

医薬品・バイオ製品合同専門部会の議論の進め方について

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

1. 議論の進め方

- 当面、目標として「いわゆる個別化医療に関わる医薬品承認審査のあり方の提言」をまとめることを目指し、いわゆる個別化医療に関する各検討事項のうち必要なものについて優先順位等を踏まえ順次議論してはどうか。
- これらの検討事項は、医薬品専門部会とバイオ製品専門部会の両方で議論する方が好ましい議題であり、当面、両専門部会を合同で開催することとしてはどうか。また、必要に応じ、検討テーマごとに臨時委員の参加を求め、またWGでの検討を考慮してはどうか。

2. 提案された主な当面の検討事項とその論点（案）

【いわゆる個別化医療に関する検討事項】

（１）試験デザイン・開発戦略

- 1) 特定の変異や特定の遺伝子発現プロファイルを持つがん細胞に特異的な分子標的薬、又は driver gene に特異的な分子標的薬では、対象患者が少なくなる場合が多く、従来の治験デザインで開発することが困難になることが予想される。このような医薬品の治験を、制度の問題ではなく解決する方策を検討するため、治験デザインや、治験実施に当たっての前提条件の考え方等について整理してはどうか。
- 2) 分子レベルでの発現プロファイルに応じて、複数の弱点を狙った併用療法（combination medication）の開発を創薬段階から行うことが予想されるが、それに伴い、臨床開発の過程で、既承認薬との併用を考えた開

発戦略をとることの可能性について整理してはどうか。

(2) コンパニオン診断薬

いわゆる個別化医療で用いられる医薬品とコンパニオン診断薬が、同時に承認されるような、効率的な開発の考え方、必要な環境整備、ガイドンスについて整理してはどうか。

(3) 安全性

- 1) 成人で得られた安全性情報の小児への利用について、科学的に検証してはどうか。
- 2) レトロスペクティブに生体試料（血液、組織等）を解析することで、副作用の原因を解析できる体制を構築することの可能性について検討してはどうか。
- 3) 安全性確保に向け、最先端の科学を結集すること、インフォマティクス、モデリング&シミュレーションを利用することについて整理してはどうか。
- 4) 重篤な副作用の予測に役立つと思われる薬物代謝酵素、薬物トランスポーター、免疫応答に関わる遺伝子などの遺伝子多型を整理してはどうか。

(4) がん以外の疾患における、いわゆる個別化医療の可能性について

（例：アルツハイマー、アトピー性皮膚炎、带状疱疹後神経痛）

【その他の検討事項】

(1) 抗がん剤について

- 1) 薬理試験の必要性について
- 2) 第Ⅲ相臨床試験の評価時期について
- 3) 免疫学的機序を利用した抗がん剤の効果判定

* 免疫学的機序を利用した抗がん剤の RECIST による効果判定方法には疑問が投げかけられており、Wolchok らにより新しい評価方法が提唱されている。このような評価方法の導入について議論し、整理してはどうか。

4) 主要評価項目について

* 抗がん剤の臨床試験に際しての主要評価項目設定の考え方を整理してはどうか。

- (2) DDS 製剤において、キャリア組成等をマイナーチェンジした医薬品の審査のあり方について
- (3) 感染症ワクチン、治療用ワクチンに共通する次の研究・開発課題について
 - ・新規のベクターに関する研究
 - ・アジュバントに関する研究
 - ・投与経路及びデリバリーに関する研究
- (4) 予防用ワクチンの同時接種時の安全性について