医療イノベーションにおける新薬グローバル開発試験

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

2012年10月26日（金）　第50回日本癌治療学会学術集会

医学にとって薬事とは

- 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)
- 薬事は究極の医療倫理といえる

PMDAの理念（平成20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。

PMDA の3大業務

医薬品・医療機器の承認審査

- 治験相談・申請前相談
- 有効性・安全性の審査
- 承認申請資料の信頼性調査
  GLP・GCP・GMPへの適合性調査

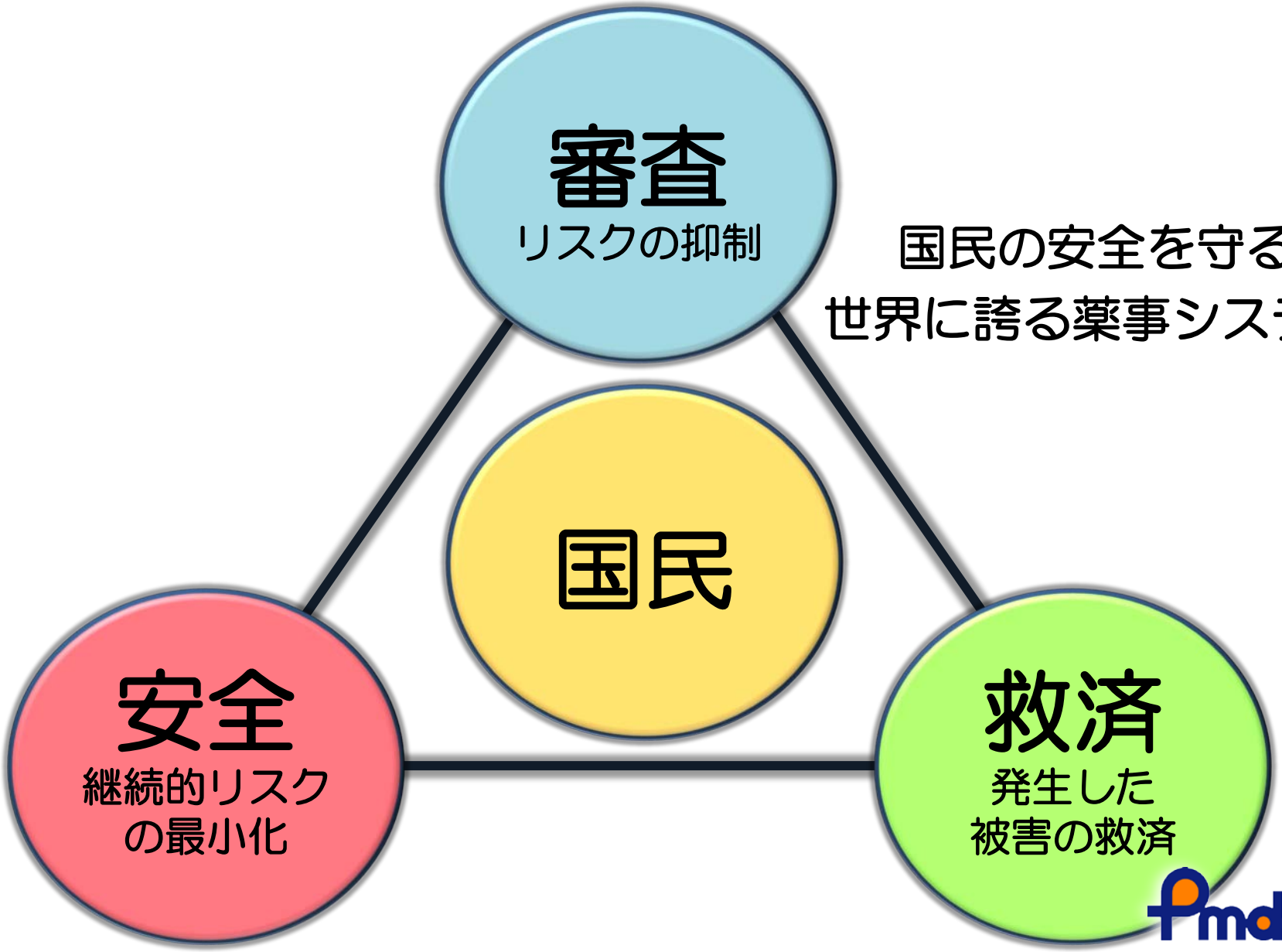
医薬品・医療機器の安全対策

- 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
- 情報の提供、医薬品・医療機器相談

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、HIVの被害者への健康管理手当等の支給

PMDAのセイフティ・トライアングル



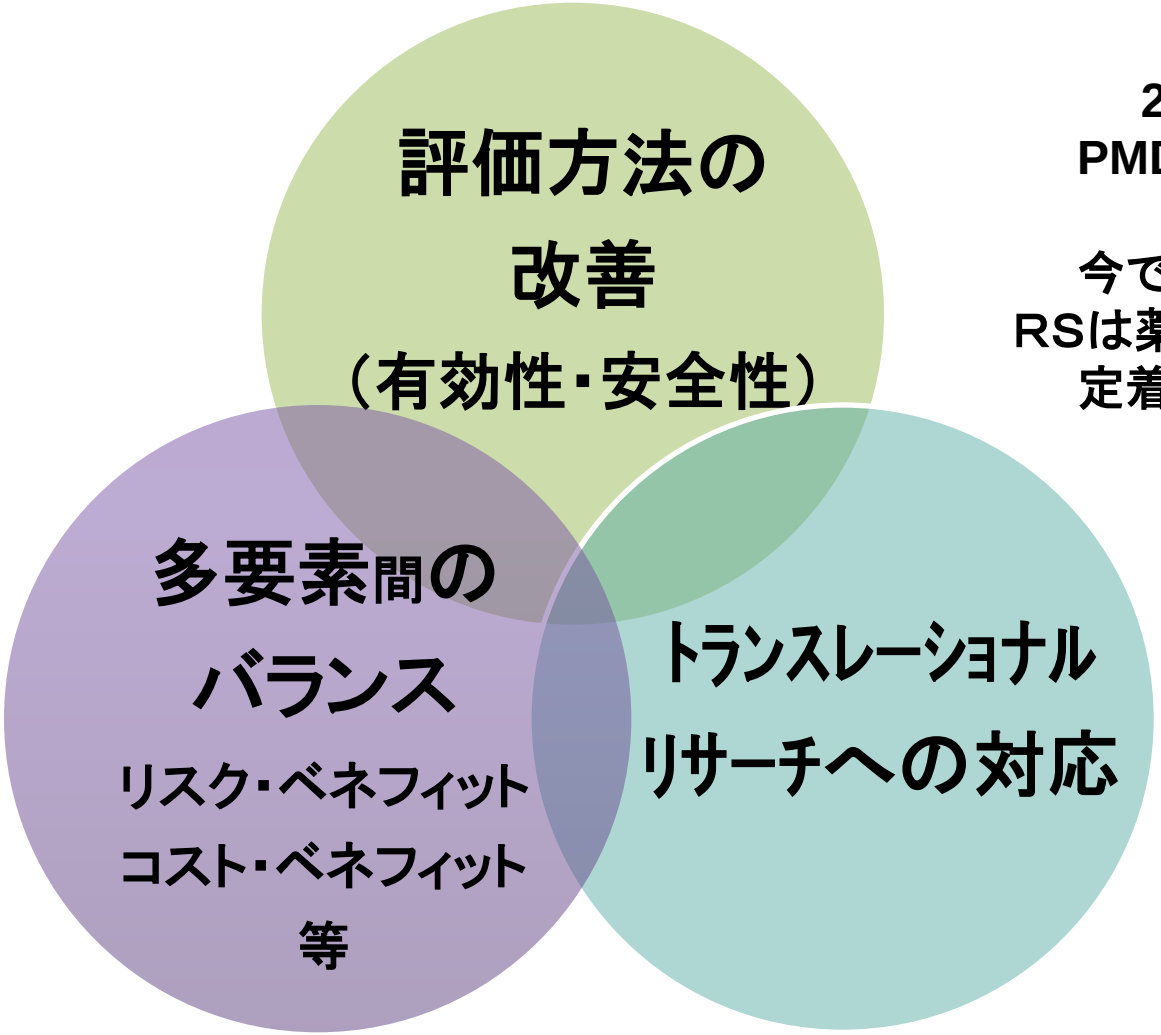
国民の安全を守る
世界に誇る薬事システム

評価の科学
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、科学技術進歩の所産を「メリット」と「デメリット」の観点から評価・予測する方法を研究し、社会生活との調和の上で、最も望ましい形に調整（Regulate）すること。

1987年　内山 充 博士により提唱された。
（当時、国立医薬食品衛生研究所副所長）

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

今では、世界中で
RSは薬事の科学として
定着しつつあり

Regulatory science as a bridge between Science and society.
Tominaga, T. et al : Clin. Pharmacol. Ther. ***90****(1) 29~31（2011）*

RS 関連

PMDA組織の充実

- **レギュラトリーサイエンス推進部**
  - PMDA内にレギュラトリーサイエンス推進部を設置（平成21年4月）
  - レギュラトリーサイエンス推進部に研究課を設置し、**研修課**、**推進課**、**研究課**の3課体制へ（平成22年10月）

- **規格基準部**
  - PMDA内に規格基準部を設置し、**医薬品基準課**、**医療機器基準課**の2課体制へ（平成23年7月）
    →審査情報やレギュラトリーサイエンス研究成果を体系化し、基準・ガイドラインを作成

情報の発信、研究の推進

- **情報の発信**

PMDAとしてのレギュラトリーサイエンスに関する考え方を学術論文として公表（平成23年7月）

Tominaga T et al. Clin Pharmacol Ther. 90(1):29-31.2011

- **研究の推進**

PMDAにおけるレギュラトリーサイエンス研究を、透明性・公正性を確保しつつ、円滑かつ適切に実施するための「基本的考え方」を公表（平成23年10月）

http://www.pmda.go.jp/regulatory/file/basic_policy.pdf

レギュラトリーサイエンス学会

発足シンポジウム (平成22年10月4日)

レギュラトリーサイエンス学会ポリシー

- 法人会員を持たない。学生会費は減額。
- 企業からの寄付や賛助金は受け取らない。
- 講演会等における低額な参加費の設定。

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

PMDAと連携大学院協定を締結した大学

（平成24年7月1日現在）

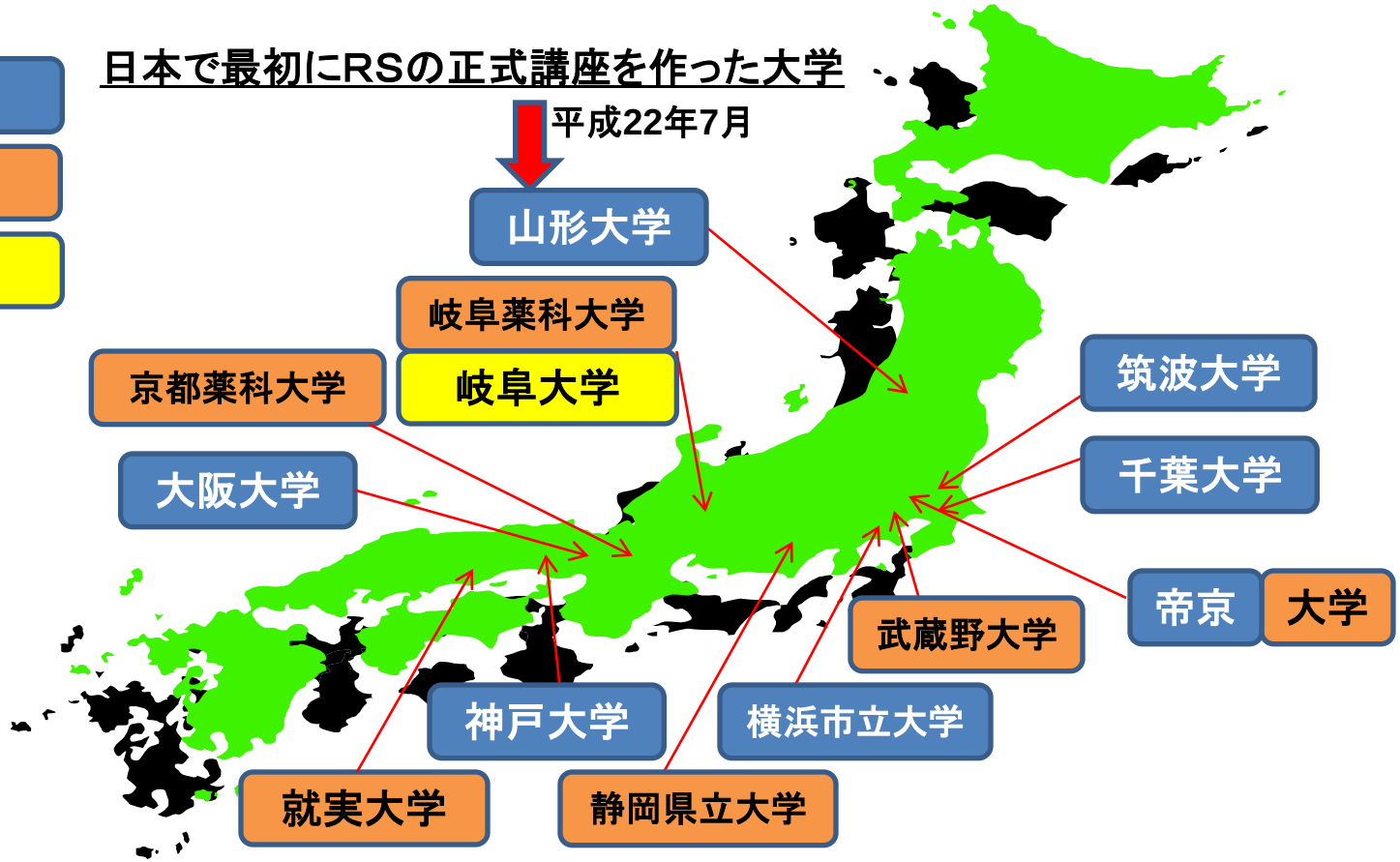
医学系

薬学系

工学系

日本で最初にRSの正式講座を作った大学

平成22年7月



PMDAの審査体制の強化①

- **科学委員会の創設**
  - 外部専門家からなる科学委員会を創設（平成24年5月）
  - 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
  - 薬事戦略相談を含め先端科学技術応用製品への的確な対応を図る
  - 医療機器、再生医療製品等の専門部会を設ける

- **審査等改革本部の設置**
  - PMDA内に審査等改革本部を設置（平成24年4月）
  - 審査・相談から市販後安全対策まで見据えた審査等体制の充実強化

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適確な対応を図るため、科学員会を設置し、審査・相談から市販後安全性対策までを見据えた業務の質の向上を目指す

平成24年6月18日　第1回科学委員会

科学委員会・審査等改革本部のイメージ

審査等改革本部

本部長

本部事務局長（代理を含む）

副本部長（代理を含む）

構成及び具体的業務内容

・科学委員会と連携して、医薬品・医療機器の審査等業務をより科学的かつ医療実態をも十分踏まえたものにするよう改革し、審査等業務の向上に資する業務を行う。

PMDA　関係部局

- 規格基準部
- 審査業務部
- レギュラトリーサイエンス推進部
- 各審査部
- 審査マネジメント部
- 各安全部

科学委員会

・科学委員会委員は、医歯薬工などの外部専門家で構成。委員名簿は　専門部会委員も含め公開。会議は親委員会、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非公開を予定。

・個別品目の承認審査には関わらない。公正性の確保

親委員会

- ●先端科学技術応用製品に対する対応方針の提言
- ●ガイドライン、ガイダンス等の作成に関する提言
- ●PMDAとして取り組むべきﾚｷﾞｭﾗﾄﾘｰｻｲｴﾝｽ研究(RS研究)等の提言
- ●アカデミアとPMDAとの人材交流の具体的な実施方法の提言
- ●専門委員選定方法の提言
- ●その他、審査等業務の科学的な面における向上方策の提言
- ●審査全体に係る審査部との討議

専門部会

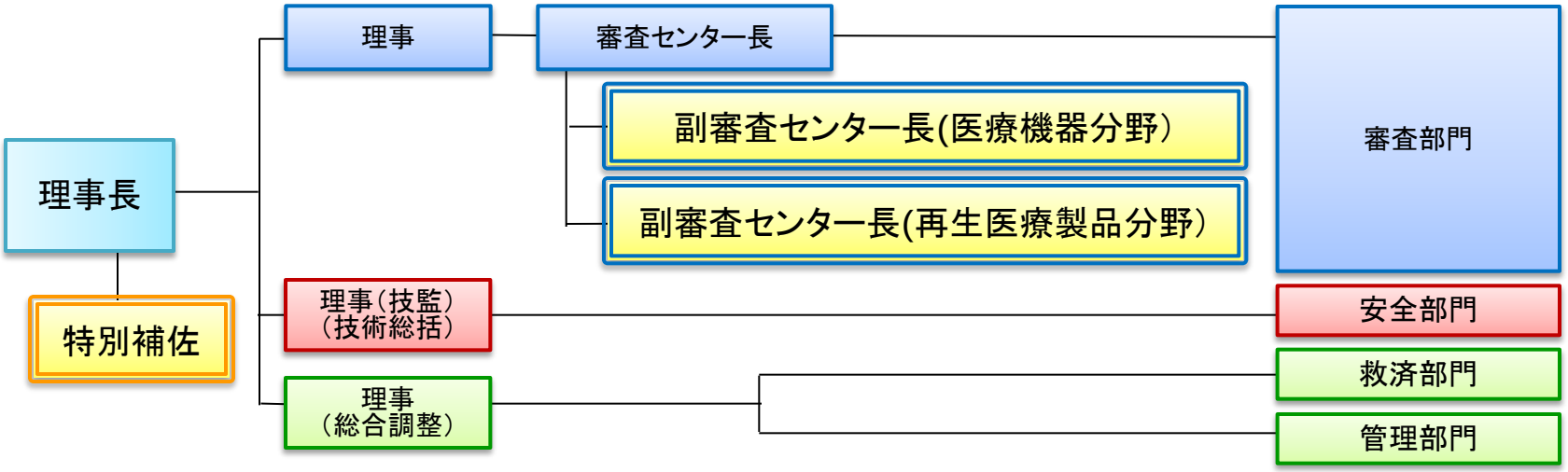
- ●専門部会は分野毎の課題の検討や専門部会委員候補者選定の助言などを行う。
- ●専門部会委員は専門委員として、当面RS研究の進め方やガイドライン作成などについてPMDAの担当チーム会合に加わることを予定。
- ●今後、専門部会・分野横断的WGも必要に応じて設置予定。
- ●審査部との緊密な討議の場

医薬品　医療機器　バイオ製品　細胞組織加工製品（再生医療製品）　…

分野横断的WG

PMDAの審査体制の強化②

- **理事長特別補佐の設置**
  - 先端医療機器分野の助言をアカデミアから委嘱 （平成24年2月）
- **審査センター長の専任化**
  - アカデミアから採用（平成24年6月）
- **副審査センター長の設置**
  - 医療機器分野と再生医療製品分野の担当をアカデミアから採用（平成24年6月）



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年度厚生労働省予算事業）

人事交流による人材育成の推進

医薬品医療機器総合機構

審査員の出向（派遣）

研究者の受入

大学等研究機関

病院等

革新的技術の習得
↓
審査等の迅速化・質の向上

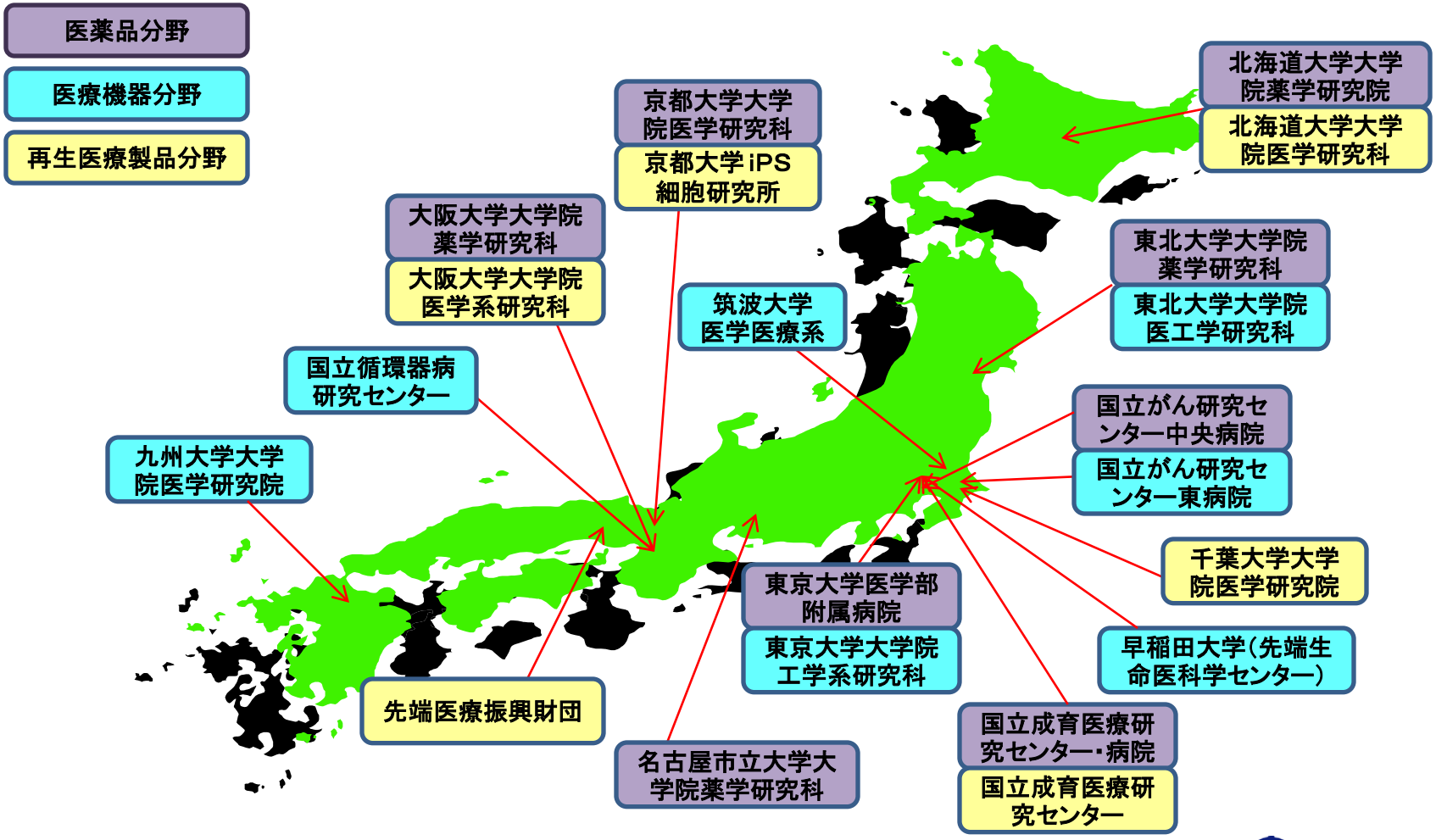
研究等の成果

レギュラトリーサイエンスに精通した
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）

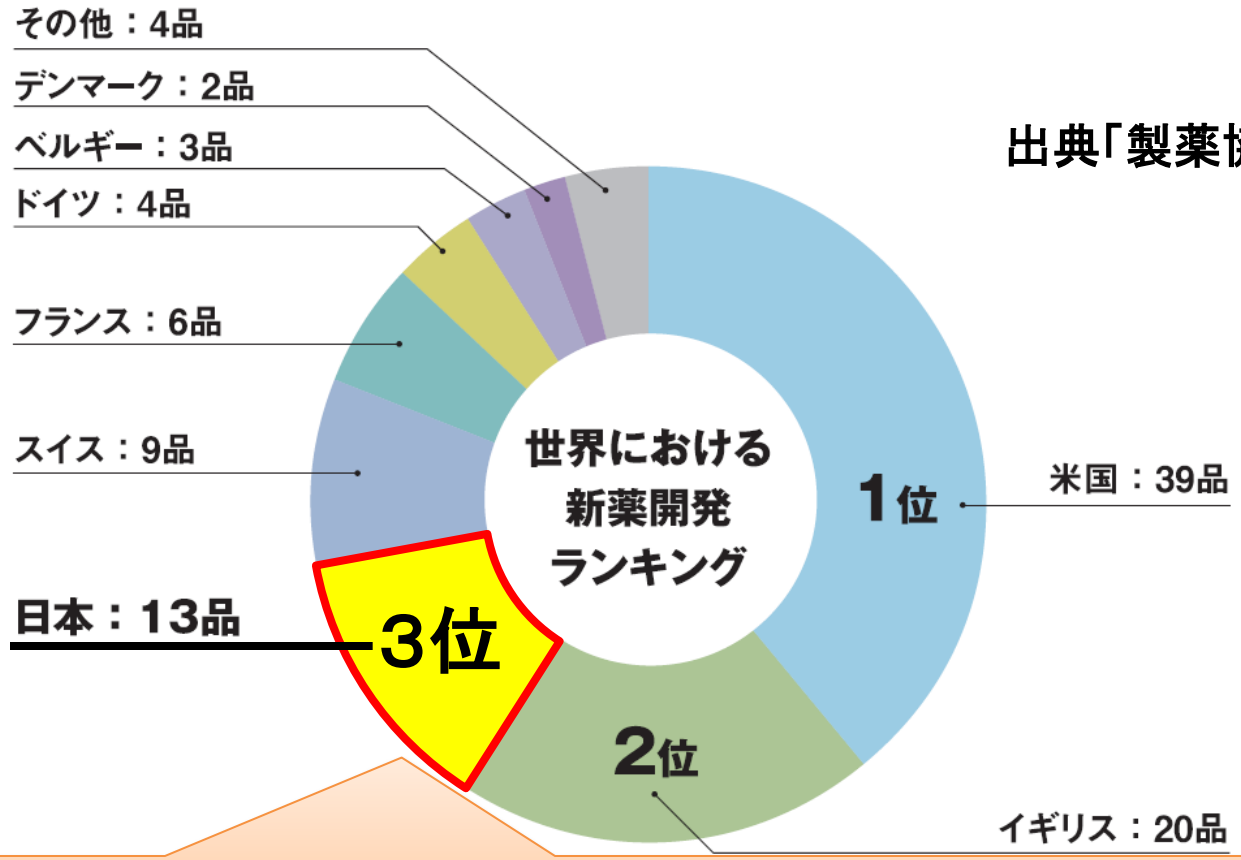
革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業

（平成24年6月現在）



医薬品の創出①

世界の売上高上位100位までの医薬品を、開発した起源国籍別に分類

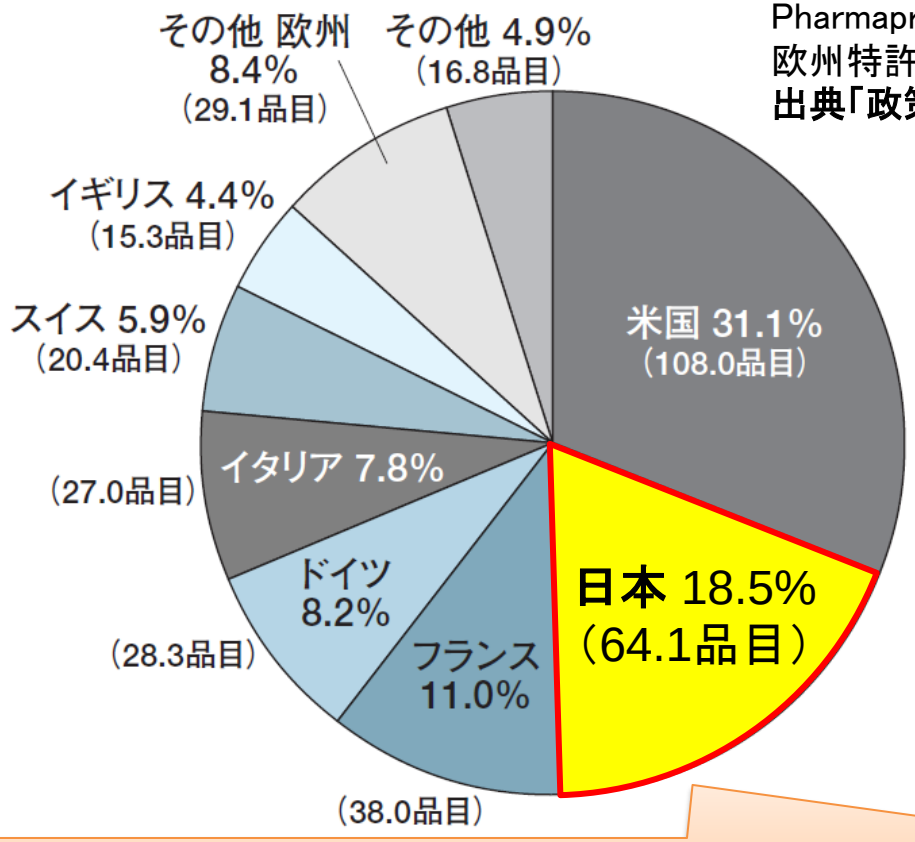


出典「製薬協ガイド2010」

日本から創出された医薬品の品目数は、世界第3位

医薬品の創出②

New Classの医薬品（347品目）の創出国



Pharmaprojects、米国特許商標庁、
欧州特許庁のデータをもとに作成
出典「政策研ニュース　№29」

日本から創出された医薬品の品目数は、世界第2位

創薬・創医療機器に向けて

- **バイオマーカー**の収集
  - 患者さんからの検体試料の提供を受け、バンクを作る
  - 患者さんにその意義と将来の発展の可能性の合意
  - 利用法は公的なルールのもとで
- **合理的医療機器**の創意工夫の具現化
  - 国産の新規医療機器を開発しよう
  - 安全性の工夫は大事な発明・発見
  - 素材の利用はあくまでも目的次第であり、逆は不可
- **AROの創立**：治験の独立・活性化

医薬品・医療機器薬事戦略相談

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、平成23年7月1日より開始した。

○相談区分
- **医薬品戦略相談**
- **医療機器戦略相談**

○相談対象
- 開発初期からPOC試験程度までの承認申請に向けて必要な試験について、有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とする。
- また、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」において、平成１１年より導入された再生・細胞医療製品に係る確認申請制度は廃止し、薬事戦略相談に代替することが適当であるとされたことから、従来、確認申請制度で対応してきた人又は動物由来の細胞・組織を加工した治験薬又は治験機器については、それらに係る開発初期段階からの品質及び安全性に係る相談も、薬事戦略相談において受付ける。

○ 相談手数料
- 一定の要件に該当する大学・研究機関・ベンチャー企業は、低額の手数料を適用。

健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト
（医療情報データベース基盤の整備事業）

医療情報データベースの活用による医薬品等の安全対策の向上

キャッチフレーズ 「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」

背景

医薬品等の安全性情報の正確性・迅速性を向上するため、「薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて」（平成22年4月最終提言）において、医薬品の安全対策への電子的なデータベースの活用を求められ、政府のIT戦略（平成22年5月）、新成長戦略（平成22年6月）においても、データベースの活用について盛り込まれている。

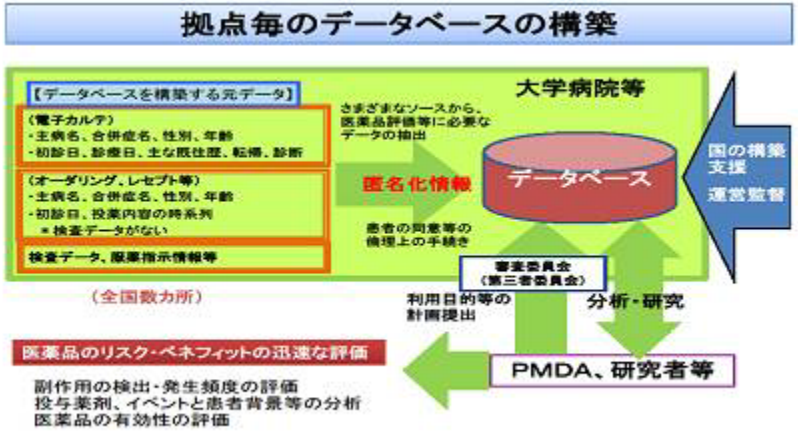
概要

全国の大学病院等5か所に1，000万人規模のデータを収集するための**医療情報データベースを構築**するとともに、**（独）医薬品医療機器総合機構に情報分析システムを構築**する。データベースについて、**疫学的手法**を利用し、医薬品等のリスク・ベネフィットの正確・迅速な評価を行い、副作用に関する情報を見つけ出す等、安全対策に活用する。

目標

医薬品等の安全対策の更なる向上を目指し、従来の企業等からの副作用報告のみでは把握できなかった安全性情報を正確かつ詳細に情報収集するため、**1，000万人規模のデータベースを構築**する。

（事業イメージ）



＜最近の動向＞

○本事業の拠点となる協力医療機関を選定（平成23年5月）

東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、東京大学医学部附属病院、浜松医科大学医学部附属病院、香川大学医学部附属病院、九州大学病院、佐賀大学医学部附属病院、北里大学・北里研究所附属病院（グループ）、NTT病院（グループ）、徳洲会（グループ）

○協力医療機関及びPMDA等の事業の主体となる機関からなる「協力医療機関ワーキンググループ」を設置。（平成23年6月）

MIHARI PROJECT

Medical Information for Risk Assessment Initiative

MIHARI
Medical Information for Risk Assessment Initiative

電子診療情報の安全対策への活用事業

（平成21年度より開始）

【検討概要】

- **レセプトデータ等の電子診療情報データベース**へのアクセス方法検討
- **電子診療情報を用いた薬剤疫学的解析**等による副作用の発現リスク等を定量的に評価する方策の検討
- 副作用情報の電子化、データベース構築の要件検討

等

新たな安全性評価方法の検討
自発報告以外の情報源による安全性評価

レセプトデータ、病院情報システム（HIS）データ等電子診療情報の二次利用

- 一定集団における評価
- 定量的評価
- 迅速・簡便（調査票による調査と比較して）
- 評価可能な副作用はデータ特性に依存

世界のPMDAへ

PMDA国際戦略の策定（2009.2.6.）

◆第二期中期計画期間中の国際活動の基本方針
1. 欧米アジア諸国、諸国際機関との連携の強化・協力関係の構築
2. 国際調和活動への主体的な参画と、より一層の貢献
3. 海外への情報発信の充実・強化

PMDAに国際部を設置（2009.4.1.）

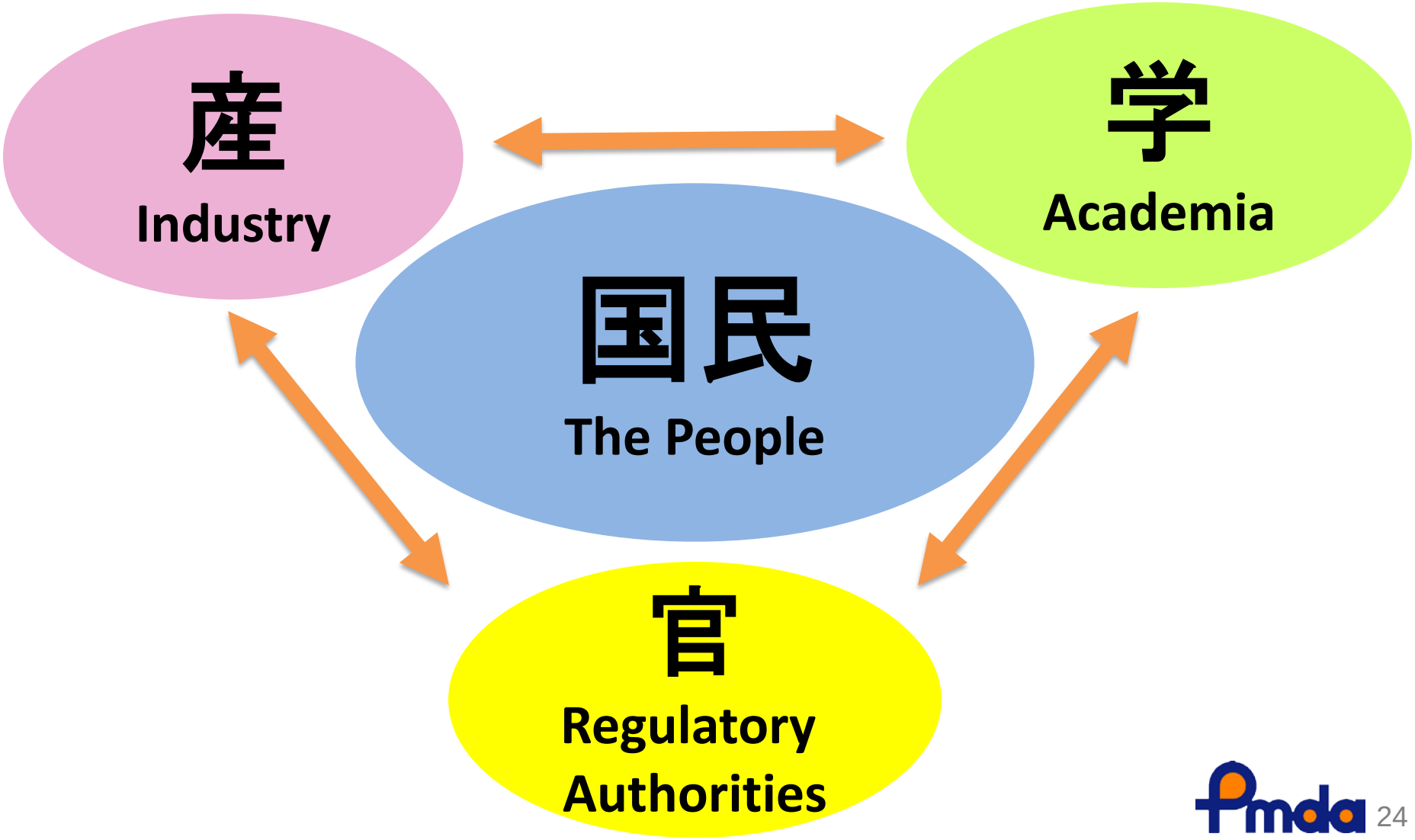
- ◆ 国際機関との連携強化／国際調和活動に対する取り組みの強化
- ◆ 人的交流の促進／国際感覚・コミュニケーションスキルを備えた人材の育成・強化
  →国際業務調整役を欧州(2009.11)、米国(2010.2)へそれぞれ長期派遣
- ◆ 国際広報／情報発信の充実・強化

PMDA国際ビジョンの策定（2011.11.9.）

◆今後5－10年の間に目指す「姿」
1. 世界トップレベルの実力の確保
2. アジア諸国との緊密なパートナーシップ
3. 基準等の国際調和への貢献

日・米・欧 3極の協力

産官学･国民の義務と責任ある連携



良き医療人として2足、3足のわらじを履いて社会に貢献して頂きたい！

- 患者にとってより良い医療の工夫を
- より良い医薬品・医療機器の開発を

Surgeon Scientist

Physician Scientist

臨床の現場は発明・発見の宝庫です

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

ご静聴有り難うございました