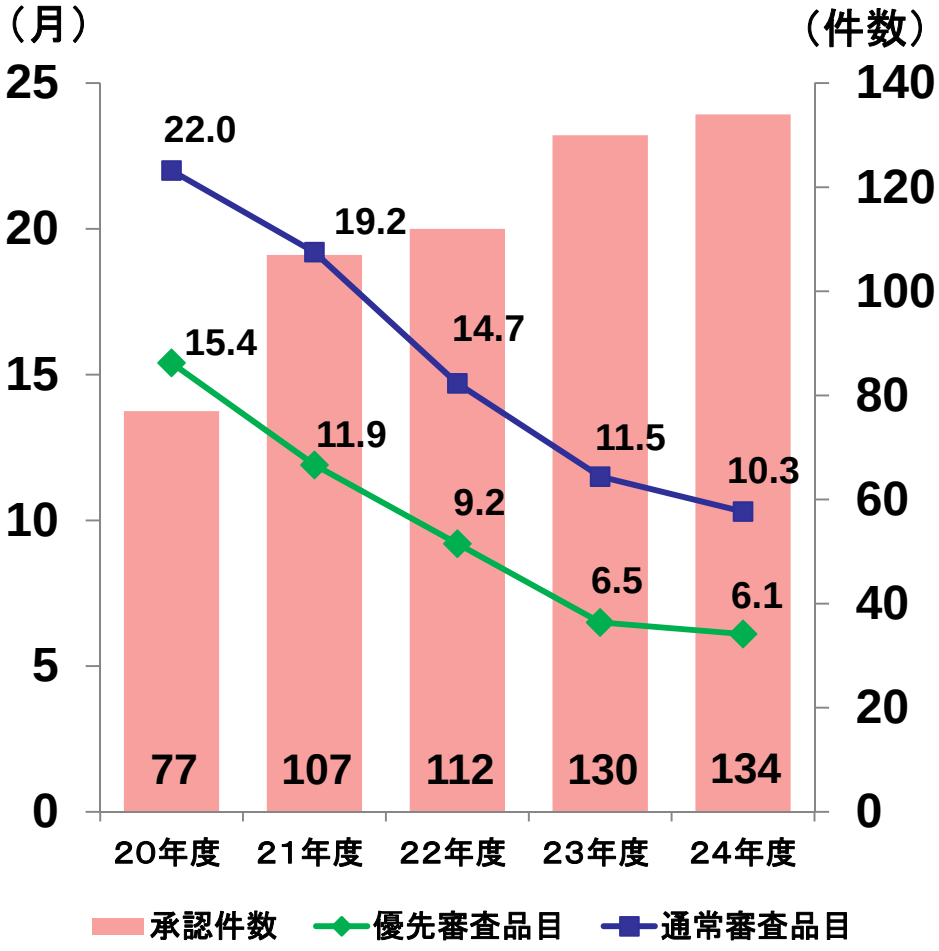


PMDAの組織図（2013年10月）

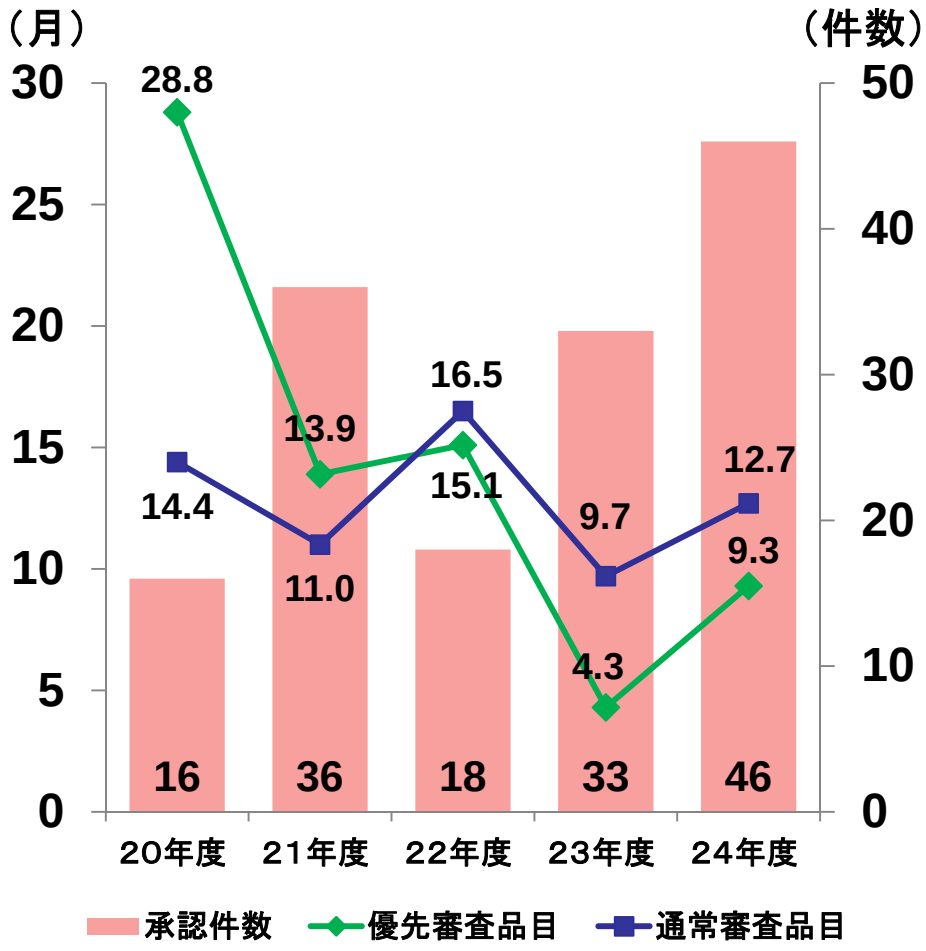


承認審査業務

新医薬品



新医療機器

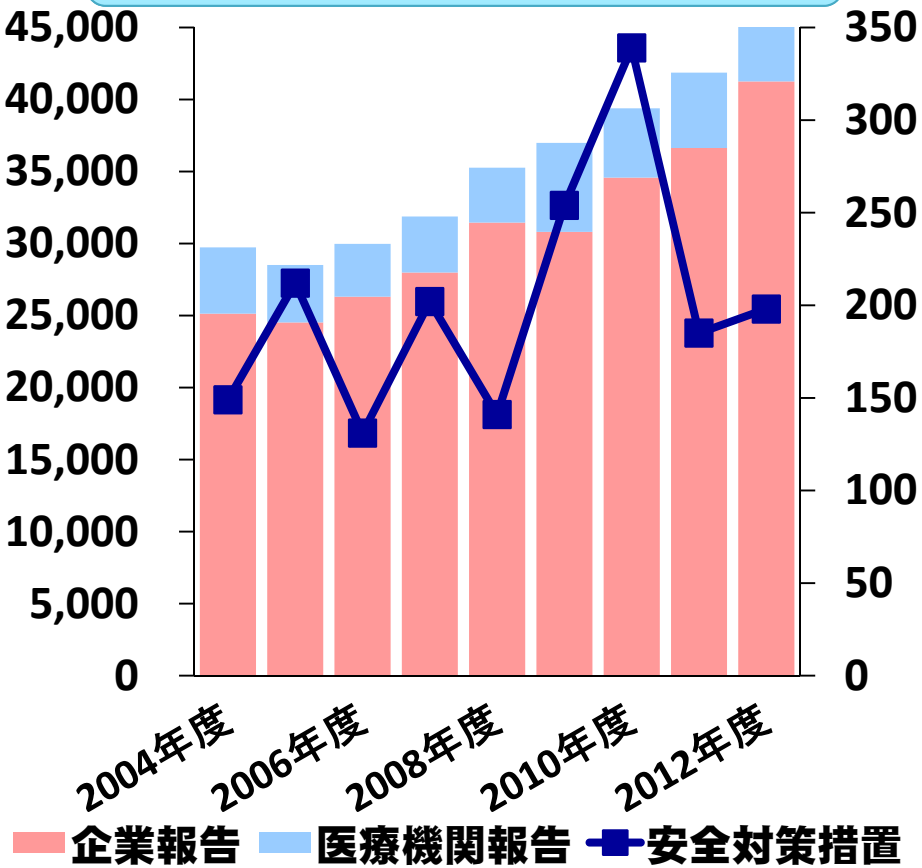


安全対策業務

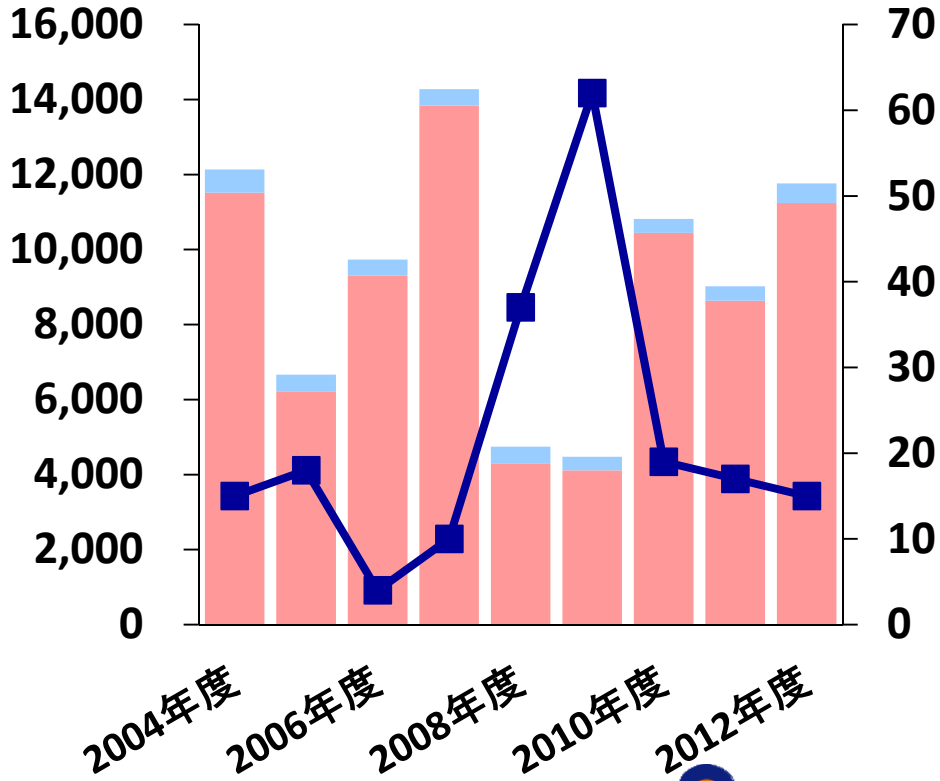
PMDAは副作用･不具合報告を収集し、科学的に評価・分析した結果に基づき、添付文書改訂等の安全対策措置を検討。

※平成24年度　副作用報告：約4万件→約200件の安全対策措置
不具合報告：約1万件→約　20件の安全対策措置

医薬品の副作用



医療機器の不具合



医療情報データベース基盤整備事業

1,000万人規模の電子的医療情報を収集し、安心・安全な医療の提供を目指す

医療情報データベース拠点を全国10カ所の大学病院・グループ病院等に構築

※ これまで、東京大学のシステム開発等、6医療機関のシステム導入に着手。
今後平成25年度末までに段階的に協力10医療機関のシステムを開発し、
テストランを経て稼働させていく予定。

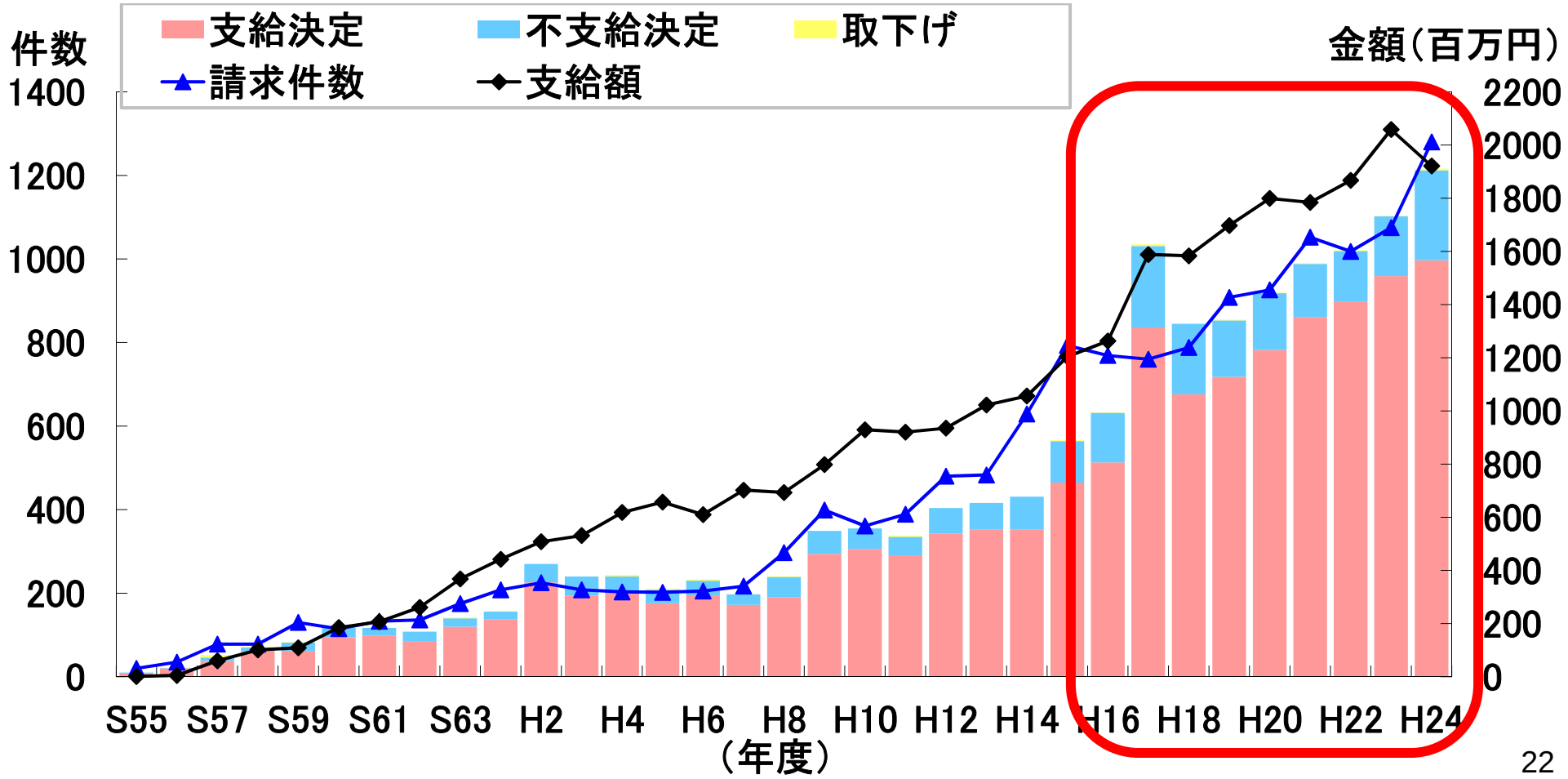
pmda やアカデミアが
10医療機関を拠点として
データの検索・調査を行い
副作用を分析・評価

安全対策への活用により、迅速で的確な安全対策へ
（例：副作用発生割合把握、リスク評価、安全対策の効果の評価　等）

健康被害救済業務

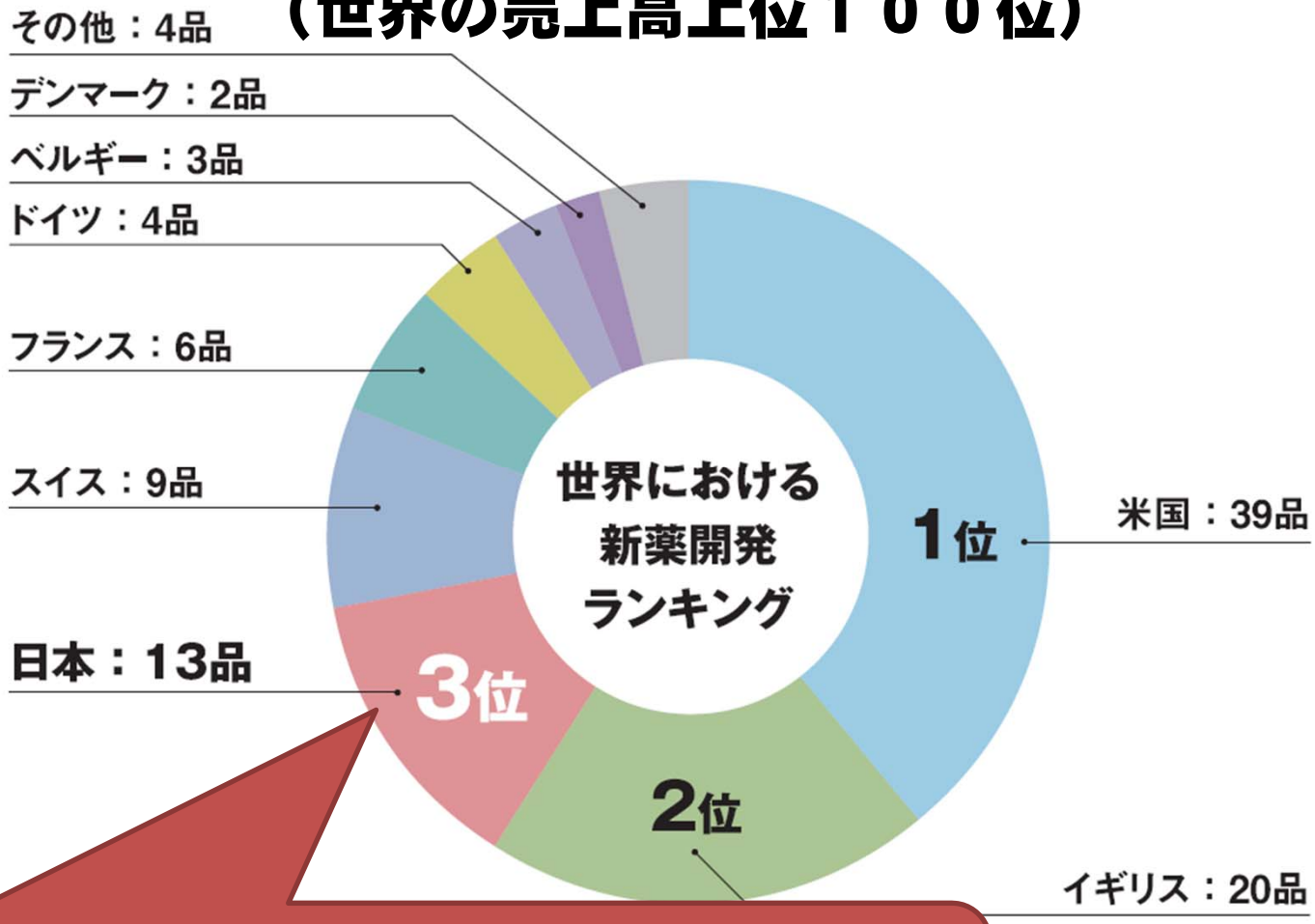
PMDAは、重篤な副作用等による健康被害に対する救済請求事案（<u>年間約1,000件</u>）について調査・整理を行い、給付金の支給・不支給の決定を行っている。

※平成24年度の<u>支給金額は約20億円</u>



医薬品の創出

開発した起源国籍別分類
（世界の売上高上位１００位）



日本から創出された
医薬品の品目数は世界第3位

出典「製薬協ガイド2010」

創薬・創医療機器をどう支えていくか

- 研究を担う人材の確保
- ニーズとシーズの橋渡し
- ガイダンス・ガイドラインの整備
- 新しい評価手法等の開発・適用

一般への適用

||

薬事承認による実用化が必要!!

→

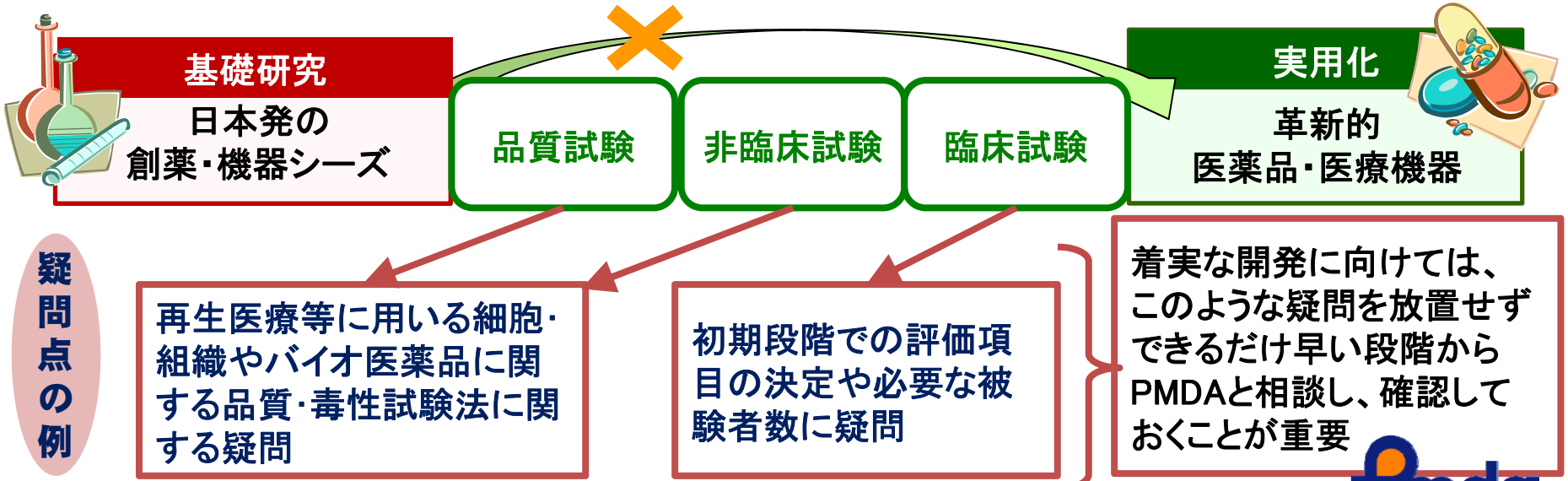
<u>早期から薬事承認を意識して研究すべき</u>

※薬事では常に信頼性確認も求められる

薬事戦略相談

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な試験・治験に関する指導・助言を実施するものとして、H23年7月1日より開始

基礎研究から実用化に向けては様々な課題があり、課題解決に向けた審査当局との早期相談が重要である。
例えば、品質や毒性データ等を適切に収集しておらず、臨床試験が実施できないというケース、革新的な医薬品・医療機器で、品質・安全性・有効性の評価方法が確立しておらず、開発者等で検討した独自の評価方法を用いて臨床試験等を実施しても、品質・安全性・有効性が十分に確保ができたか、評価ができないことから、承認審査が迅速に行えないケースなどがある。



科学委員会

基礎研究
日本発の創薬・機器シーズ

品質試験 → 非臨床試験 → 治験 → 承認申請 → 承認 → 市販後

実用化
革新的医薬品 医療機器

PMDA

薬事戦略相談 | 治験相談 | 承認審査 | 市販後安全対策

医薬品・医療機器　審査部　　安全部

人材

審査等改革本部

橋渡し

科学委員会の設置

先端科学技術応用製品に係る評価方法について、基礎技術の段階から、開発支援、承認審査、市販後安全対策の各段階まで、アカデミアと審査員等との意見交換を通じて、**模索していく枠組み**として平成２４年５月より設置

交流

委員として参画
（基礎研究から実用化・市販後までに渡る分野）

大学等アカデミア

科学委員会(専門部会)で議論中の課題

医薬品・バイオ製品専門部会

- 個別化医療に関して、当面は臨床評価に活用されるバイオマーカー・エンドポイントの整理（特に、がん、慢性炎症性疾患、希少疾病）
- 抗がん剤の非臨床薬理試験の取り扱い
  →「抗がん剤の非臨床薬理試験に関する取りまとめ」が作成された（2013.12.10）※

医療機器専門部会

- コンビネーションプロダクトの開発の考え方
- 後発医療機器の範囲の考え方
- レジストリ構築の課題

細胞組織加工製品専門部会

細胞組織加工製品の品質・安全性確保のあり方に関して、

- 造腫瘍性
  →「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」が作成された（2013.8.20）※
- CPC（Cell Processing Center）の要件　等

※PMDAホームページ（http://www.pmda.go.jp）に掲載

革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業

（平成24,25年度 厚生労働省予算事業）

- 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（RS）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、RSに精通した人材を育成

人材交流による
人材育成の推進

医薬品医療機器総合機構

国立医薬品食品衛生研究所

審査員の出向（派遣）

研究者の受入

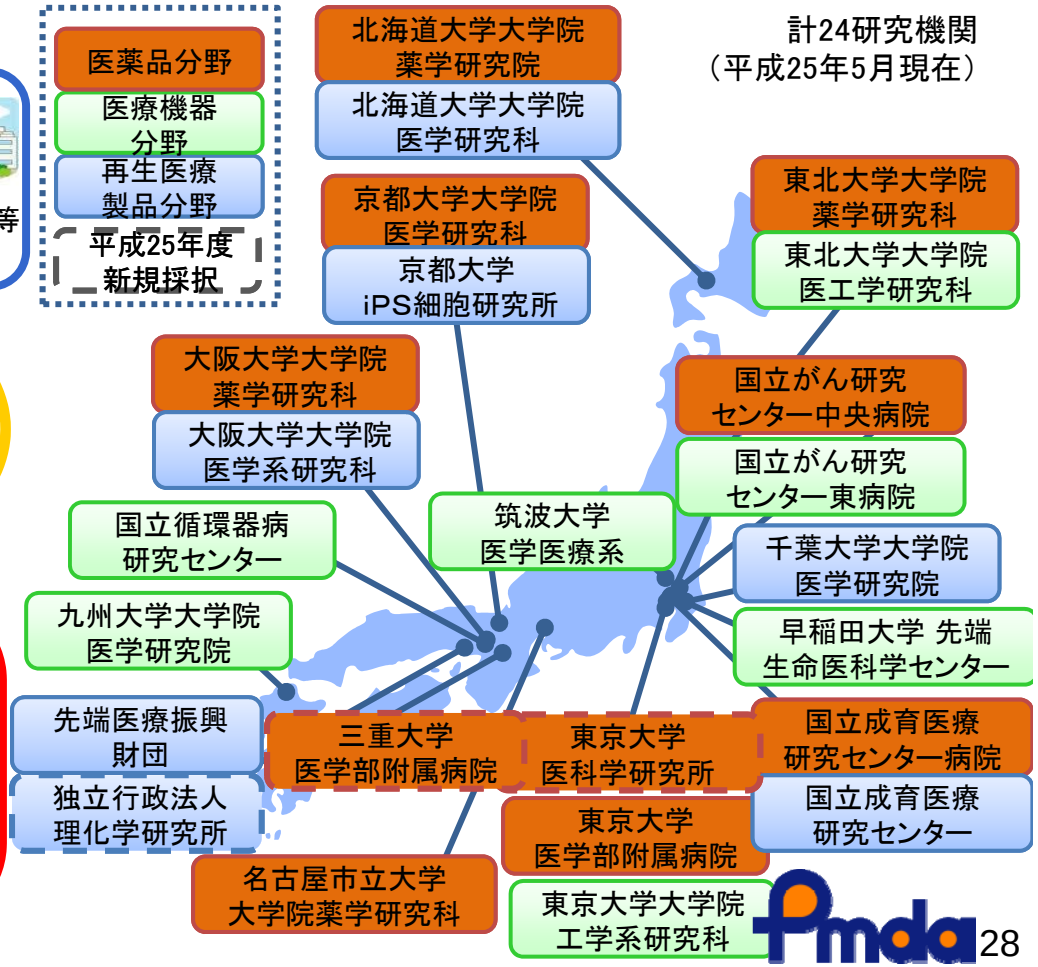
大学等研究機関　医療機関等

革新的技術の習得
↓
審査等の迅速化・質の向上

研究等の成果

RS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）



本日のお話

1. PMDAとは
2. これまでの課題と解決の基本方針
3. 具体的な取組みと実績
4. これからのPMDA

日本再興戦略 －JAPAN is BACK－

（平成25年6月14日閣議決定）

国民の「健康寿命」の延伸

＜目指す社会像＞
必要な世界最先端の医療等が受けられる社会

革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品を世界に先駆けて開発し、迅速な審査を経て導入すること等により、健康長寿産業の育成を目指す。

そのための施策

ー司令塔機能（日本版NIH）の創設

一元的な研究管理、研究から臨床への橋渡し、国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施される仕組みの構築等を行う

ーPMDAの体制を質・量の両面で強化

市販後の製品の品質確保や安全対策にも留意しつつ、
更なる審査の迅速化（審査ラグ「0」の実現）と質の向上を図る

世界第一級の審査機関を目指して

～医療イノベーション推進により世界に貢献するために～

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）
- **事前評価の改善**（審査の実質的前倒し）
- **リスク管理計画等への対応**
- **再生医療等製品の条件・期限付承認の導入**
- **革新的な医療機器への審査の重点化**
- **再生医療等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**
- **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**

社会的要請*に対応

＊日本再興戦略 健康・医療戦略 等

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)]

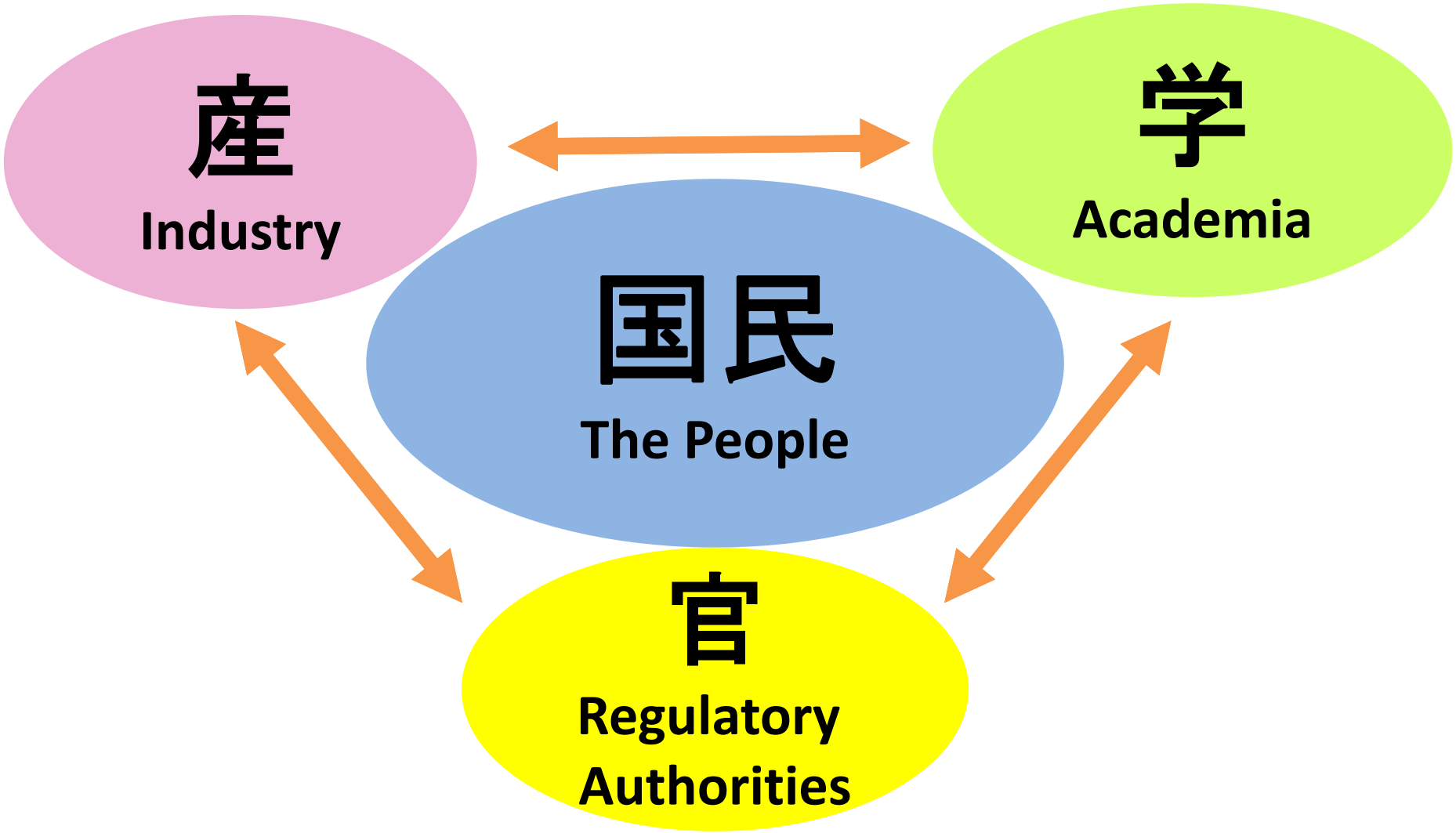
日本	米国	欧州		
PMDA[注2)]/厚生労働省 636人 [2013.4]	食品医薬品庁（FDA） 約5,400人 [2010]	欧州医薬品庁（EMA） 約750人 [2011]	主なEU加盟規制当局	
			英国：約900人	ドイツ：約1,050人

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．　注2）PMDAの全職員数は708人[2013.4]

世界のPMDAへ

～必要な最先端の医療等が受けられる社会の実現～

産官学・国民の義務と責任ある連携



透明性･公平性･倫理性の絶対的な確保のもと