

## 第16回科学委員会

日時 平成28年5月27日(金)

10:00～

場所 PMDA会議室22～25(14階)

<開会>

○矢守理事 定刻になりましたので、第 16 回科学委員会を開催いたします。本日は大変お忙しい中、また、足元が悪い中お集まりいただきまして、誠にありがとうございます。

本科学委員会は 4 年前に設立され、2 年間で 1 期としてこれまで 2 期 4 年間活動してまいりました。本日は第 3 期の第 1 回目の委員会です。本年 4 月 1 日付で、第 3 期目の科学委員会として全メンバーを新たに委嘱させていただいております。第 3 期における委員長が選任されるまでは事務局で議事を進めます。

それでは、まず理事長からご挨拶を申し上げます。

<理事長挨拶>

○近藤理事長 皆様、おはようございます。ただいまご紹介いただきました PMDA の理事長の近藤でございます。本日は大変お忙しい中、多くの委員の先生方にお集まりいただきまして誠にありがとうございます。PMDA の業務は既に皆様、ご存じだと思いますが、「審査」「安全対策」「健康被害救済」という 3 つの業務を一体的に実施する唯一の公的な機関です。これらの 3 つの業務を最新の科学に基づいて判断を行うため、私どもは日本初の倫理的な規制の科学であるレギュラトリーサイエンスを業務の基調として、常に最新の科学を取り入れる取組を進めてまいりました。

しかしながら、最新の専門知識と叡知については PMDA が単独で努力することは不可能です。産と学と官、このハイレベルな協調が必要と判断いたしました。取り分けアカデミアと PMDA のハイレベルな連携は極めて重要であると考え、科学委員会を設置したところです。したがって、この取組の中核を成すのが、この科学委員会です。これまでの科学委員会では、第 1 期に 3 報、第 2 期に 5 報の報告書が作成されました。そのうち、1 報は学術雑誌に掲載される等、科学的にも極めてハイレベルな提言をいただいております。PMDA を代表いたしまして、厚く御礼を申し上げます。

お陰様をもちまして、平成 24 年 5 月に発足した科学委員会も 5 年目に入りました。今回から第 3 期が始まります。第 2 期からお務めいただいている 10 名の先生方におかれましては、第 3 期もお引き受けいただきまして誠にありがとうございます。第 3 期からは新たに 12 名の先生方に委員をお務めいただくこととなりました。大変ご多忙の中、お引き受けいただき誠にありがとうございます。

PMDA が科学委員会を設置した趣旨は、改めて申すまでもなく、最新の科学的知見をご教示いただくとともにアカデミアの先生方と PMDA の職員との

コミュニケーションの場として期待されるところです。科学委員会の議論を通じてアカデミアの先生方に PMDA の審査業務についてご理解を深めていただくことが、我が国のレギュラトリーサイエンスと革新的医薬品・医療機器・再生医療製品等の開発促進にも非常に有益であると考えており、PMDA の職員も最新の科学的知見をキャッチアップしていくことが審査業務の質の向上のうえで非常に重要であると考えております。引き続き是非ともご活発なご議論をお願いするところです。どうぞよろしくお願いいたします。

○矢守理事　それでは、続いて PMDA の役員並びに科学委員会の事務局の紹介をいたします。改めて理事長の近藤です。理事の赤川です。理事の重藤です。副審査センター長の佐久間です。同じく副審査センター長の梅澤です。審議役の鹿野です。事務局の江原です。申し遅れましたが、私は科学委員会担当の理事の矢守です。どうぞよろしくお願いいたします。以下の司会は江原にお任せします。よろしくお願いいたします。

#### < 委員出席状況確認及び資料確認 >

○事務局(江原)　議事に入ります。まずはロジ的な部分ですが、配布資料のご確認をお願いいたします。お手元に席次表、資料目録、議事次第、それぞれ 1 枚紙です。それに加えて資料 1～3 まで 3 つあります。資料 1 は委員名簿、資料 2 は PMDA と書いてあるカラーのもの、資料 3 は最後に 1 枚紙であります。参考資料として 6 つ資料があります。クリップ留めになっておりますが、それぞれ設置規程、参考資料 4 は議事録の取扱いの規定、参考資料 5 は外部有識者の出席要請に関する確認事項です。落丁等ありましたら事務局までお願いいたします。

参考資料 4 の資料の取扱い規定に載っておりますが、本日の配布資料は全てお持ち帰りいただいて構いません。資料によっては秘密事項等が入っている部分があります。その場合の取扱いについて参考資料 4 に記載がありますので、そのときに改めて説明いたします。

次に参考資料 1 をご覧ください。科学委員会の設置規程です。本日はご多忙の中、22 名の先生方のうち 19 名の委員にご出席いただいております。どうもありがとうございます。

全委員の過半数の出席をもって設置規程第 7 条の規定に基づき、過半数以上ということで、本委員会の成立を報告いたします。

#### < 議題 2 : 第三期科学委員会委員等の紹介 >

○事務局(江原)　次の議題である第 3 期の委員長の選任の前に先生方から自己紹介をお願い

いできればと存じます。大変恐縮ですが 50 音順ということで、新井先生から順にお願いいたします。

- 新井委員 東京大学大学院薬学系研究科の新井と申します。今年度より研究科長もやっております。よろしくお願いいたします。
- 荒川委員 筑波大学、つくば臨床医学研究開発機構の荒川と申します。よろしくお願いいたします。私どものところはアカデミア発の医薬品の臨床開発の支援も含めて、臨床研究の推進を進めております。よろしくお願いいたします。
- 石塚委員 北海道大学大学院獣医学研究科の石塚と申します。専門は毒性学です。どうぞよろしくお願いいたします。
- 井上委員 東京大学医科学研究所の井上と申します。専門は分子細胞生物学で細胞のシグナル伝達、がんや免疫の方面で研究しております。今期、初めて参加させていただきます。どうぞよろしくお願いいたします。
- 今泉委員 名古屋市立大学の今泉と申します。よろしくお願いいたします。研究・国際担当の理事・副学長もいたしております。専門は薬学です。よろしくお願いいたします。
- 上田委員 愛知医科大学で腫瘍免疫寄附講座を開設している上田でございます。創薬開発研究に非常に興味を持っておりますし、腫瘍免疫に関しての臨床的な問題に関して非常に関心を持っております。どうぞよろしくお願いいたします。
- 大江委員 東京大学大学院医学系研究科で医療情報学を担当している大江と申します。よろしくお願いいたします。専門は医療情報学全般ですが、特に医療情報の標準化や医療の現場で発生するデータを様々握って有用にするというあたりの研究開発をしております。よろしくお願いいたします。
- 太田委員 広島大学大学院医歯薬保健研究院の太田です。2 期からの継続です。専門は薬学領域です。よろしくお願いいたします。
- 加藤委員 昭和大学発達障害医療研究所の加藤と申します。公益財団法人神経研究所の理事長を兼任しております。専門は精神科です。どうぞよろしくお願いいたします。
- 許委員 東京都健康長寿医療センターのセンター長をしております、許と申します。専門は人工臓器全般ですが、私は特に補助人工心臓、心臓移植という方面でPMDAとも色々話をしております。よろしくお願いいたします。
- 楠原委員 東京大学大学院薬学系研究科の楠原と申します。私は今期、初めて加えていただきましたので、ご指導のほどよろしくお願いいたします。専門は薬物動態と薬物代謝です。
- 後藤委員 理化学研究所の後藤です。新人ですので、よろしくお願いいたします。専門と申しますか、ここにありますように私は創薬・医療技術基盤プログラ

ムを理化研で主催しており、AMED の創薬支援ネットワークが 3 つあるのですが、理化学研究所の創薬の部分を担当しております。よろしくお願いいたします。

- 永田委員 筑波大学の永田です。感染生物学を専門にしております。どうぞよろしくお願いいたします。
- 西川委員 国立医薬品食品衛生研究所 安全性生物試験研究センターの西川です。専門は病理学で、人体病理と毒性病理両方やってきております。よろしくお願いいたします。
- 平家委員 京都大学大学院医学研究科の発達小児科学の平家です。専門領域は小児科学ですが、その中でも血液、免疫系が専門領域です。リサーチ関係では一時、井上先生がご在籍なさっております東大の医科研にも 5 年ほど、肝細胞がんという形で研究に参加させていただいております。新任でございます、よろしくお願いいたします。
- 松井委員 名古屋大学大学院医学系研究科総合医学専攻の松井と申します。専門は生物統計学です。この 4 月から現場に加わりましたので、ご指導のほどよろしくお願いいたします。
- 松原委員 京都大学医学部附属病院薬剤部の松原と申します。併せて臨床研究総合センターの治験部門も担当しております。どうぞよろしくお願いいたします。
- 光石委員 東京大学の光石と申します。今回からということでよろしくお願いいたします。大学院工学系研究科で機械、メディカルデバイス、手術ロボットの開発をしております。よろしくお願いいたします。
- 山根委員 神戸大学大学院工学研究科の山根隆志と申します。人工心臓や人工腎臓の開発に従事しております。
- 事務局(江原) ありがとうございます。本日、3 名の先生がご欠席です。紹介いたします。資料 1 に委員名簿があります。委員名簿の真ん中あたりの河盛先生、その 4 つ下の佐田先生、下から 2 つ目の門田先生が本日ご欠席です。

### <議題 3 : 委員長・副委員長の選出>

- 事務局(江原) 次に議題で、委員長、副委員長の選任に移ります。設置規程の 5 条によると委員長は委員の互選、副委員長は委員長の指名となっております。まず、委員長の選任は互選ということですが、ご推薦等いかがでしょうか。
- 新井委員 筑波大学の永田恭介先生にお願いしたいと思います。
- 事務局(江原) ただいま永田先生を委員長にとのご発言がございましたが、いかがでしょうか。

(異議なし)

- 事務局(江原) ありがとうございます。それでは、永田先生に委員長をお願いいたしま

す。委員長席にご移動をよろしくお願いいたします。今後の議事進行のほど、よろしくお願いいたします。

○永田委員長 今、新井委員からご推薦がありました。実は第2期を2年間やりました。その様子が分かっているということが多分1つだと思います。それから、今、肩書きは学長ということなのですが、色々なところの情報が実は満遍なく入ってくる立場でもあり、そういう意味合いで新井委員が選んでくれたのかと思っております。

この委員会を2年間やってみて、良いところと悪いところがあります。良いことしか言わない人はきっと推薦されなくて、良いことと悪いことを言う人が、多分、近藤理事長のお眼鏡にかなっているのではないかと思います。後で具体的に、これからどのようなことをやっていくのかという話の中で、もう少し突っ込んだ話をさせていただこうと思います。

副委員長を私から指名させていただきますが、活発そうなので井上純一郎委員に副委員長をお願いしたいと思いますが、いかがですか。

(異議なし)

#### <議題4：科学委員会について>

○永田委員長 それでは、早速議事に入ります。まず、科学委員会とは一体何なのかというのを新任の半数の方々には色々分からないこと、あるいは思っていることでもあると思うので、科学委員会そのものについての意味を少し掘り下げて事務局から説明いたします。

○事務局(江原) 資料2を御覧ください。最初の4枚目まではPMDAのご紹介です。こちらについては、もう既にご存じかと思いますが、理事長のご挨拶にもありましたとおり、3大業務の件、セイフティ・トライアングル、2ページのスライド3、4ですが、PMDAの理念、最新の科学知識、専門知識と叡知、2ページの下4枚目のスライドですが、PMDAの3大業務を詳細に記載した部分です。こちらの業務について、科学的側面について実施しているということで、本委員会についても主にこの範囲の部分で、是非色々なご意見を頂戴できればと考えております。

科学委員会の紹介は、3ページのスライド5からです。PMDAを取り巻く状況ということで、ドラッグラグ、デバイスラグの解消が進んできたところですが、①～③にあるとおり、①は再生医療等の先端的科学分野、その研究内容を理解した審査・相談が求められている、②は先端的科学技術に対する確かな相談・助言が求められている、③は審査員の継続的な育成にはアカデミアとの密接な連携が必要ということで、4年前の平成24年5月に科学委員会を設置いたしました。こちらについては、PMDAの第3期中期計

画の中にも盛り込まれております。具体的には平成 26 年 4 月からの 5 年間の計画の中に科学委員会の位置付けが明確に記載されております。

その下のスライド 6 です。「PMDA の医療イノベーションへの対応」です。左側の基礎研究のシーズを実用化の右側に持っていくにあたっての、品質試験、非臨床試験、治験、その後、市販後までも含めて PMDA は薬事戦略相談から始まり市販後安全対策まで担当させていただいておりますが、この領域においてアカデミアとの連携ということで、この科学委員会を是非よろしくお願いいたします。

4 ページです。スライド 7 は、今までの事項をまとめたものです。「科学委員会とは」ということで、科学的側面を強調しております。2 つ目の○です。具体的役割として、先端科学技術応用製品に対する個別方針やガイドラインに関する提言の取りまとめ等を記載しております。個別品目の承認審査には関わりません。

その下の図です。科学委員会の位置付けは PMDA の外部組織ということでカラーの右側、PMDA は左側にあります。PMDA にアドバイザリーボードという形で、真ん中あたりに親委員会があります。親委員会に加えて必要に応じて専門部会○△□と記載しておりますが、テーマに応じて専門部会を設置して、専門部会の委員の選定をしたうえでそちらの検討、先ほど申し上げたガイダンス、取りまとめ等をお願いできたらというものです。

5 ページです。スライド 9 は、先ほど申し上げたことを簡単にまとめております。お願いできたらと考えているのは、①科学委員会において議論すべきトピックを絞り、そのトピックごとに専門部会を設置するということ、②専門部会で作成された議論の取りまとめ報告書(案)等についてご確認をお願いできたらということです。

その下の資料は少しロジ的な部分になりますが、メンバー構成の概要です。少し見にくいかと思いますが、第 2、3 期の部分、第 3 期を強調しております。第 2 期から継続していただいている先生方、第 3 期から新たに委員になっていただいた先生方、科学委員会の任期が 2 年まで、2 期までということになっておりますので、ちょうど 2 年ずつずれる形で新任の先生に入っていただき、参議院的な形のメンバー構成ということでお願いしております。

6 ページです。スライド 11 です。科学委員会専門部会は親委員会の下に組織することができる専門委員会です。こちらは、有識者からの推薦や科学委員会委員からの推薦、大学からの推薦等も頂いており、100 人程度の委員の先生方に専門部会委員として委嘱させていただき、その中からテーマに応じて最もふさわしい先生方をそれぞれ専門部会委員の先生としてお願い

いして、議論が終わり次第そのテーマの専門部会は終了するという形でこれまでも進めております。

その下のスライド「第3期科学委員会スケジュール(案)(イメージ)」です。日程については具体的に先生方に色々お願いして、また別途、説明申し上げますが、黄色の委員会の開催回数の部分をご覧ください。本日は5月27日ということで第1回の親委員会です。こちらにポツが3ありますが、一番下の検討テーマと進め方ということについてお願いできればと思います。

それを踏まえ、第2、3回ということで必要に応じて検討トピックに関するプレゼン、ディスカッションということで専門部会の設置の必要性をご検討いただき、五月雨式にでも仮にA、B、Cという専門部会という形で記載しておりますが、専門部会を立ち上げて必要に応じて議論を進めたいというものです。追加です。下に科学委員会シンポジウムという記載があります。実は8月4日に第1、2期の成果を踏まえ、科学委員会のこれまでの成果を発表、公表といたしますかシンポジウムという形でお伝えするという予定があります。こちらについても、また別途報告したいと思います。

7ページです。スライド13です。科学委員会のアウトプットのイメージです。後で第1、2期の報告の一覧については報告いたしますが、科学委員会のテーマとして議論したことについて、一番下の○ですが、承認審査基準や承認審査のガイドラインではなく、最先端の科学技術に関する内容を中心に各審査項目の科学的側面にあたっての留意事項という位置付けでお願いできたらというものです。

スライド14です。こちらはPMDAのホームページで公開しております取りまとめ報告書のページを写したものです。真ん中より少し下に議論の取りまとめ報告書とあり、第2期で公開された報告書ということで既に公表しております。こちらは英訳も公表しており、今2つほど英訳中のものもありますが、全て日英対訳でこのような形で公表しております。

8ページです。スライド15です。こちらは、前期の報告書作成の過程の中で論文にしてはどうかというご提案があり、専門部会の先生方全員のお名前で『Cancer Science』に投稿して掲載されたものです。スライド16です。これまでの議論の取りまとめ報告書①ですが、第1期は3つです。9ページです。スライド17です。これまでの議論の取りまとめ報告書②ですが、第2期については5つの取りまとめ報告書を作成していただきました。

科学委員会のこれまでの概要の説明は以上です。

○永田委員長 今の説明について、何かご質問等ございますか。具体的な議論をするテーマが見えてくると分かりやすくなるのかもかもしれません。今の事務局の説明は、2年間やってみてそのとおりののだと思うのですが、それだけではなか



なか分かりにくいということがあると思います。よろしいですか。

<議題5：検討テーマと今後の進め方について>

○永田委員長 それでは、先に進みます。今、申し上げましたが、先ほどの科学委員会による取りまとめのアウトプットのイメージというところをご覧になれば分かりますが、個別の何かについてどのように対処するのかということは、この委員会で対象としていることではないということ、まずお分かりいただけたと思います。

図13に「最先端の医療関連科学技術を洗い出し」というところがありますが、これは洗い出すだけでは駄目で最先端のこれからの医療に関する科学技術ということに関して、色々芽が出てきていて、そういうものが出てきたときに起こる科学的な問題、あるいは、その科学的な問題を取り巻く諸問題というものをあらかじめ考えておく必要があるということです。それが、ひいては先々の新しい評価システムにつながっていくことも当然あるということになります。分野は医薬品、医療機器、あるいはもう少しその外側まで含めたものも、この中で議論していこうということです。

もう一点ありましたが、極めて科学的な視点からという点は非常に重要で、科学的な視点からなので科学的に議論するわけですが、だからといって例えば科学的な視点から、政府や厚生労働省その他のところを動かせるぐらいの大きなテーマが出たら悪いと言っているわけではありません。ただし、あくまでも科学的に、こういう領域が今後こうだからという観点からであって、個々のプロダクトについてこうだからこういうことということではないわけです。何となく漠然としておりますが、そういうことです。

もう1つは、各審査部が直面している問題についても意見交換したいということです。これは一番目の前にあって、しかし、その判定をするわけではないのですが、そこで生じている問題を科学的にどういう観点から新たに取り組めば評価に資することができるのかということです。何度も言っていますが、個別の課題を解くというわけではなくて、それをどのように科学的に対応していったらいいのかということをお話ししましょうということです。

良い例が2つ出ていましたが、たくさん立派な報告書ができていて、その中で極めて面白かったのは Cancer Science に出ている英語のレポートです。それは3月まで座っていらっしゃった入村先生たちのグループの部会がまとめたものです。科学ジャーナルに投稿できるバリューのある内容であったということだと思います。この類いは多分、頂点になっているわけですが、極めて科学委員会らしい報告書の1例と考えることができます。もち

ろん、これだけではなくて先ほど申し上げましたが、政策にいつかはつながる提言としてまとめていくことも当然あり得るということです。

最後のところに書いてありますが薬事行政上の基準、審査のガイドラインをどうのこうの言うわけではなくて、科学的評価に当たっての留意点、留意事項に着目しようということです。時には当然ながら倫理的な側面が入ってきて、例えば、臨床データをどうするのだというときに科学的にも倫理的にも、ある操作を施してやるのが正しいのだということも出てくるわけですから、必ずしもそんなにカチカチに固まった内容ではないわけです。今のような観点から、ここでいくつかの過去を考えてみると、3~5 個ぐらいの部会で取り扱うトピックスが、妥当なサイズだと考えられるということです。

今、事務局から説明いただいたものを私なりに若干の私見も入れて説明したわけですが、いかがですか。何かご意見、ご質問はございますか。特に初めての委員の方々は、私もそうでしたが心髓をキャッチするのに時間がそれなりにかかりましたけれども、いかがでしょうか。

○矢守理事 事務局から、今の一連の流れを補足させていただきます。今、ご覧になっている 8 ページのスライド 16 のところに、まず、第 1 期のこれまでの議論の取りまとめ報告書がありまして、これは先ほどサラッと飛ばしてしまいましたけれども、この中のいくつか経緯をご紹介すると、例えば、スライド 16 の iPS 細胞等を基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あります。これはまさに iPS 細胞を基にした医療製品がやってくるという中で、審査するとき、一体どこに point to consider があるのだろうかということです。そのリスクという観点から見た場合に、色々なリスクを挙げ連ねた上で、一番問題になるのは何だろうかと考えたとき、それはやはり、tumorigenicity であろうということになりました。そこで、iPS 細胞製品における造腫瘍性というのをどのように考え、どのように評価するかということの問題にして、こういった分野でアクティブに研究されている先生方に集まっていただいて議論しました。

内容的には、造腫瘍性を評価する手法というのは、in vitro、in vivo でどういった方法があるのか、現在使えるような方法をレビューしてかつそれがどの程度のレベルであればいいのかを議論しました。例えば、がん遺伝子がいろいろ調べられ、ものすごくたくさんの遺伝子異常が報告されています。その中のどこまでを調べればいいのかということについては、委員の間でも相当な温度差はありました。これについては実に、7 回ほど議論して、その一致点を一応見出したところで、こういったことについて調べておけば現段階ではいいのではないかと、という報告をまとめたのが、

この最初のもので。つまり、革新的なものについては、審査部としては、評価の基準がないわけです。評価の基準がないものについては、トップランナーの先生方と一緒にその基準を考えていきたいというのが、この例に象徴的に示されています。

それから、その下の抗がん剤の非臨床薬理試験に関する取りまとめというのがあります。これは、審査部側でちょっと困った問題を解決した例です。それはどういうことかと言うと、例えば、肺がんで承認された薬が、臨床の現場で、これはどうも胃がんにも効きそうだということで、治験を行った結果、胃がんでの有効性が示されたという状況があったとします。そういう場合、製薬企業としては、新たにもう一度、効能追加で新たに申請をしなければいけません。その申請のときには、薬機法上は、その有効性を示すデータを必要とすることになっていて、それは非臨床データも必要だというように解釈されているわけです。そうすると、人の胃がんが効くということが、既に検証されていることについて、もう一回ヌードマウスを使った胃がんが効くというデータを出さなければいけないこととなります。PMDA 側は、法律に則って、それは必要だと言わざるを得ません。しかし、それは合理的な状況ではなく、審査部としては、上手に整理していただきたいということでした。科学委員会の意見として、これは必ずしも必要としないということの良いのではないかという議論をしていただいた結果がまとめられました。これを受けて、厚労省から通知として非臨床試験はこういった場合については、やらなくていいとは言いませんが、必ずしもなくていいというような解釈が成り立つような行政措置をしていただきました。これは、製薬業界と審査側の両方にとって非常により良い環境を作っていたいただいた例です。こういった 2 つの例が少しご参考になればと思います。

○永田委員長 ありがとうございます。今ので少し見えてきた部分もあるかと思います。よろしいですか。また、質問等は、実際のこれから我々がどんなことを議論しようかというそのトピックスを選んでいく際に、また色々ご説明したり、議論したりしていけばいいのかと思います。

そこで、何もないと話は進まないだろうということで、事務局で、資料 3 に、第 3 期科学委員会でこのようなことも可能性はあるのかなという、たたき台として例を出してくれています。これを必ずやれと言っているわけではなくて、こういう観点がある。ただ、私の目から見ると、この中でいくつかは、第 2 期までで積み残しというか、第 2 期でもどうするかというところで終わってしまったものもあって、そういう意味合いでは、やはり第 3 期には必ず取り上げたほうがいいのかと思われるものもあります。

また、これまでほとんど議論されてこなかったけれども、近い将来、その観点で考えておく必要が必ずあるというようなものも一応、入っております。

では、ごく簡単に事務局から、たたき台例について説明いただきます。

○事務局(江原) 資料3です。第2期の最後のほうに、第3期に向けてということで、先ほど委員長のご説明のとおり、何かたたき台でもない、ということで第2期の先生方、それから、PMDAの中からも何かテーマのたたき台というか、案となるようなものがあるかどうかということで意見を募りまして、それで作成したというものです。これに捉われるものではないというものです。

まず、一番上から3つと、最後に1つ、全部で4つの黒丸があります。大まかなトピックの例の記載があります。1つ目は、iPS細胞を使用した疾患モデリングの手法についてということで、iPS細胞から分化させた疾患モデル細胞を使用して、新薬の開発、薬理、それから安全性評価の手法ということについてまとめてはどうかというものです。

2つ目です。非臨床試験の電子データの活用についてということで、かなり専門的かと思えます。非臨床データを電子的に集積して、それを先進的手法によって解析することによって、今後の医薬品開発等の審査にも役に立つと考えられますが、そのデータ収集の留意点等をまとめて将来の審査、相談に役立てられないかというものです。

3つ目は、こちらは希少疾患、特にがんですが、薬効評価、比較試験が難しいというものについて、どういう評価手法が取り得るのかということ整理して、これらの分野の臨床開発に役立ててはどうかというものかと思えます。こちらの3つについては、第2期の最後の委員会で見ていただきまして、第3期の先生方の参考にしてはどうかというものです。

もう1つは、追加で、最後のものですが、AI関連の技術応用ということで、こちらはPMDAの中からも提案があり、追加ということで、最近の人工知能の発展に伴いまして、それをどのように活用するかについて、色々考えられるということで、その関連技術の研究開発の現状と、その限界を調査、分析して、AI関連技術の医療応用を促進するための課題を、科学的見地より議論してはどうかという提案です。資料について簡単ではありますが、以上です。

○永田委員長 先ほど申し上げたように、必ずしもこれに縛られることはありませんが、極めて良い参考事例のいくつかではあると思えます。

私からも少し追加です。たたき台ですが、例えば、一番始めのiPSの問題は、その文章の最後のところに「iPS細胞を用いた新薬開発の現状や問題点等」と書いてありますが、当然ながら、iPS細胞を用いたというところを、

他のものを置き換えても、新薬開発の現状や問題点というのは、当然議論すべき問題です。AMED は頑張ってくれていますがけれども、末松先生ですら色々問題を今、感じていらっしゃる最中ではないでしょうか。今のバージョンの AMED が、さらにもっと良くなるように一体どうしたらいいのかを考えられていると思います。そのためには、iPS は 1 つのキーワードとして入っているわけですが、こういう議論をする際は、現状の新薬開発の問題点というものも当然洗い出していくということになるのだと思います。1 番目に関して言えば、もう少し大きい形で、創薬の、あるいは新薬開発の現状を理解した上で、問題点を解決するその方策を科学的に考えていくということになります。その中で、iPS は非常にいい具体的な例でしょうし、その他にも先生方からこういう事例についてもどうだろうということもウェルカムです。

それから 3 番目のところで、希少疾患の問題は、第 2 期、多分第 1 期の頃から大問題の 1 つです。ここに希少がんが出てきますが、希少がんにかかわらず、患者さんが少ない場合、思わぬほど色々な科学的な問題や、もっと言えば薬事経済的な問題まで出てきてしまって、一筋縄ではいかない部分もあるわけです。例えば、薬効評価というのは、希少疾患の場合は非常に難しい問題でもあるし、一方、研究開発においては、非常に割り切って言ってしまうと、儲けの少ない創薬になるという場合もあり、お金をかけないで開発ができる方法が、例えばクリアになれば、色々なところが参入する可能性もあるだろうという具合です。評価をすることは、創薬そのものに密接に結び付いていて、それを経済的観点ではなくて、科学的な観点からどうしたらそういう問題を乗り越えていけるのかといったことを考えていこうということが、この希少疾患の議題には含まれているということです。より人々の幸福に資するために、資本主義社会ではなかなか手が届かない問題にも、いかにして科学的に改良を加えればできるのかといった問題も入っているということです。

非臨床申請電子データに関する議題に関しては、第 2 期でも議論をしていて、一部取りまとめをしているところです。重要な疾患に対して、あるいはそれに対しての新しい薬、医療機器開発の中で、非臨床申請データの活用というのは、もっとアクティブでいいのではないかとこの観点でここにまとめられております。

ただし、この問題はもう少し先々まで考えると、最後の 4 番目のほうに、一部、私は含まれているという認識を持っています。ここは AI ということで出てきていますが、AI、ビッグデータ、メタデータなどを含めて、そういう一見、直接薬や医療機器に関係ないようなデータが今、あふれかえっ

て世界中を飛び回っている現状の中から、思わぬ宝がその中に、実際にはもうあると考えています。そういうものをいかに創薬などに結び付けていくのかといったことは、非臨床申請データの活用という観点とも似ていて、データ活用という観点では同じところに落ちるわけです。ただ、アノテーションされていないメタデータを本当に使っていくのにどうしたらいいのかというのは、大変重要な問題です。

特に、4番目の観点というのは、現在の一番新しい科学技術基本計画の中で、「Society5.0」と呼ばれている言い方で、我々が次の段階の社会構造の中に入っていくということを政府としても、我が国としても進めていこうという中で、その中の抜粋をご覧いただければ当然出てきますが、メタデータ、ビッグデータを、あるいはそういうものを活用しつつ、AIをどうやって作っていくのかという問題が議論されています。各省庁がそういうものを指針にしながら、経産省は経産省なりに、文科省は文科省なりに、多分、厚労省は厚労省なりに、それぞれ当然ながら対応していきますし、その路線で物を考えるというようになっているわけです。科学技術基本計画ですから、研究費等にも影響はあって、そういう分野に投資をしていくという考え方が、そこの中にあるのだということは間違いないわけです。だとすると、PMDAあるいは我々の医薬品・医療機器の評価などに関しても、当然少し先取りして、数年先に起こり得ることに備えなければいけません。どのようにしてメタデータを利用するのか、あるいは利用するためにはどのようなことがあるのか、一体どのようなところからメタデータが出てくるのだろうか、出たものを今度は非臨床申請データのところでもそうなのですが、どう解析して、札を付けて、アノテーションをして、それが多くの人々の創薬や医療機器の開発に結び付けられるようなものとして分析に耐え得るものに変えていけるか、ということなどが問題になっていくわけです。

最後の問題は、当然、今の時代であれば、勘案しなければいけないポイントですが、極めて現実的にも重要な課題だと私は思っております。そういうようなものがあって、どれを選ぶということではなく、ここにはないものも含めて、先生方からのご意見を頂ければと思います。お考えになる時間を稼ぐために今、説明をさせていただいたわけですが、先生方から何かあれば、どうぞおっしゃっていただければと思います。

○山根委員 確認させていただきます。医療機器に関わるトピックスが、機器を含むか含まないかという観点で、2番目のトピックスです。今のお話で非臨床申請電子データというのは、医薬品ばかりではなく、機器もと言われたような気がしたのですが、そこはどのようなのでしょうか。

- 永田委員長 それは私らが考えることなので、必要があればそういうこともあるだろうということです。ここは凶々しいですが、そういう意味合いでは、最先端を考える場所なので、我々が非臨床データの中に薬は当然すぐ入りやすいけれども、では、こういうタイプの医療機器だったら入るのではないかとか、こういう場合はというのは、それは我々が考えればいいことだと思います。
- 山根委員 3番目のトピックスもそうなのですが、この場合は機器を含むか含まないかでだいぶ違ってくるので、これはもしかして、もとの意図とは希少疾患用医薬品における臨床評価の在り方についてなのではないか、と思ったのですが機器を入れてよろしいのでしょうか。
- 永田委員長 ここについては、もともとは本当に医薬品ということだったと思います。ただ、議論の中で、それはこれから専門部会の設置を仮にした場合には、その専門部会の中で何を対象にするかというのはお考えいただければいいのです。今、私たちが想定していて分かりやすいものは、例えば、薬です。もっと詰めて考えたときに、あと3年後にどうなっているか私は分からないと思います。僅か10年前にはスマートフォンはなかったわけですし、22年前には携帯電話は、今の携帯のような物はなかったわけで、世の中の技術開発はどんどん進んでいるので、機械というのをどうのように定義するかというのは、私はまた変わっていく可能性もあると思います。ですから、今、ここには薬となっていますが、もしこういう観点でやるとすれば、その専門部会であたまからもう一度考え直していただいて、希少疾患、疾病に対する医薬品という範疇で本当に話をしていくか、あるいはもっと広げて考えるか、それは、個々の専門部会の、あるいは親委員会の認識で良いのだと思います。
- 後藤委員 若干感想のようなものですが、1番目のiPSはNEDOで心筋細胞による心毒性、正常細胞をやったあのような流れの延長線上でアドメットを見るといふのと、あと、疾患iPSを使ってそのフェノタイプを使った薬効薬理試験、プレクリニカルADという2つの観点があると思います。多分、どういうディスカッションなのかと考えたら、in vitroのそういうものでもって、推定薬効要領をどう考えるかとか、そういうことなのかなと思ったのですが、それで間違いないでしょうか。
- 永田委員長 過去のものはどちらのものですか。
- 矢守理事 これは前期の議論の中で提案されてきた話ですが、iPSの一つの活用法は、今おっしゃったとおり、リスク評価に使うことです。例えば、心筋細胞を心臓モデルと考えてリスク評価をする場合です。一方で、薬効評価のためのモデル系としてある機能を持った正常細胞を使うという両方があると思

います。後者のほうについて考えてはどうかというのが、これが前期の科学委員会の委員のご意見でした。

○後藤委員 あとは、rare disease のほうは、切り口、コスト・プロフィットのお話とか、それから、クリニカルデザインをどうするかとか、色々な切り口があると思いますが、例えば、約款の話とか、R&D インベストメントを国がどう見るかとか、そういうところまで含めた議論を考えておられますか。

○永田委員長 科学的な検討の結果、どうしてもそういう R&D が促進されるべきであるという結論になれば、そういう結論でいいと思います。要するに、既存の今までの体験の中で、とてもクリアできないというのであれば、最終提言のたぶんまとめの最後の章にそういう部分が出てきてもおかしくはないと思います。

○後藤委員 あと、最後の AI の医療応用のところに、医療機器とかそういうのがあるのですが、例えばそうなるかどうか分かりませんが、診断のところにいったときの考え方で、例えば、最終的に責任のあり方をどうするか、そういう議論も含まれるということによろしいですか。

○永田委員長 まったくそのとおりで、科学的な観点からの責任もありますし、社会的な責任もあるわけです。そういうメタで入ってきたデータが科学的にどれだけ本当に信頼性を持って使えるのかということと同等に倫理的な問題も入っているということだと思います。

私としては最後のところはやりたいと思っています。時代が変わったのですね。工学系の先生でしたらすごくお分かりになる方もいらっしゃるかもしれませんが、自動車会社が今、何をやっているかということですが、当然、自動車会社は色々な考え方でやっています。メタデータという意味では、ワイパーに発信器を取り付けた自動車というのは、ユーザーの許可を得て走っているわけですが、そうするとワイパーが動いた瞬間に雨が降っていることが分かるわけです。そのデータ解析から大体 100 メートル先の天気予報が分かるようになります。つまり、そういう全然関係ないようなデータが、いきなり天気予報につながっていきなりということなんです。これが、ビッグデータやメタデータです。同様なことを例えれば、薬を飲んでいる方が車を運転している最中に、例えば色んな装着型を、今、デバイスは寸前まできているものはたくさんありますから、装着すると、全然見たことがないピークを拾うことができる可能性があるわけです。それはなぜかというのは解析しなければいけないとしても、統計学的には、何か変だ。あるいは特異点が生まれている。後で調べてみると、実は、こうだったというのは大いにありうるわけです。ですから、このやり方というのは、わけがわからないものの中から我々にとって薬の薬効の評価や、あるいは



新しい創薬や新しい機械を開発することにつながる可能性があります。先ほど申し上げたように世の中はどんどん進んでいて、この業界だけがそこから取り残されてはいけないわけですから、我々としては、そういうところまで踏み込んで良いだろうと思います。もう少し言えば、今、アメリカで、ナチュラルサイエンスにおいて卒業生で一番人気があるのは何だというと、数学です。今は、理学部、数学科を卒業した人が、一番初任給が高いのです。でも、日本は全然そうではないですね。完全に遅れている。いろいろな業界で、ピュアサイエンスではないのですが、数学や統計学があって、大学を卒業して、あるいは大学院を修了した人たちの初任給に直結しているということです。日本が全然まだそこまでいっていない。こういう医薬品や医療機器開発の中で、mathematician がですね、あるいは数学をやった人が、なぜ活躍していないのだろうと私はと思いますが、そういう事情もあるということです。世の中はそういう具合にどんどん動いているという中から、わりとそういう意味では、我々ほとんどが素人、いや、そうではないですよ、先ほどお聞きしていたら、医療統計をやっている先生方、専門の先生方もいらっしゃいますので、もっと先に我々がつかまなければいけないことというのは、きっとあるだろうと思います。キーワードとして AI とか、メタデータと言っていますが、ひょっとしたらもっと違うかもしれません。インフォメーションテクノロジーがもっと創薬の近いところに来なければ本当はいけないのだけれども、色々な科学的な問題点があったり、社会的な問題点があったり、もちろん進んでいる部分は進んでいると思います。だけれども、革新的な、それは、まさに創薬に関わっているという結論は、とてもまだ出てくる問題ではないので、是非とも考えてみたいのです。

○大江委員 医療情報をやっている立場から、今のお話に関連して少しコメントをさせていただきます。AI 関連の技術はご存じのように、つい最近、将棋で勝ったかと思うと、もうあっという間に 10 年先だろうと言われていたのですが、囲碁でもコンピューターが勝つような状況が生まれてきているということで、予想以上に急速に進歩しているという領域だと思います。

特に、最近、これだけが技術ではないですけども、ディープラーニングと言われるような技術を使って画像も認識するということは、もう従来の手法よりも、はるかに性能が良くなっているのです。そういう技術がどんどん医療の現場に、今、入ろうとして研究開発されているわけですが、やはり研究開発している企業や、あるいは研究者が最後のところで尻込みというか、ちょっと躊躇するのは、やはり先ほどおっしゃっていたように、直接診断してしまうと、実は診断できる能力があっても、誰の責任になる

かといったような問題が起こるので、常にその診断補助システムとか、診断支援システムといったような形で、やや後ろに退いてシステムが動いているわけです。だけれども、実際にはそれを使って、医療者、医師は、その意思決定を変えていく状況にありますので、そのあたりのあるべき姿がどこに向かうかというのは、今の段階で早く議論しておかないといけないテーマだろうと思います。

その中で、意外に語られないのですが、一番重要な2つのポイントが、私はあると思っています。1つは、この技術は、作ったものがその作った状態のまま性能を維持するのではなくて、リアルタイムでソフトウェアが自分自身を改良していく機能を持って、性能がどんどん良くなっていくという点だと思います。これが良くなればいいのですが、場合によっては、ある特殊な領域によっては性能がもしかすると劣化するようなこともあるのかもしれないというわけです。常に変化、可塑性というか、変化して進歩していく能力を持ったソフトウェアをどう評価するかといったようなことは、極めて重要な課題だろうと思っています。

もう1つは、多くのこういうシステムは既にクラウド上にある巨大な別の外部情報リソースを使って性能を発揮していますので、外部の情報リソースがリアルタイムで変化していくことに応じて、性能や機能が変化していく、あるいは挙動が変化していくということが起こるといって、こういう点が従来の医療機器、診断機器と、かなり違う性質を持っている点ではないかと思っています。そのあたりも取り上げる必要があるだろうと思っています。

このたたき台の文面の最後の2行目のところに、「限界を調査」とありますが、もちろん限界も調査は必要ですが、想定外の発展性も示うことについても、できる限り幅広く、今のうちに調査していくことが必要ではないかと思っています。それによって、規制ではなくて、そういう研究開発が、我が国でも急速に進むように、その医療現場での応用も含めて促進するにはどうしたらいいかと、かなり急ぐ形で前向きに検討するということが必要な時期にきているのかと思います。長くなりまして、失礼しました。

○永田委員長 ここに書いてあるのは本当のたたき台なので、専門部会が終えたところで、この数行の文章も引いたり足したりしていただきたいと思っています。今のご指摘の「限界」だけでなく、「展望」についても。本当に恐ろしいほど AI、データの大きさそのものが、毎日動いている最中で、本当に私たちは有用なものを失っている可能性もあるし、逆に使い方を間違えると、なんでそちらの方へいってしまうのだろうというようなことすら起きかねないということを、ご指摘いただいたのだと思います。その他にいかがでしょうか。

○今泉委員 質問です。第1期と第2期のテーマの大きさで、特に第2期は比較的絞られたものがあるような気がしています。そのあたりは考え方としてはどのように考えればいいのでしょうか。新しい先生方は、みんな同じような疑問があるのではないかと思います。

○矢守理事 事務局側からお答えします。これには端折った経緯があります。第1期と第2期では専門部会の運営の仕方が実は違っていました。第1期のときには、親委員会の下にあらかじめ4つの分野、すなわち、医薬品、バイオ、医療機器ならびに細胞組織加工製品の専門部会を先に用意して、何らかのテーマをそこで扱っていただくということでした。最初から扱う範囲が広い形で、第1期は専門部会を置きました。ところが、それだとテーマが大きすぎてしまって、最初に集まっていたメンバーの先生方の専門領域と、議論しようとするテーマとが必ずしも効率良く噛み合わないというようなことがありました。

そこで第2期はその経験を踏まえて、今度はテーマオリエンテッドに、親委員会でまずテーマを出してもらって、そのテーマにふさわしいディスカスタントをメンバーとして委嘱するという形で行いました。そのため、今印象を持たれたような結果になっていると思います。

○西川委員 新米なので何か情報はないかと思って調べたら、希少がんに関することがありました。昨年8月に厚生労働省から検討会の報告書が出ています。結構包括的な議論がなされて、最後の提言として「国立がん研究センターにおいてワーキンググループを設置するのが望ましい」ということが書いてありました。そのあたりとの棲み分けはどのように考えたらいいかを教えてください。

○永田委員長 棲み分けというか、ここはある意味で定義してあるのは、この科学委員会というのは政策提言をしなければいけないわけでもないし、あくまでも科学者の集団としての観点からものを言うことになっています。その際に、ただこの持っている特性として評価とか、エバリュエーションというようなものに必ずつながるような観点は必要だということだけなのです。ですから、我々は我々で独自の観点から提言をしていても良いと思います。その際に、既存の提言を読んでこれから専門部会等でやるとしたら、残っている問題点があればそれも重要です。それから、根本的に違うのであれば、それは違っても構わない。そういう立場だと思います。

今泉委員がおっしゃったことですけれども、第2期に加わっていて、逆に言うとそれでフラストレーションがたまる部分がありました。ものすごく的がはまってしまったようなものと比較的大きなものがあつたと思います。今回はものすごくスポットに的を射ているというものと、どうやって話し

たらいいか分からないようなものまで用意をしてみたというのが本音です。多くの場合、科学者の皆さんなので、やはりフリーになるべく色々なことを話していけるように作っていきながら、まとめるときには焦点を付けてというのが良いと思います。しかし、全部それでやると、何が何だか分からない部分もあるので、色々取り混ぜたトピックスで 4 つの例を書きました。

何度も申しますが、ここに書いてあるものだけをやろうと言っているわけではないので、これを拡大解釈し、これにリンクしているものがあれば、そちらを主体にして、こちらをその中に紛れ込ませるといようなこともあるだろうと思います。

○荒川委員 前回の科学委員会の中でも少し話題になったのですが、色々な疾患領域ごとに見ていくと、今は抗がん剤に関してもかなりの勢いで色々なものが出てきています。だんだん希少がんという概念も出てきています。次に大きな領域というのは、難病とか神経疾患で困っていることは何かというと、多因子疾患の治療薬開発をどうしていったらいいか。それから先制医療とか、発症する前からどんどん治療を開始しないと遅いのではないかという考え方。実は、そこに対しての評価方法、あるいはそれに対するこういったレギュラトリーサイエンス上の考え方というのは、なかなかうまく議論されていない。

アメリカでは官民一体となって色々な枠組みで、例えばアルツハイマー病のコンソーシアムとか色々なものを作って、そこに関しての考え方、あるいはそれを促進するための枠組みが進んでいます。日本は、そういうところがなかなか進んでいなくて、今の承認基準だと、やはり発症前後での臨床評価になり、臨床上的有用性というのは、確かに保険医療上も非常に重要なのですが、バイオマーカーを活用した医薬品開発とか、より時代のニーズに合って、後からまたその辺の検証をしていくというやり方も必要かと思っています。

そういった進行性の疾患に対する考え方を整理することと、もう 1 つは多くの場合多因子疾患という考え方、リスクファクターとか色々なものが遺伝子ゲノム解析等で分かってきています。それらでは、どうやって臨床開発していくのだというところが大きなデッドロックになっているような気がするのです。そういうところは PMDA だけで考えることではないのかもしれませんが、将来をにらんで常に臨床開発という段階で、薬事戦略相談という形で来たときに、現在の考え方を当てはめると、非常にハードルが高くなってしまいます。そういうことを議論していく場があってもいいのではないかとはい常々思っています。非常に漠然とした話で申し訳あ

りません。

○永田委員長 先制医療と言っているけれども、先制保健みたいな部分しかなくて、本当に先制医療なのだろうか。そこら中で、タイトルに先制医療というのが出てくるのですけれども、本当なのかというのは確かに事実だと思います。比較的特定の薬について考えてみましょうというのは楽なのですが、ここにはそういうミッションはないのです。そこが若干違うので戸惑いがあるのかもしれませんが。先ほどの AI の例は非常に良くて、ご説明いただいた内容は分かりやすかったと思います。まだ、ものすごく動いているけれども、本当の現場で直面して、それを活用しているかということそうではないような分野というのは、非常にぴったりと科学委員会には合っていると思います。もちろん、その他のご提案でも何でも結構です。

○光石委員 意見というよりは質問になります。大江先生にお伺いします。ビッグデータみたいなものでエビデンスを残さなければいけないと思うのです。そういうときに、どんどん変わるような世の中のデータみたいなものを、エビデンスで残す方法があるのか、ないのかというのが1つです。

それから、将棋や囲碁だと、たまには負けてもいいのですけれども、医療機器でたまに事故が起こってもいいというわけにはいきません。もちろん車の自動運転などもできているわけです。今ではドライバーはいると思うのですけれども、アメリカでもそこが認可されていないのかもしれないのですけれども、そのあたりの信頼性というのはどういう議論で今のところいっているのかを教えてください。

○大江委員 まさにここで専門部会を作って議論していただかないといけないようなご質問だと思います。どんどん変化している外部のリソースを使って、どのような判断をしていけるかという、その途中の状態の記録をどう残していくかというのはほとんど議論されていないと思います。そういうことを、もっと議論していく場が必要だろうと感じています。

2番目の問題は、現状ではストレートにそのシステムが出したものを使って診断するとか、治療するとかではなくて、先ほどお話をしたように、それを参考にして、最終的には他の情報と色々総合して、その医療者、医師が意思決定をするという形の使い方に、当分はもちろんなると思います。ただ、それによって一番起こり得ることというのは、医師はそういう情報を参考にして、総合的に意思決定したと思い込んでいるけれども、実はほぼシステムの出力に頼ってしまっているという状況が生まれますので、それをどのように取り扱うのか、ということが非常に大きな課題なのだろうと思います。

ワトソンというシステムがありますけれども、アメリカの FDA では直接そ

れが出した結果を採用するという事は認めていなくて、あくまで補助情報としてしか使わない方式になっていると聞いています。ただ、先進国以外の国では、そのシステムの出力をそのまま意思決定に使っても、別に問題がないというようにして扱われている国もあるらしいです。そのあたりはこれから日本でも非常に重要な議論になるのだらうと思います。お答えになっているかどうか。

○光石委員 ありがとうございます。

○永田委員長 まさにそういうことであって、専門部会でそういう話をしていただきたい。誰が権威かではなくて、私たちはどう考えるかということが、もう一度色々なところで俎上に上るというわけです。その大元を作りましょうということ。言い忘れましたが、色々な専門部会ができるでしょう。その専門部会で必要な方がいれば外部からお呼びして、ヒアリング等もしていただくことに当然なります。今のを聞いていると、例えば自動運転だったらどうですかという話を、それこそ自動車会社の人に来ていただいて、事故を起こしたら死んでしまうよというところの責任はこのようにして回避するし、どこまでそれを任せていいのかというのは、例えば違う分野のことを聞いて参考にしてもいいわけです。

ですから、ここで何もそんなに狭いことを考えないで、本当にここで新たな観点を作り出して、今後の医療行政等でそこはやっぱり見なければいけないねというように、目を開かせるぐらいのことでいいと思います。今のは専門部会の議論でしたね。大変結構だと思います。そういうことをお互いに議論していく場だと思います。

○山根委員 第2期の最後のところで話をしたことにつながるのですが、AIの話というのは、データベースがどれぐらいしっかりしているかというところが一番大事な議論になりそうな気がするのです。第2期の終わりで話をしたときには、ちゃんとしたデータベースがないねと。特に私ども医療機器の分野はデータベースが全然そろってなくて、人工関節のデータベースはたくさんあります。たくさんあるけれども、一つ一つではしょうがないデータばかりだということです。人工心臓は、やっとちゃんとしたものを作り始めて、TAVIを作り始めて、データベースが整備され始めたばかりであって、利用できるほどのデータベースが存在しないところが問題なのです。PMDA にお願ひしますとは言えないので、各学会にお願ひしましょうかという話にまでいったけれども、お願ひする権限はない。それでは、データベースをどう整備したらいいのだらうかというところで、報告書の筆が鈍った経緯があると思います。

そういうところを踏まえて、データベースをどう整備すべきという議論

がまずあって、データベースこそが科学であるという立場もあると思いますので、その辺も踏まえてご議論いただければと思います。

○永田委員長 専門部会でそういう話が科学的にデータをそろえなければいけないのだという裏付けが書けて、そうすれば最終的に提言としてデータベースづくりも大切だというまとめになると思うのです。ここには政治的権限は何もないのですけれども、科学者としての専権性は必要なので、我々としてはどんどん言いたいことを言っていきたいと思います。誰かに抑えられるとすれば、明らかに現在の法律で困るという問題があったとしても、法律を変えればいいわけです。科学的に可能なことを私たちが指摘できればいいということだと思います。

それから、データというのは逆に言うと完成する日もなくて、どんどん勝手にグローしていきます。私は大学をやっているから、大学の全ての情報を一元化しようというのは、即座に諦めました。それは、情報がどんどん育つからです。そんなものを待っていて、次のことをやっているのは、とてもではないことで、今風には合わないです。できたところから、何を開発していくかということで、実はそのデータを作ること自体の作り方で変わることが時々出るので、何か全部そろえて、全部いきましょうというのは、ITの世界では難しいということです。そういうことも含めて議論していただければいいと思います。何かを、こうでなければいけないという話を科学委員会で始めたら、科学委員会の価値はないと思います。

私自身としては、皆さんのご議論が、最後の4番目については、ここに書いてあるとおりでなくても、この方面から我々としては、アプローチをしておくべきであるというような応援というように今は受け取っています。比較的最初のほうでわりと分かりがよかった iPS 問題のところで、新薬開発の現状や問題点ということを含めるという議論もすごく分かりやすいと思います。ですから、皆さんからあまりご意見が出てきませんでした。逆に新薬開発の現状や問題点の中で、この iPS の問題の他にどんなことがあるのかというのはどうでしょうか。もちろん、ここで先生方から頂いた意見を事務局と相談をして、トピックスをまとめていきます。そのときに、iPS でくくってしまうか、もっといろいろなご議論が出たので、もう少し大きな観点からポイント1 iPS、ポイント2 何々みたいなことだって可能なわけですから、どんなご意見でも伺えればと思います。

分かりやすすぎるために、だいたいこんなものかなとなっているのではないかという危惧を申し上げました。そういう観点からいうと、他についてもそうかもしれません。ここに全然載っていないことでも結構です。こういう問題点を話し合ったらどうだと。

○大江委員 2 つ目の非臨床申請電子データの活用についてということで、ちょっと専門外の部分があるので教えていただけたらと思います。この前半の部分は、臨床試験データについては電子的に集積されて活用されている、というのは私もよく知っております。その後の、非臨床試験データというのは、今はどんな状況にあって、これをどのようにすることで、どんなことが生まれてくると期待されている状況なのかを教えていただけるとイメージが湧きます。

○鹿野審議役 PMDA からご説明させていただきます。大江先生にご指摘いただきましたように、臨床試験のデータというのは、米国 FDA が 10 年以上前から、治験のデータの電子データ提出を求めてきた経緯があって、データの活用がかなり進んでいます。PMDA も今年の 10 月から臨床試験の個別症例データを電子的に求めて、それを今後の医薬品の適正使用であるとか安全対策、あるいは開発にも還元する方向で活用することを予定しています。

一方、その次のステップとして、非臨床試験の動物試験のデータについても、電子的なデータを求めていくことを想定しています。臨床データに比べると、どのようにそのデータを活用していくのがよいのかという視点がまだ少し定まっていらないのかと考えています。例えば、よりヒトの反応に近いような動物モデルを選ぶ、動物を選択したり、試験法を選んだりとか、そのような比較的狭いところでの応用であるとか、あるいはヒトの臨床試験に移行するときの用法・用量の予測といったところでは現在も使われているようなのですが、この辺の分野は非常に進展が早いので、動物データを使って、具体的にどのように開発であるとか、今後の安全対策であるとか、そういうところに活かしていくのがよいかというのを、ご専門の先生方のご意見も頂きながら進めていただければというのが、このご提案の最初のスタートです。PMDA は、すべての医薬品のデータが集積するという立場にありますので、そのデータをできる限り活用し、世の中にフィードバックしていければということを考えています。

○大江委員 ありがとうございます。

○平家委員 ご提案いただいている 4 つのテーマに関して、私は今泉先生と同じように第 1 期は総論的、第 2 期はどちらかというと個別的なものが多い。第 3 期は、iPS に関しては非常に具体的なイメージがわくのですが、残りの 3 つに関しては総論的なハイブリットかなという形で、自分なりに思っていました。委員長のご説明によって、やはり 1 番も iPS という領域、サイドに特化したものではなく、バックグラウンドとして、より成熟した医療機器開発、審査に向けての iPS が 1 つのキーワードとして書いてあるのだということは、よく理解できました。そうすると、やはり iPS を使用したという



ようなことが出てきますと、少しそこに引っ張られてしまうので、例えば非臨床における疾患モデルの使用について中ポツとして iPS を用いた場合など、いろいろな形で広げたほうがいいかなと思います。

実際に一番の問題は、例えば今ご説明がありましたように、いわゆる iPS を使った形での動物モデルという新しい展開もありますし、いろいろな形のやり方もあると思います。AI に関しても、iPS のいろいろな薬効に対する評価で、個別の問題をどう客観的に評価するかですが、AI 的な解析も含めたようなこともあります。

今日出されている 4 つのテーマは、結構相互に関連するものもあるのではないかと考えていますので、そのような観点で議論していくことが必要ではないかという印象を受けました。提案というよりも、個人的な見解で申し訳ありません。

○永田委員長 まだ少し時間がありますが、いかがですか。

○西川委員 何を言ってもいいということなので、もう少し大雑把な話を申し上げます。最近の動物愛護の動き等で、動物実験がやりにくくなるというような傾向があります。例えば、構造活性相関で遺伝毒性をある程度判断できることになっている現状があります。それから、vivo から vitro に試験を代替していくというような考えも必要かと思っておりますので、可能であればそういう点も考慮していただければと思います。

○永田委員長 その他、いかがでしょうか。

○新井委員 iPS のことですが、結構大まかなトピックというよりは、かなり具体的に なってしまっていると思います。もう少し細胞を使ったものでは、他にも脂肪細胞や、それこそ最近では豚の膵臓細胞をカプセルに入れればそれも使えとか、広い意味で細胞を用いた治療はもっと問題点は大きくなっていると思うので、iPS に限らず細胞を用いた治療、あるいは疾患モデリング というように広げてもいいかなと思えました。

○井上副委員長 今の新井先生のお話は、私もそう思います。このテーマに関しては、iPS に限らなくてもいいのではないかと思います。もう 1 つ、私のような基礎的な研究者が創薬をやるときに、色々な問題点があります。というのは、知らない世界がたくさんあるのですね。例えば、先ほども言われましたが、AMED など創薬支援の戦略室などがあってサポートしてくださるのですが、もっと初めから色々なことを知っていると、基礎的な実験段階からもっと色々な方向性を決められたのにみたいなことが結構ありました。古くから言われていることですが、基礎研究と創薬の間の溝は、まだ依然としてずっとあります。そういうものも、この話題の中に含めてもいいのかなと思えました。

○永田委員長 実は、最後のところの現状や問題点というのは、そういうものを含んでいて、早速、末松先生をお呼びしようかなと思っています。要は、今ベストだと思っていることにもまだまだ問題点はあるということ認識しない限り進歩がありません。今言ったように、たまたま iPS について分かりやすく書いてありますが、脱分化、再分化もあるわけです。iPS に限らず実はゲノムの因子中で起こる細胞の変化も当然あるので、もう少し広げて考えてもいいと思います。

次回までには皆さんから頂いたキーワードやご意見をもう一度練り直して、いくつかのトピックに仕上げ直して、またお諮りをしようとは思っています。この親委員会の役目はこういう大枠を決めることと、それから専門部会を設置することです。その専門部会には、先生方にはお好みのところに 2 つぐらいずつ入っていただくという感じになると思います。素人だとか、素人でないということはあまり関係なくて、先ほど言いましたように、それなりにここにいらっしゃる方々のご経験は、どの専門部会でも役に立つと思います。それでも、好き嫌いはあると思うので、設定したトピックからお選び頂いて、そういう専門部会でもご意見をリードして頂くというか、中心になってやっていただきたい。親委員会では、そういうものを集積して、どこまでどのように話が進んでいるのか、こういう観点も付け加えて話したらいかがでしょうかというようなことを、大所高所から議論するという感じになっています。

今日は第 1 回目ですので、色々なご意見をただ平場で聞いていますが、これが集積していくと、先生方は実際の専門部会にお出になりますから、その中で出てきている議論の内容のご報告もあるでしょうし、ある意味の誘導についても親委員会で議論することもあるかと思っています。この親委員会の意味と、専門部会との関係はそういう関係にあるとご理解を頂ければと思います。

○上田委員 今日お聞きしていて、非常に良いテーマですし、どれも今、日本が取り組まなくてはならない問題だと思います。私は医療の現場にいますが、例えば希少疾患にしろ、先ほどのビッグデータにしろ、色々なことを推進していくのに、今の医療体制がバリアになってはいないかという疑問があります。例えば、ビッグデータを出すのに、先ほどもお話があったように、試料マテリアルは本当に期待されているものか。そういう試料を収集できる医療体制になっているのかという問題があります。希少疾患は平家委員のところの小児領域やいろいろな希少疾患があります。将来的には、きちんとした薬を創っていかうと思うと、ほとんどの創薬は希少疾患的見地から開発されていくのが、だんだん明確になってきています。そうすると、

そのときに日本での希少疾患を診るのに、日本の医療体制はそういうマテリアルがきちんと集中と選択ができているのかどうかというような面を考慮したり、方策を提言できることも重要です。もちろんこちらの王道から入っていくのと、今の医療体制がそのバリアになっているのではないかというようなところも、専門部会では正面から踏み入れていただくことが、親委員会としての役目であると思います。やはり、PMDA 的な考え方と、医療現場がいつも離れているとか、基礎と臨床が乖離しているというところのバリアをどうやって解決できるかというような提言が、少しでもどのテーマからも出されることを期待したいと思います。

○永田委員長 要するに、科学的に創薬、あるいはデータ解析をするために、こういう部分との協力が必要だ。あるいは、こういう新しいことをやらないとデータも取れない。これは、実はこういうバリアがあるからと、前後は変わると思うのですね。書きぶりは科学委員会らしく書いて、最後に政策的な問題、あるいは構造的な問題にも触れることになると思うのですね。

今日は、良い感じで、好きなようにしゃべっていただくようにセットされているので、皆様のご意見を頂いて、こちらではメモしています。4つの文章を一部組み換えて、もう少し分かりやすく、ひょっとしたら3つ、5つになるかもしれませんが、次回にはご提案をさせていただきたいと思います。その中でも、いくつか確信的にどうもこういうことは必要だなという議論は、今日もいくつかはあったと思っています。そういうものについては、事務局とも相談をしながら、PMDA 側から、今までこういうことをやってきたし、こういう問題点があるというようなプレゼンや、外部の方々でもし必要があれば呼ぶことも考えます。次回ご承認を頂ければ、親委員会で議論ができたところから、一つずつ専門部会を設置していこうということになります。専門部会は、またご推薦いただく先生方で、親委員会外の先生方も活用してつくっていくことになります。

今回はフリーディスカッションでしたが、今回はもう少し固まったものをお出しして、具体的な観点でまとめりそうなものについては、PMDA が先ほど言ったように、ひょっとしたら次回に外部の方というのは難しいかもしれませんが、できるところからの専門部会の設置をさせていただこうと思っています。よろしいでしょうか。事務局、何かありますか。

○矢守理事 今までやってきたやり方でご参考になるスタイルとしては、その分野に非常に詳しい人をレクチャーとして呼んで、ここで2、30分プレゼンをしていただき、話題提供いただいた上でその分野についてディスカッションを進めるということもやってきております。今日、事務局でまとめたものをお送りいたしますが、それをご覧になってこういった人を呼んでみたら

面白いのではないか、というアイデアがありましたら是非お寄せいただきたいと思います。

○永田委員長 事務局の経験を、事実をしゃべっていただきました。時間は若干早いのですが、今日はこのあたりで閉じさせていただきます。次回には先ほど申し上げたとおりのことをさせていただくつもりでおります。

#### <議題6：その他>

○永田委員長 それでは、連絡事項を事務局から申し上げます。

○事務局(江原) 次回以降の親委員会の日程ですが、先日もメールでご相談差し上げたところですが、あらかじめ日程を1年なり決めさせていただければと考えております。原則、先生方のご都合をお聞きしたところ、奇数月の第2金曜日の午前中ということで、ご予約をお願いできないかと考えております。このような方針でいかがでしょうか。

○永田委員長 いかがでしょうか。全員のご要望を取り入れるのは、なかなか難しいわけですが、多くのご意見の中でこのあたりの都合がいいかなということです。3月だけが、今の第2金曜日ではなくて、もう1週遅れた第3金曜日に設定させていただこうと思っております。大変申し訳ありませんが、これはPMDAと委員長の予定により、ここだけはわがままを言わせていただきます。10か月ほど先ですから調整も頂けると思いますので、3月だけは第3週になります。

よろしければ、事務局から最後に連絡をどうぞ。

○事務局(江原) 奇数月ということで、一応日程を申し上げます。7月8日、9月9日、11月11日、来年の1月13日、3月については恐縮ですが3月17日ということで、ご予約をお願いできればと思います。具体的には、資料2の6ページの下に日付を入れさせていただいております。本日5月27日、7月8日、9月9日、11月11日、1月13日、そして3月17日ということで、ご予約をお願いできればと思います。もし議題がないような場合については、早めに事務局よりご連絡を差し上げて、その回はスキップという形にさせていただければと思っています。今回は7月8日ということで2か月ないところですが、開催を予定しております。詳細については、追ってご連絡いたしますので、どうぞよろしく願いいたします。

それから、先ほど申し上げました8月4日の科学委員会シンポジウムについては、詳細は追ってご連絡差し上げたいと思います。以上です。

#### <閉会>

○永田委員長 今、理事から議事録は公開されることを前提で議論を進めていただきたい

という注意事項です。スキップされるといいですね。専門部会の方にどんどん下りていくと、専門部会は専門部会で日程を決めて進めていくこととなります。そちらが議論の本場になると思います。

それでは、本日はどうもありがとうございました。