

## がん免疫療法ガイドライン策定／人事交流のタイムライン

取組み		H25年度	H26年度	H27年度	H28年度
3つのガイドライン作成	コンセプト検討	<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床試験経験・国内外情報収集・非臨床試験データ収集</li> </ul>			
	臨床試験ガイドライン	<ul style="list-style-type: none"> <li>ワーキンググループ(WG)設置</li> <li>素案作成</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>中間案作成</li> <li>最終案作成</li> </ul>		
	CMC・非臨床試験ガイドライン	<ul style="list-style-type: none"> <li>WG設置</li> <li>作成方針確立</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>素案作成</li> <li>中間案作成</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>最終案作成</li> </ul>	
	複合的免疫療法ガイドライン		<ul style="list-style-type: none"> <li>WG設置</li> <li>作成方針確立</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>素案作成</li> <li>中間案作成</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>最終案作成</li> </ul>
	ガイドライン最終化と国際化		<ul style="list-style-type: none"> <li>アカデミア・企業・学会・国外機関とのコンセンサス形成</li> </ul>		
人事交流	PMDAへ人材派遣	<ul style="list-style-type: none"> <li>がん免疫研究員1名を常勤派遣</li> <li>審査業務習得と学術情報提供</li> </ul>			
	PMDAからガイドライン作成活動への参画	<ul style="list-style-type: none"> <li>PMDA担当者が検討委員会・WG会議に常時参加</li> <li>薬事審査の視点提供</li> </ul>			

## 平成25年度の取組みと成果

取組み			委員数	開催回数	成果
担当	内容				
がん免疫療法ガイドライン作成	臨床試験WG	対象患者、層別化、臨床評価法、免疫学的評価法、試験デザイン等について検討	6名	計 3回 (4時間/回)	<ul style="list-style-type: none"> <li>がん免疫療法の臨床試験に関する状況分析と課題抽出</li> <li>ガイドライン作成方針の確立</li> <li><b>臨床試験ガイドライン素案の完成</b></li> </ul>
	エフェクター細胞療法WG	細胞療法に特有の課題（エンドポイント、安全性、有効性評価法、対象患者等）について検討	8名	計 4回 (4時間/回)	
	生物統計小委員会	がん免疫療法の効果を適切に評価できる統計学的手法を検討	6名	計 3回 (4時間/回)	
	CMC・非臨床試験WG	CMC研究・非臨床試験で直面する免疫学的課題について検討	4名	計 3回 (4時間/回)	<ul style="list-style-type: none"> <li>CMC・非臨床試験・アジュバント併用に関する状況分析と課題抽出</li> <li><b>CMC非臨床ガイドライン作成方針の確立</b></li> </ul>
	アジュバントWG	アジュバントを併用する際の非臨床・臨床開発戦略について検討	7名	計 3回 (4時間/回)	
	検討委員会およびWG合同会議	各種専門家より提供される情報を参考として、各WGから提起される課題等を多角的に検討し、ガイドライン案の作成方針と内容を議論	40名	計 4回 (4時間/回)	<ul style="list-style-type: none"> <li>免疫療法専門家・薬事専門家によるレクチャー</li> <li>各WGより活動報告と課題提起</li> <li>重要課題について総合討論</li> </ul>
取組み			担当者数	期間	成果
担当	内容				
人事交流	がん免疫療法開発研究経験者をPMDAへ常勤派遣 (研究歴>8年)	薬事審査の現場において審査業務の実務と課題を学び、ガイドライン作成活動に活用すると共に、免疫療法に特有の考え方を規制当局に紹介	1名	通年	<ul style="list-style-type: none"> <li>薬事審査の習得</li> <li>がん免疫療法に関する非臨床・臨床上の知見の提供</li> </ul>
	検討会議・ワーキンググループへのPMDA担当者参画	ガイドライン作成過程に薬事審査の考え方を取り入れ、ガイドラインの有効性を向上	延べ27名	通年	<ul style="list-style-type: none"> <li>レギュラトリーサイエンスの視点の注入</li> <li>国内外の状況に関する情報提供</li> </ul>

## 平成25年度の成果： 作成した“がん免疫療法臨床試験ガイドライン”素案の構成内容

項目	担当	内容の特徴
<p><b>本ガイドラインの視点と位置付け</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• がん免疫療法の開発に有用な今日的考え方をまとめる</li> <li>• がんワクチン、エフェクター細胞療法、複合的がん免疫療法を対象</li> <li>• 免疫学的特性に焦点：（「薬剤内容」「非臨床・臨床POC」「標的抗原」「統計学的観点を踏まえた臨床試験デザイン・解析手法」）</li> <li>• レギュラトリーサイエンス視点との調和</li> <li>• 国際的情報を取り入れる</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 検討委員会</li> <li>• 事務局</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>成功する開発</b>に資する考え方を提言</li> <li>• <b>エフェクター細胞療法</b>への言及</li> <li>• <b>複合的免疫療法</b>への言及</li> <li>• 免疫学的特性、特に自己抗原を対象としたがん免疫療法の特性を考慮</li> <li>• 宿主内環境、免疫抑制現象を考慮</li> <li>• 免疫学的安全性を考慮</li> </ul>
<p><b>臨床試験デザイン</b></p> <p><b>（早期・後期臨床試験）</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 患者集団（病期・病態、がん種）</li> <li>• 標的抗原検査</li> <li>• 免疫反応</li> <li>• 治療効果遅延現象（一過性病変増大）</li> <li>• 複数抗原標的薬</li> <li>• アジュバント</li> <li>• 複合的免疫療法</li> <li>• 第Ⅰ相（初期投与量・スケジュール、安全性・忍容性評価）</li> <li>• 第Ⅱ相（生物学的活性評価、レジメン最適化）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 検討委員会</li> <li>• 臨床試験WG</li> <li>• エフェクター細胞療法WG</li> <li>• 生物統計小委員会</li> <li>• アジュバントWG</li> <li>• 事務局</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>早期臨床試験中心</b></li> <li>• 免疫療法の特性を踏まえた<b>新しい統計手法</b>の提案</li> <li>• <b>コンパニオン診断薬</b>開発の重要性への配慮</li> <li>• <b>免疫反応</b>の評価の重要性への配慮</li> <li>• <b>アジュバント</b>の重要性への配慮</li> <li>• これまでのワクチン療法の成果と特性を考慮</li> <li>• <b>エフェクター細胞療法</b>の特性を考慮</li> <li>• <b>複合的免疫療法</b>への言及</li> </ul>

## 平成26年度 事業目標

取組み		到達目標
3つのガイドライン作成	臨床試験ガイドライン	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 中間案作成</li> <li>• <b>最終案作成</b></li> </ul>
	CMC・非臨床試験ガイドライン	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 素案作成</li> <li>• <b>中間案作成</b></li> </ul>
	複合的免疫療法ガイドライン	<ul style="list-style-type: none"> <li>• WG設立</li> <li>• <b>作成方針確立</b></li> </ul>
	ガイドライン国際化	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ガイドラインの国際標準化を目指した国際シンポジウム開催</li> </ul>
人事交流	がん免疫療法開発研究経験者のPMDA派遣	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 薬事審査の習得と支援の継続</li> </ul>
	PMDA担当者の全体会議・WGへの参画	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 意見交換の継続</li> </ul>
新しい評価法創出の臨床試験・関連基礎研究	臨床研究・治験	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>臨床研究・治験の継続</b></li> <li>• 情報と検体の収集継続</li> <li>• 新規開発した免疫応答臨床検査法の検証と標準化</li> </ul>
	非臨床研究	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 新規開発したがんワクチン生物活性測定法を用いた製剤同等性試験（経験値をガイドライン作成に活用）</li> </ul>