

科学委員会候補課題 2

新薬開発の現状と問題点について

医薬品開発においてボトルネックとなっている事項について現状を整理するとともに、問題解決に向けた考え方(例えば、疾患モデル細胞等(例:iPS細胞))を用いた薬効・安全性を評価する等の非臨床の新手法の活用)をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

Recent Challenges of PMDA

1. Further Acceleration of NDA Review
審査のいっそうの迅速化
2. Promotion of Developing Innovative Products
革新的医療製品の開発推進
3. PMDA Science Board
PMDA 科学委員会
4. Utilization of Electronic Clinical Study Data
新薬臨床試験電子データの受入開始
5. Global Activities
国際的活動

Recent Challenges of PMDA

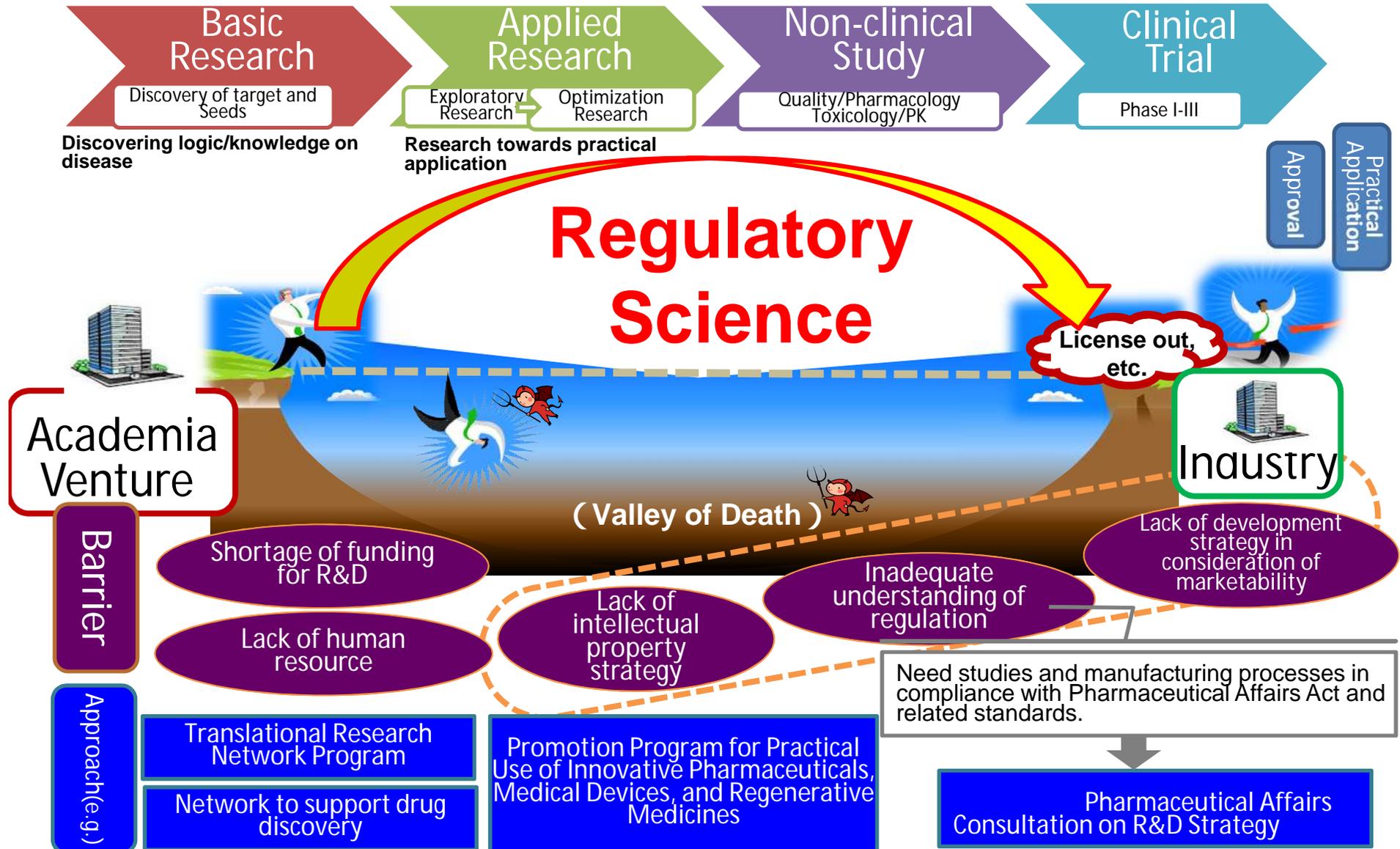
Promotion of Developing Innovative Products

- 1) Pharmaceutical Affairs Consultation on R&D Strategy (薬事戦略相談)**
- 2) SAKIGAKE Designation (先駆け指定)**
- 3) Conditional and Time-limited Authorization of Regenerative Medical Products (再生医療製品等の条件・期限付き承認)**

Examples of Japanese originated targets of new antibody biologics development

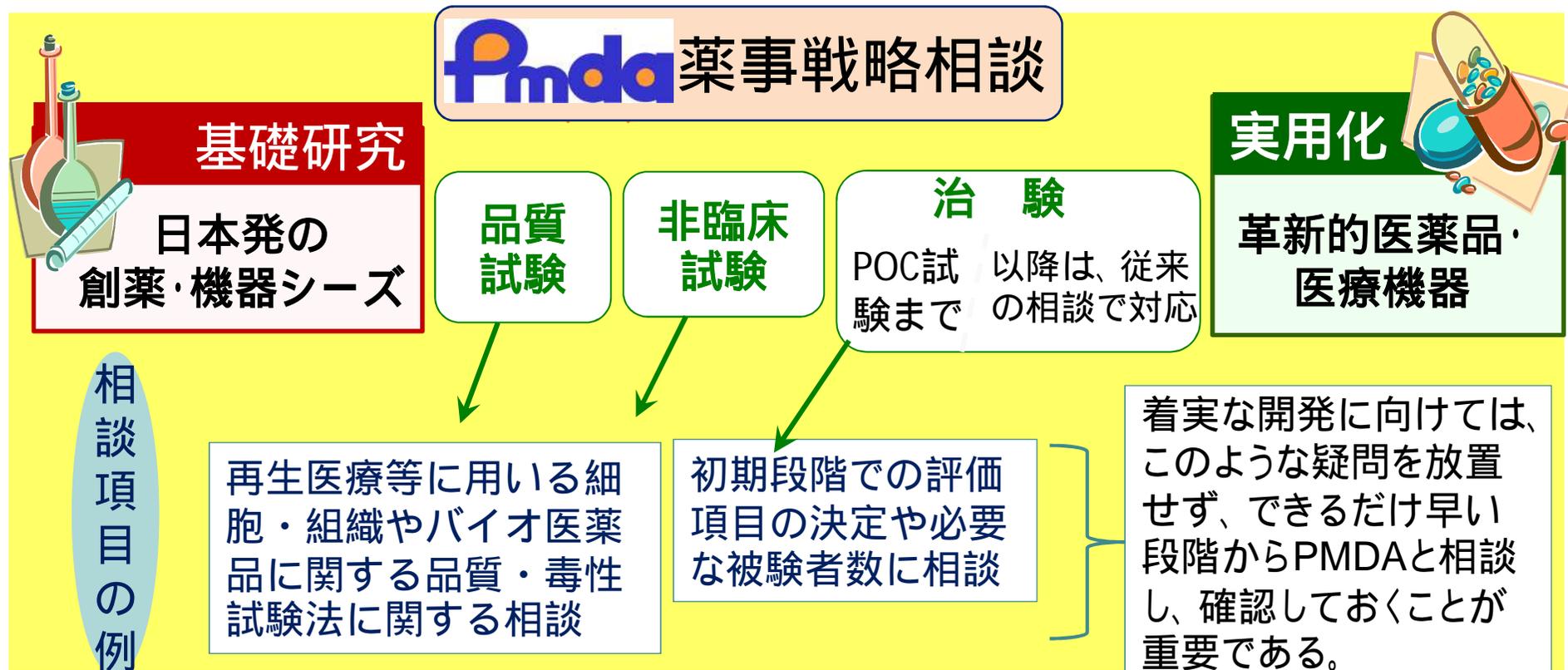
- ◆ **Actemura (tocilizumab)** (Chugai-La Roche)
Target: IL-6,
Dr. Tadamitsu Kishimoto (Osaka U.)
- ◆ **Xalkori (crizotinib)** (Pfizer) / **Alecensa (alectinib)** (Chugai-La Roche)
Target: EML4-ALK fusion gene,
Dr. Hiroyuki Mano (Jichi U. → U. Tokyo → NCC)
- ◆ **Poteligio (mogamulizumab)** (Kyowa-Kirin)
Target: CCR-4,
Dr. Ryuzo Ueda (Nagoya City U.→Aichi Medical U.)
- ◆ **Opdivo (nivolumab)** (Ono / BMS)
Target: PD-1,
Dr. Tasuku Honjo (Kyoto U.)

Barrier (Valley of Death) for Practical Application

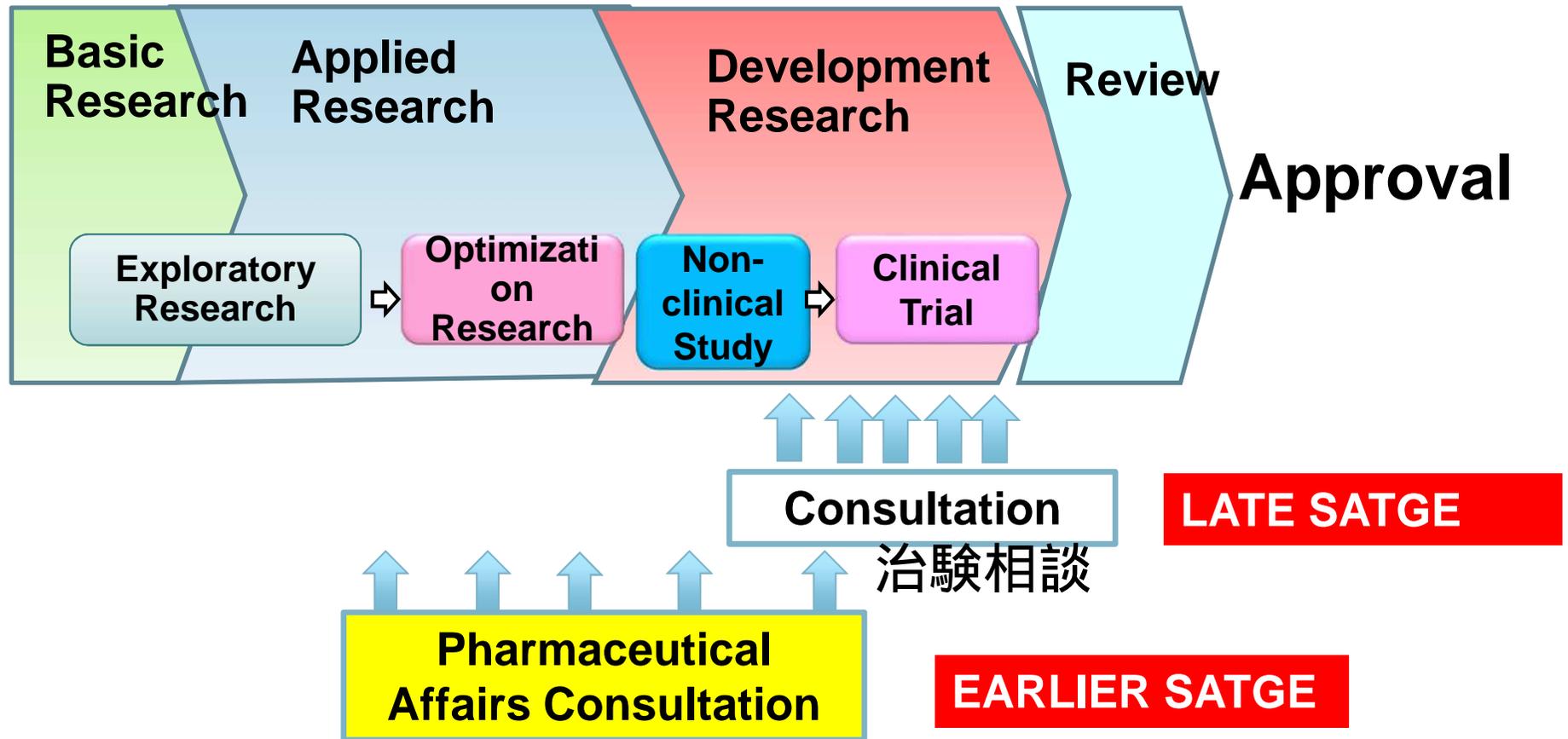


薬事戦略相談について(事業の概要等)

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品質・非臨床試験及び治験に関する指導・助言を実施するものとして、平成23年7月1日より開始。



1. Pharmaceutical Affairs Consultation on R&D Strategy



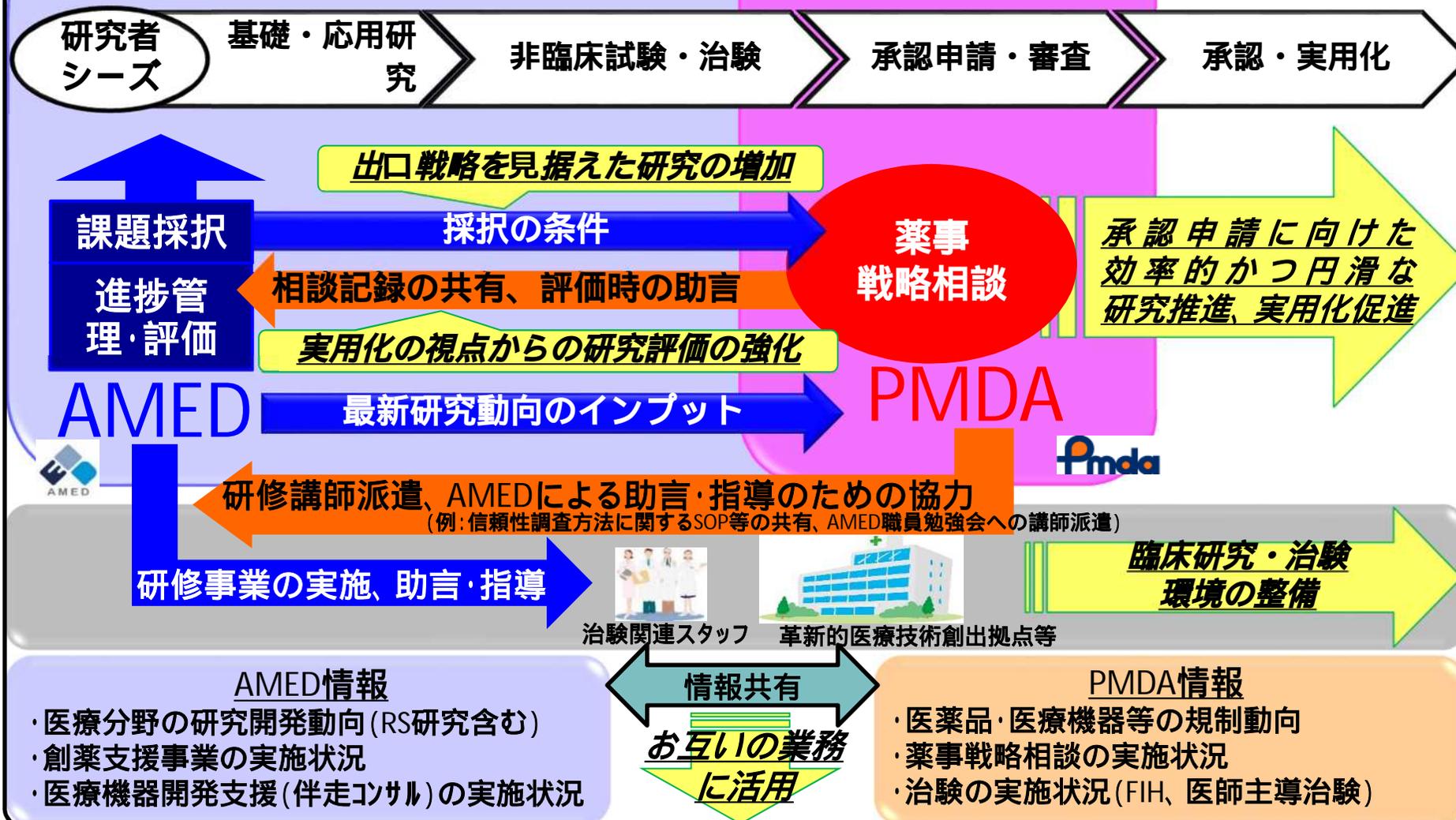
Communication from the early development is Important.

AMED - PMDAの連携強化について 平成27年8月19日連携協定締結

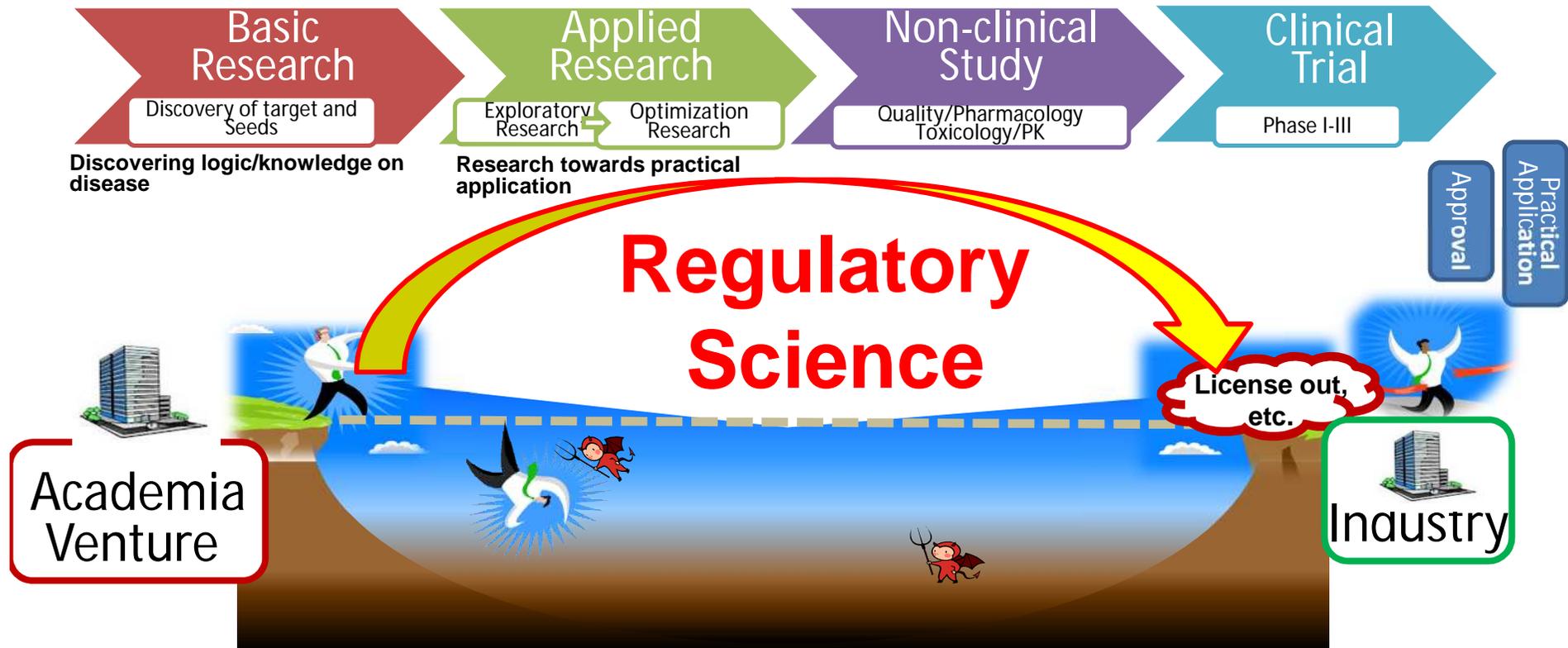
革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出を効率的に進めるためには、規制方針を踏まえた研究開発戦略の構築、最新の研究開発の動向を踏まえた合理的な規制の実現が必要である。

このため、本邦発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMEDによる医療分野の研究開発の推進業務等、PMDAによる審査・相談業務等についてそれぞれの使命や責務を果たしつつ、それぞれが持つ知識や経験を相互に活用する。

AMEDによる委託研究課題



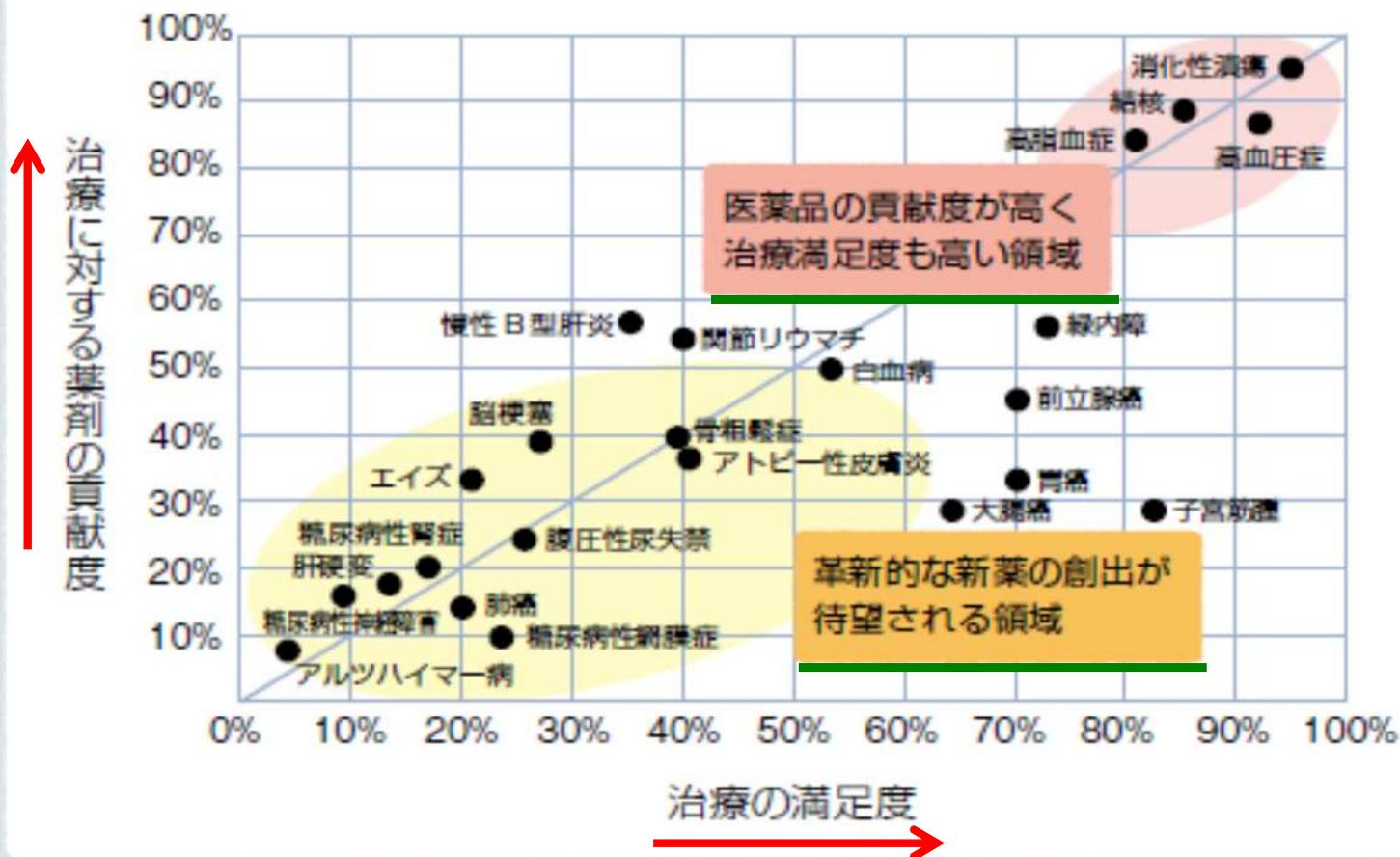
Barrier (Valley of Death) for Practical Application



・医薬品開発においてボトルネックとなっている事項について現状を整理する。

・問題解決に向けた考え方(例えば、疾患モデル細胞等(例:iPS細胞))を用いた薬効・安全性を評価する等の非臨床の新手法の活用)をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

■ 治療満足度と薬剤の貢献度の相関図 (2005年、対象:医師)



アルツハイマー病や糖尿病の3大合併症(腎症、網膜症、神経障害)、エイズなどでは、決定的な治療薬がなく、治療の満足度が低い病気も少なくありません。このように、まだ医療ニーズが満たされていない領域では、革新的な新薬の創出が待望されています。

出典：(財)ヒューマンサイエンス振興財団「平成17年度国内基盤技術調査報告書」より一部改変

創薬への活用が期待される新技術 (i P S 細胞の例)

1. 疾患 i P S 細胞樹立による有効性評価
2. ヒト i P S 細胞を用いた安全性評価



- ◆ 創薬の効率化、評価の迅速化
- ◆ 前臨床段階での安全性の予測精度の向上
- ◆ 動物愛護の観点など

実現に向けた課題

- 高品質なiPS由来分化細胞の作成方法確立及び安定供給
- 安全性評価方法の標準化に向けた整備
- 現行の非臨床試験への代替性とその範囲

現状と今後の研究課題等の整理・提言