

研究結果報告書（概要）

研究課題名：医薬品審査におけるベネフィットリスクの考え方について－臨床の観点から考える

主たる研究者（所属部署）： 佐久嶋 研（次世代審査等推進室）

【目的】

PMDA の医薬品承認審査におけるベネフィットリスクバランスの評価について、欧米との比較により報告書記載の異同を調査検討し、今後の検討課題等を明らかにすること。

【研究方法】

本研究における、ベネフィットリスク評価の検討範囲として、日欧米の規制当局における新薬の承認審査時に限定することとした。

調査に使用する資料については、海外の資料はすべて公開文書（FDA は Review、ODAC の議事録等、EMA は CHMP Assessment Report 等）に限定した。国内の資料は、主に公開文書（審査報告書等）を用いた。

検討品目については、海外でも承認されていること、FDA で「benefit risk framework」（添付資料）が用いられている 2012 年以降の承認品目であること、承認時のベネフィットリスク評価がより重要と考えられる新規薬剤であること、を考慮して選定し、本邦で 2014 年に承認された抗悪性腫瘍剤から 1 品目を選び、PMDA、FDA 及び EMA の審査報告書等の調査及び検討を行った。この検討から、PMDA の審査報告書におけるベネフィットリスク記載が、FDA 及び EMA とは大きく異なることが明らかになったため、更に、他の抗悪性腫瘍剤 3 品目を選び、同様の調査を行った。調査結果に基づき、FDA、EMA 及び PMDA の 3 局でのベネフィットリスク評価の考え方の異同について比較検討を行った。

【結果・考察】

PMDA の承認審査におけるベネフィットリスク評価については、本邦の審査報告書は、海外の報告書と異なり、「ベネフィット」及び「リスク」の記載項が明確に設定されていない。そのため、本邦の審査報告書の、主に「有効性について」及び「安全性について」の記載がそれぞれ「ベネフィット」及び「リスク」に相当すると仮定して、比較検討を行い、その結果、FDA、EMA の報告書でのベネフィットリスク評価と PMDA でのベネフィットリスク評価の記載は、その構成から大きく異なっていることがわかった。

医薬品の審査において、ベネフィットリスク評価に基づいた「総合評価（PMDA）」、「Decision（FDA）」または「Outcome（EMA）」が提示される、というプロセスには国内外で大きな違いはないと考えられるが、欧米とは異なり、PMDA の報告書には「ベネフィットリスク評価」として記載する項は設けられていなかった。

【結論】

海外と本邦の審査報告書におけるベネフィットリスク記載の違いは、これまでのベネフィットリスク評価に関する研究、検討の状況の違いが理由の一つにあると考えられた。今後、海外の動向を注視していくことが重要であると考えられる。