

## 第三期科学委員会検討テーマ（案）について

### 1. 希少な疾患における臨床評価のあり方について

希少疾病用医薬品（患者数 50000 人未満）の中でも特に患者が少なく、比較試験による薬効の評価が困難な分野（例：希少がん）における臨床評価の現状と、とりうる評価手法について整理し、今後の希少疾患分野の臨床開発に役立てる。

### 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、問題点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。

### 3. AI の活用について

人工知能（Artificial Intelligence: AI）を活用した医療機器、医療機器ソフトウェア実用化への期待が近年高まっている。AI 関連技術を医療に活用・応用する形態には様々なものが考えられることから、関連技術の研究開発の現状とその限界を調査・分析し、医療応用を促進するための課題を科学的見地より議論する。

### 4. 医療関連データマイニングについて

各分野においてビッグデータ（メタデータ）の活用に向けた検討が進んでおり、その有用性が期待されるところであるが、医療におけるビッグデータ（メタデータ）の活用・方策・課題について検討を行う。

また、今後の非臨床申請電子データ活用への期待と、それに向けたデータ収集の留意点等をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

## 1. 希少な疾患における臨床評価のあり方について

希少疾病用医薬品（患者数 50000 人未満）の中でも特に患者が少なく、比較試験による薬効の評価が困難な分野（例：希少がん）における臨床評価の現状と、とりうる評価手法について整理し、今後の希少疾患分野の臨床開発に役立てる。

### 委員の意見等

- 希少がんだけでなく、その他の難病・精神疾患の医薬品開発に向けての議論が必要ではないか。（荒川委員）
- 多因子性疾患治療薬の開発法の必要性。（荒川委員）
- バイオマーカーを根拠とした医薬品開発→市販後の検証、といった手法。（荒川委員）
- 希少がんについては、国立がん研究センターで議論するという話があるが（西川委員談） 科学委員会でも独自に議論してよいのではないか。（永田委員長）
- 希少疾患用医薬品は高価になり易く、荒川委員の指摘の通り、バイオマーカーの利用などにより、適正使用と市販後の検証が重要と思われる。さらに効能拡大が申請された場合について、条件として十分なバイオマーカーの利用などを検討することも必要かと考える。（今泉委員）

## 2. 新薬開発の現状や問題点について

ヒトの iPS 細胞から分化させた疾患モデル細胞等を使用して、新薬開発の非臨床の薬効・安全性を評価する手法が近年注目されている。このような iPS 細胞を用いた新薬開発の現状や問題点等について検討し、今後の医薬品開発全般における問題点等についても洗い出し、問題点解決に向けた考え方をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

### 委員の意見等

- iPS 細胞の件等に限らず、大局的に医薬品開発におけるボトルネックについて議論する専門部会を立ち上げてはどうか。(永田委員長)
- iPS 細胞に限らずに疾患モデル細胞(脂肪細胞・ブタの膵島細胞封入カプセル等)についても議論することが必要ではないか。(新井委員)
- AMED のプロジェクトに参加した経験から、基礎研究者として医薬品開発においてギャップを感じる(基礎→応用(臨床)間のギャップ)。(井上副委員長・上田委員)
- AMED の末松理事長をお招きして、医薬品等の開発において苦慮している点等についてプレゼンをしていただくのはいかがか(永田委員長)
- 医薬品等の開発については、現在の医療体制が障壁となっていることを明示してはどうか。

例：臨床マテリアルの収集が適切になされているか等。(上田委員)

- 新薬開発非臨床での疾患モデル細胞の利用について、iPS 細胞からの分化細胞だけでなくより広く専門部会で検討すべきという永田委員長の意見に賛成であるが、疾患モデル細胞に限るのか、例えば安全性試験に利用するのならば正常ヒト由来の iPS 細胞が重要となり、検討範囲は広がる。例えば心筋安全性試験で iPS 細胞からの心筋分化細胞を用いる動向は既にかなり進行している。安全性試験への利用を含めるかをまず議論する必要があるが、個人的には是非とも必要であると考え。(今泉委員)

### 3. AI の活用について

人工知能 (Artificial Intelligence: AI) を活用した医療機器、医療機器ソフトウェア実用化への期待が近年高まっている。AI 関連技術を医療に活用・応用する形態には様々なものが考えられることから、関連技術の研究開発の現状とその限界を調査・分析し、医療応用を促進するための課題を科学的見地より議論する。

#### 委員の意見等

- 例えば、自動車のワイパーの作動状況に関するデータから天気の情報が見られる等、各業界においてビッグデータやメタデータの活用が進んでいる。医療界においても遅れをとるわけにはいかないので、今のうちから議論をしておくべきである。産業界の方をお招きし、本委員会でプレゼンをしていただくことも一案。(永田委員長)
- メタデータやソフトウェアを診断に活用するにあたり、科学的責任・倫理的責任が問われることになるので、その責任の所在等についても触れておくべきではないか。(光石委員?)
- 医療の世界では、AI であってもミスは許されない。(松井委員)
- AI の活用については、現状は、診断等の医師の”支援”と位置付けている。しかし、事実として、支援システムに支配される医師も出てくるのではないか。(大江委員)
- Deep learning (AI による画像認識等) 等、AI の技術の進歩が速い。クラウド上のデータはリアルタイムで変化(更新)している等、データの世界は驚愕的なスピードで変化している。また、AI によりソフトウェアが自己改変能を持つようになる。しかし、その自己改変が必ず進化の方向に行くわけではなく、劣化に進む場合もありえる。このような問題点についても議論すべきではないか。(大江委員)
- 堅牢なデータベースがないことが問題であるため、議論が必要。(山根委員)
- リアルタイムで更新されていくようなデータを evidence として使用するにあたり、更新の途中で記録すること等は可能か?(松井委員)
- ビッグデータやメタデータはデータ提供者不明の確率的統計データとなるので、機器開発や医療経済には重要な情報となるが、(PMDA が行う)機器評価には、責任の所在が不明で全く使えない。科学委員会の所掌範囲を機器評価に関する科学に限定するなら、範囲外となる。

科学委員会が行うべき課題としては

機器ごとの市販後データベース(レジストリ)を構築する全体ビジョンを策定すること。どの学会に責任もって委託するか、想定しながら検討する。

科学委員会で事前の開発および事後の保険収載まで議論して良ければ、大いに議論すべき。とくに臨床使用状況(データ)から償還価格を決定する医療経済プロセスへの導入は重要。ただし話が大きく科学委員会では手に負えなくなりそう。

(山根委員)

#### 4. 非臨床申請電子データの活用について

各分野においてビッグデータ(メタデータ)の活用に向けた検討が進んでおり、その有用性が期待されるところであるが、医療におけるビッグデータ(メタデータ)の活用・方策・課題について検討を行う。

また、今後の非臨床申請電子データ活用への期待と、それに向けたデータ収集の留意点等をまとめ、将来の審査や相談に役立てる。

#### 委員の意見等

- 例えば、自動車のワイパーの作動状況に関するデータから天気の情報が見られる等、各業界においてビッグデータやメタデータの活用が進んでいる。医療界においても遅れをとるわけにはいかないので、今のうちから議論をしておくべきである。産業界の方をお招きし、本委員会でプレゼンをしていただくことも一案。(永田委員長)(再掲)  
非臨床申請電子データに限らず、大局的な議論を行なう専門部会を立ち上げてはどうか。(永田委員長)
- メタデータやソフトウェアを診断に活用するにあたり、科学的責任・倫理的責任が問われることになるので、その責任の所在等についても触れておくべきではないか。(光石委員?)(再掲)
- リアルタイムで更新されていくようなデータを evidence として更新の途中で記録することは可能か?(松井委員)(再掲)
- 堅牢なデータベースがないことが問題であるため、議論が必要。(山根委員)(再掲)
- 全世界的な動物愛護の流れからも、この問題というのは出てきている。これまででも、化合物の構造活性相関等についてはある程度検討されてきているが、今後も in vitro in vivo への外挿の考え方等、課題はある。(西川委員)
- 重要な課題であるが、申請作業に負担になる方向ではなく、むしろ作業軽減につながるような大規模データとして集積できる工夫を考えるべきと(素人であるが)思う。(今泉委員)
- 医薬品の非臨床データの議論が中心であると思う。もし医療機器の非臨床データを議論すると、定版の電気機械安全試験以外では、機器の種類だけ非臨床試験(有効性・安全性)の種類があると思われる。  
横串を通せるとすれば、西川委員が述べられている、in vitro 試験から in vivo 試験への外挿性について、などかと思う。(山根委員)