

平成 25 年 3 月 18 日

科学委員会（親委員会）の活動報告

委員長 入村 達郎
副委員長 山本 一彦

●これまでの活動記録

第 1 回 （平成 2 4 年 6 月 1 8 日）

- 審査等改革本部長から、PMDA に科学委員会（親委員会）（以下、「親委員会」という。）を設置した経緯及び親委員会の委員を選定した経緯が説明された。その後、規程に基づき互選により委員長及び副委員長を選任した。
- 親委員会の透明性を確保するため、議事録については、議事概要ではなく、発言者がわかる形の議事録を作成すること、また、当該議事録は PMDA のホームページで公開することとされた。
- PMDA の 3 大業務である、審査、安全、救済の業務について PMDA から説明がなされ、業務についての認識を委員間で共有した。
- 親委員会で議論する対象は非常に多岐に亘ることから、4 つの専門部会（医薬品、バイオ製品、医療機器、細胞組織加工製品の各専門部会）を設置し、専門部会が中心に検討を行い、その結果を親委員会に諮り、最終的に科学委員会の意見とすることとされた。親委員会委員の中から、委員の専門性等を考慮し、各専門部会の部会長及び副部会長を選任した。
- 専門部会の委員は、全国の大学・研究機関等に推挙していただいた研究者から選定することとされた。

第 2 回 （平成 2 4 年 7 月 3 1 日）

- 議事録の公表に際し、企業秘密、研究者の未公表データ、個人情報等に関する発言等が想定されたことから、議事録及び資料の公表に係る取り決めが作成された。
- 専門部会規程において、ワーキンググループ（以下、「WG」という。）を設置することについて意見交換がなされた。WG では、発言者が特定できる詳細な議事録の作成は要しないが、WG で使用した資料及び議事概要を纏めた資料又は WG で行った議論の結果がわかる資料等を専門部会に報告することで透明性を確保することとされた。なお、WG に係る詳細な

取り決めについては、実際にWGを設置する際に再度議論することとされた。

- PMDAが専門部会で議論することを望む議題案の例として、分子標的薬の治験デザインに関すること、埋込み型整形インプラントのレジストリに関すること、細胞組織加工製品のリスク・ベネフィット及び製造管理・品質管理に関すること等が挙げられ、それぞれ説明がなされた。PMDAにこれらの多くの問題意識があることを委員間で認識を共有し、このような議題を議論できる専門部会の委員を選定することとされた。
- 全国363の大学・研究機関等から194名の推薦があったことが審査等改革本部事務局から報告され、当該推薦者と有識者から推薦された研究者の中から、専門部会委員の候補者が選定された。また、医薬品食品衛生研究所の部長に臨時委員として専門部会に参加していただくこととされた。

第3回（平成25年3月18日）

各専門部会が、これまでに3回又は4回開催されていることから、これまでの活動状況の報告を受けるとともに、今後の活動について議論がなされた。

● 平成25年度の方向性

夏頃、年末、年度末に親委員会を開催したい。

各専門部会で取り纏められた報告書等については、可能な限り早急に親委員会で議論し最終化したい。

親委員会では、議論の時間を出来る限り多く確保するため、内容が軽微な規程や確認事項の変更等については、書面での開催も検討し、円滑な科学委員会の運営ができるよう配慮したい。

また、親委員会で議論する議題についても検討したい。

以上

平成 25 年 3 月 18 日

医薬品専門部会及びバイオ製品専門部会の活動報告

医薬品専門部会	部会長	入村	達郎
バイオ製品専門部会	部会長	山本	一彦
医薬品専門部会	副部会長	佐藤	俊哉
バイオ製品専門部会	副部会長	赤池	昭紀

●これまでの活動記録

第 1 回 （平成 24 年 9 月 24 日）

- 医薬品を中心に薬事制度等について PMDA から説明がなされた。新薬審査第五部からは、専門部会の議題として、抗がん剤の分子標的薬開発における治験デザインや、承認審査時に実施すべき薬理試験の取扱い等の提案がなされた。
- 薬事制度等の理解を深めることは、当面継続しつつも、出来る限り早く議論を開始したいという意見があり、いわゆる個別化医療についての議論から始めてみてはとの意見が多かった。
- いずれの部会でも、現行の薬事制度の中でどのように医薬品が取り扱われるのか、認識を共有しておく必要がある。そのため、当面は医薬品専門部会とバイオ製品専門部会を合同で開催することとした。
- なお、医薬品専門部会では、新薬審査第五部から具体的内容に踏み込んだテーマの提案があったが、委員の専門性を考慮する必要もあるのではないかという意見があった。また、大きなテーマと個別に急いで検討を要するテーマがあり、それらを二段構えで議論する必要があるのではないかという意見があった。
- また、バイオ製品専門部会では、バイオ製品の特性（ヒトへの特異性が高く動物実験で毒性を検討できないこと、有害作用が薬理作用の延長線上にあること等が指摘された。）について論じることにより、申請時に押さえておくべき要点を議論してはどうかという意見があった。ワクチン製剤に関しては、アジュバントの毒性評価や、混合ワクチンの有効性・安全性評価について議論する必要があるとの意見もあった。

第 2 回 （平成 24 年 11 月 1 日）

- 新医薬品の安全対策について、PMDA から複数の具体例を用いた説明がなされた。
- また、専門部会の役割及び議論の結果のアウトプットイメージについて PMDA から説明がなされ、認識を共有した。
- 当専門部会では、個別化医療について議論してはどうかとの意見が多かったが、より具体の論点について、また、その他重要な議題について、専

門部会委員から意見を集めることとされた。その結果は、次回の専門部会で報告することとした。

- 個別化医療について議論を進めるため、杉山科学委員会委員及び大津委員に個別化医療の現状についてプレゼンテーションをお願いし、了承された。

第3回（平成25年1月30日）

- 杉山科学委員会委員から、薬物間相互作用、modeling&simulation等について、FDAの現状も含めて幅広く紹介がなされた。また、大津委員からは、近年の抗がん剤は分子標的薬が主流となっており、有効性が期待できる集団を特定するためにコンパニオン診断薬の開発も同時に進めていくことの重要性が紹介された。また、抗がん剤の開発における pivotal study の数、症例数、主要評価項目の考え方等について、今後検討すべき事項として問題提起がなされた。
- PMDA から、個別化医療及びコンパニオン診断薬をめぐる規制動向として、FDA 及び EMA、また国内のガイダンス等の説明がなされた。また、PMDA の現状として、組織横断的なプロジェクトを設置してガイダンスを作成していること、ゲノム薬理やバイオマーカーの利用に関する相談業務を行っていることについて紹介がされた。
- 前回の専門部会で募集した議題案を整理し、今後の議題について議論した。コンパニオン診断薬を含めた個別化医療について議論された。また、併せて、臨床検体の取り扱いについても問題提起する意見があった。
- PMDA から提案のあった、抗がん剤の非臨床薬理試験の取扱いについては、ワーキンググループを設置し議論することとされた。
- バイオ製品専門部会として議論することが望ましい議題があれば、合同専門部会ではない形で議論することも検討することとされた。

● 平成25年度の方向性

抗がん剤の非臨床薬理試験の取扱いに係るワーキンググループについては、本年夏頃をメドに、意見の集約を目指す。

個別化医療については、抗がん剤分野を中心に議論を進めることとし、国内外の状況を把握しつつ、今後、より具体的な論点を明確化し、論点毎の意見の集約を目指す。なお、その他の疾患についてもコメントが出されたように、対象疾患ごとに適切な患者をどのように選択するか等、治験デザインについての議論は重要な論点の一つであるが、議論の仕方も含め検討が必要。

医薬品専門部会とバイオ製品専門部会は、当面合同で開催するが、議題によっては、別々に開催することもある。

以上

平成 25 年 3 月 18 日

医療機器専門部会の活動報告

医療機器専門部会 部会長 松本洋一郎
医療機器専門部会 副部会長 楠岡 英雄
医療機器専門部会 副部会長 佐治 英郎

● これまでの活動記録

第 1 回 (平成 24 年 9 月 24 日)

- 医療機器を中心に薬事制度等について PMDA から説明がなされた。
- 薬事制度等についての議論は今後もオープンに議論することとしたが、専門部会では議論ができる時間が限られているため、まず各委員から議論したい事項を募集してはどうかとの提案がなされた。

第 2 回 (平成 24 年 11 月 28 日)

- 新医療機器の審査事例として、PMDA から以下の 2 品目の審査の概要について紹介があった。
 - ・ クラス IV 医療機器である「DuraHeart 左心補助人工心臓システム」
 - ・ 臨床試験でランダム化比較試験を要求している事例として「TAXUS エクスプレス 2 ステント」

非公表情報を含む議論であったため、詳細な記載はできないが、「DuraHeart 左心補助人工心臓システム」の市販後症例等の収集に関連して、J-MACS（植込み型補助人工心臓のレジストリ（市販後使用例等を登録するシステム））は入力項目が多く医療現場の負担が大きいいため、他の医療機器にも適用すると現場が対応できない等の意見があった。また「TAXUS エクスプレス 2 ステント」については、医薬品と医療機器の組合せ製品（コンビネーションプロダクト）は開発区分を医薬品と医療機器のどちらで行うべきか開発企業が理解しやすいように説明することが必要ではないか等の意見があった。両品目に共通するが、類似製品での共通した事象を検出するためにレジストリや前向き比較研究等は有用であるものの、アカデミアのインセンティブも考慮した情報収集の枠組みが作られると良いのではないかな等の意見があった。

- 専門部会の役割及び議論の結果を纏めたアウトプットイメージについて、PMDA から説明がなされ、認識を共有した。
- 第 1 回専門部会で委員から提案のあった議題の募集については、事務局

宛に提出し、次回の専門部会で報告することとした。

第3回（平成25年1月25日）

○ 改良・後発医療機器の審査に関し、医療機器の改良・変更の取り扱いと審査事例についてPMDAから説明がなされた。また、PMDAから医療機器の安全対策について複数の具体例を用いて説明がなされた。

○ 当専門部会では、医療機器は個々の製品特性に大きな違いがあるため、まずは、出来る限り共通する課題から議論を行うこととした。当面は以下の3課題について議論をすることとした。

①「レジストリ構築の課題」

レジストリを構築する際には、システムの規格化と拡張性、ハッキングに対するプロテクション、現場の負担を考慮した入力項目等を検討することが必要との指摘、また、社会的要因として、長期フォローアップの際には、患者の居住地の移動や、病院のモチベーションの維持の考慮等の課題があるとの指摘がなされた。どの様な医療機器に対してレジストリを構築すべきかも含め、まずはレジストリを構築する際の課題を整理することとされた。

②「後発医療機器の範囲の考え方」

医療機器は申請区分の考え方が分かり難いため企業の開発を難しくさせているとの指摘があり、具体的な事例をもとに申請区分に関する課題を整理することとされた。

③「コンビネーションプロダクトの開発の考え方」

コンビネーションプロダクトの申請区分の考え方が海外と異なる、あるいは、日本の申請区分の考え方が不明確等の理由により、日本での開発や申請が遅れているのではとの指摘があり、まずはコンビネーションプロダクトの開発における課題を、具体例を挙げて整理することとされた。

● 平成25年度の方向性

「レジストリ構築の課題」、「後発医療機器の範囲の考え方」及び「コンビネーションプロダクトの開発の考え方」について順次議論を進め、早期の意見集約を目指す。

以上

平成 25 年 3 月 18 日

細胞組織加工製品専門部会の活動報告

細胞組織加工製品専門部会 部会長 中畑 龍俊
細胞組織加工製品専門部会 副部会長 岡野 栄之

●これまでの活動記録

第 1 回 (平成 24 年 9 月 24 日)

- 細胞組織加工製品を中心に薬事制度等について PMDA から説明がなされた。生物系審査第二部（現 再生医療製品等審査部）からは、細胞組織加工製品の審査の現状等について説明があり、現状の PMDA の考え方等について意見交換したい旨の提案がなされた。また、品質管理部からは、細胞組織加工製品の製造管理、品質管理について意見交換したい旨の提案がなされた。
- 限られた時間の中で、本専門部会を有効に活用するため、議論のポイントを決め、それぞれコンセンサスを作っていく形で進めていくことが良いのではないかとの意見があった。

第 2 回 (平成 24 年 11 月 2 日)

- PMDA から、細胞組織加工製品の審査の現状について、自家培養表皮「ジェイス」及び自家培養軟骨「ジャック」の 2 品目を用いて紹介がなされた。
- また、専門部会の役割及び議論の結果のアウトプットイメージについて PMDA から説明がなされ、認識を共有した。
- 当専門部会で議論するのに適当な議題について、専門部会委員から意見を集めることとした。その結果は、次回の専門部会で報告することとした。なお、再生医療についての理解を深めるため、造腫瘍性については間野委員に、iPS 細胞については高橋委員に話題提供してもらいたいという意見があり、高橋委員からは了承が得られた。

第 3 回 (平成 24 年 12 月 26 日)

- iPS 細胞の品質評価について高橋委員から話題提供がなされ、iPS 細胞の品質評価に係る活発な意見交換がなされた。非公表情報を含む議論であったため、詳細は記載できないが、iPS 細胞を作成する際に導入する遺伝子の特性及びその遺伝子導入方法等について説明がなされた。造腫瘍性に関する議論の中で、次回の専門部会で間野委員から話題提供してもらいたいという意見があり、間野委員から了承が得られた。
- 当専門部会としては、細胞組織加工製品の品質及び安全性確保のあり方に関する議論から始めることとされた。

第4回（平成25年2月6日）

- 造腫瘍性について間野委員から話題提供がなされ、活発な意見交換を行った。特に、発がん性の議論の中でゲノムの不安定性も重要であり、晩発性の影響をどのように考えるべきか検討する必要がある等の意見があった。
- 今後、外部有識者の意見を聴取することも想定されることから、親委員会にその取り扱いについて整理することを求めることとした。

●平成25年度の方向性

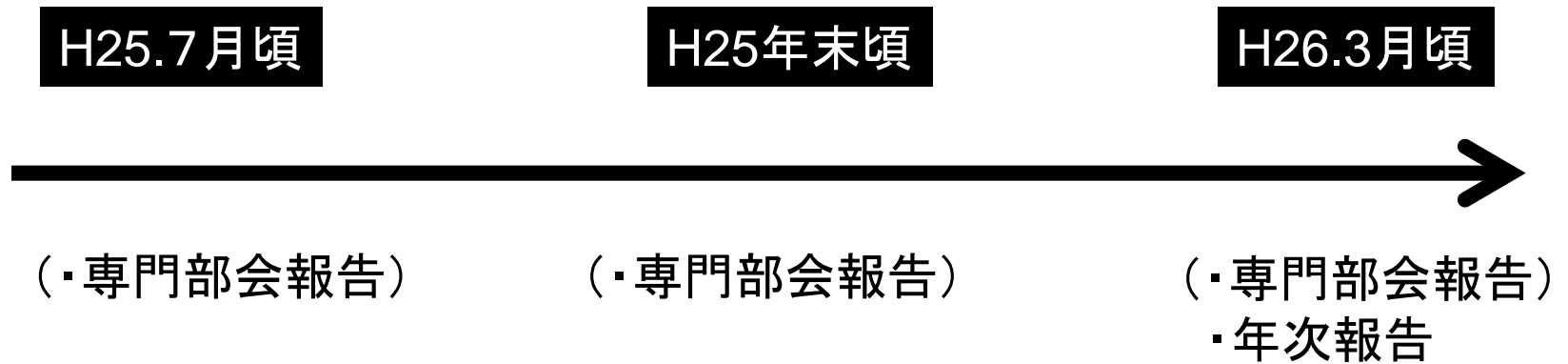
細胞組織加工製品の品質及び安全性の確保のあり方に関する議論から始める。具体的には、造腫瘍性、CPCの要件等について議論する。

造腫瘍性については、本年夏頃をメドに意見集約を目指す。

以上

科学委員会の今後の予定

●親委員会の開催時期



●成果物のイメージ

- ① 各テーマ毎に、専門部会での議論が纏まり次第、報告書を作成する。
- ② 年度末には、年次報告として、報告書（現状報告書）を作成する。