

申請時電子データ提出にかかる経験及び 留意事項に関する説明会の開会に向けて

平成30年5月10日

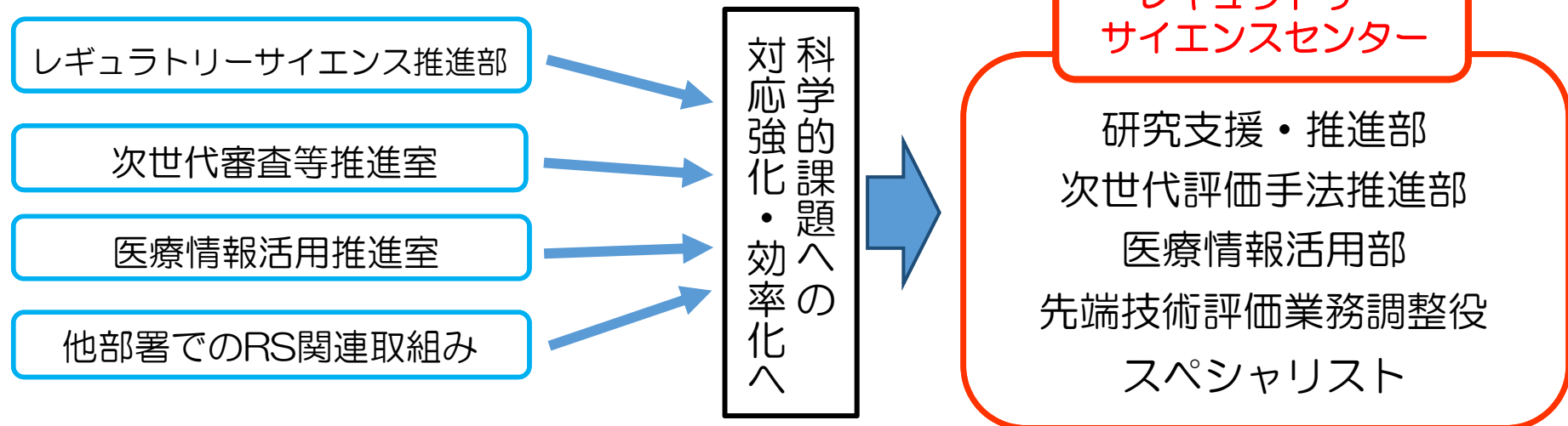
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

レギュラトリーサイエンスセンターの設置について

- PMDAでは、医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質・有効性・安全性の科学的な評価・判断に資するレギュラトリーサイエンスに係る取組みを進めてきた。
- 平成30年4月1日に、レギュラトリーサイエンスセンターを設置し、PMDA内のレギュラトリーサイエンスに係る活動を組織的に一元化することで
 - PMDA業務に関連する科学的課題への対応の強化及び効率化
 - 審査等業務及び安全対策業務の質の向上
 - レギュラトリーサイエンス関連情報の発信により各ステークホルダーとの議論を活性化を図る。

平成30年3月まで

平成30年4月から



レギュラトリーサイエンスセンターの主な業務内容

1. PMDA業務に関連する先端科学技術への対応と情報発信

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品への活用が期待される先端科学技術の情報を積極的に収集し、ステークホルダーとの議論を踏まえて評価の考え方や規制のあり方等をまとめる。

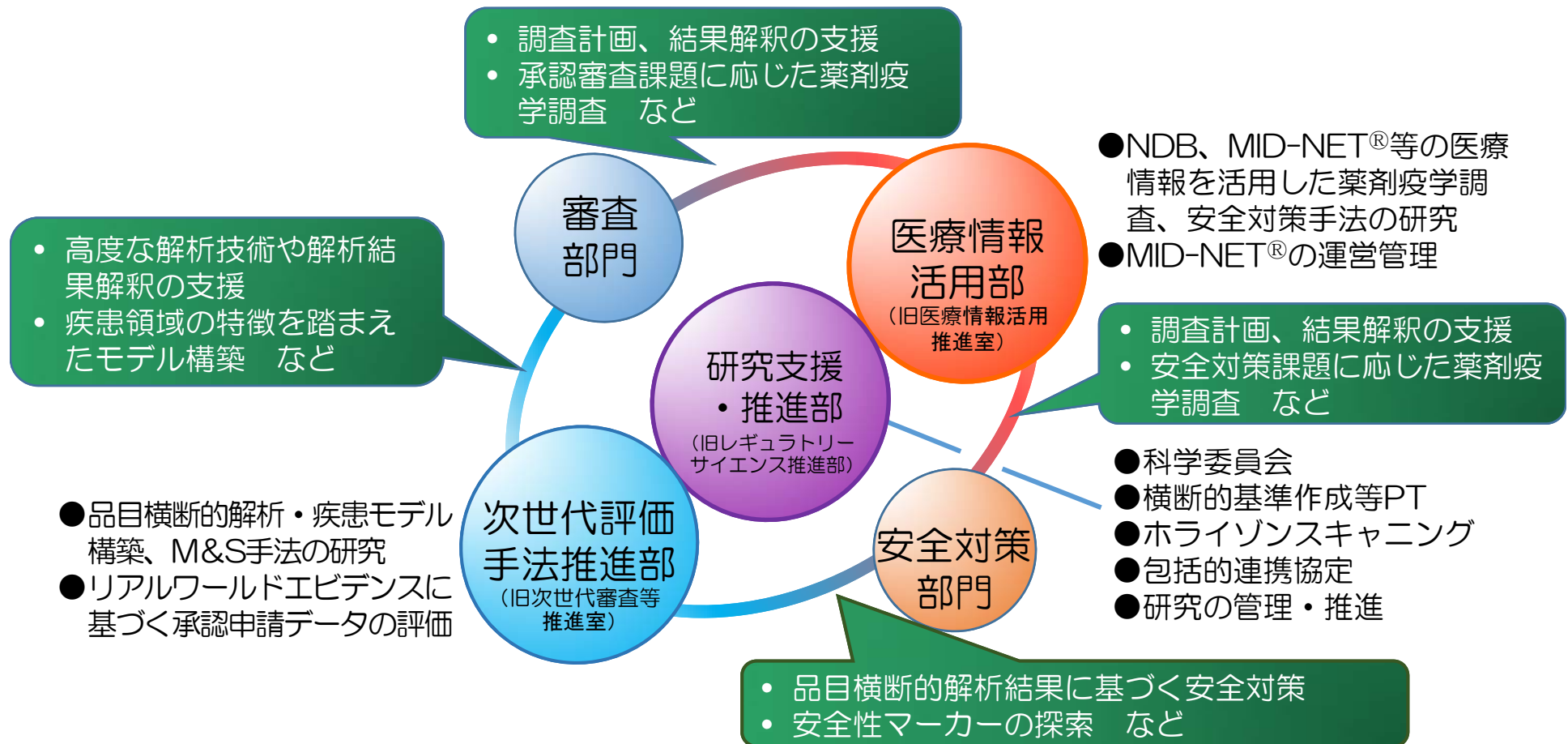
2. 申請電子データ・リアルワールドデータの活用推進

- 申請電子データの品目横断的解析結果に基づき医薬品開発・評価に資するガイドライン等を作成する。
- 医療情報等のリアルワールドデータの活用を推進し、実医療下での医薬品等の有効性・安全性情報を収集・解析することで、製販後安全対策の高度化を図る。
- 申請電子データ及びリアルワールドデータから得られる情報を最大限に活用し、医薬品等のライフサイクルを通じた最適使用や革新的製品の開発への活用を目指す。

3. 人材育成

- 業務上の科学的課題への職員による対応とその成果の発信を支援する。
- クロスアポイントメント制度等を含めアカデミアとの連携を通じてRSの推進と人材交流・人材育成を図る。

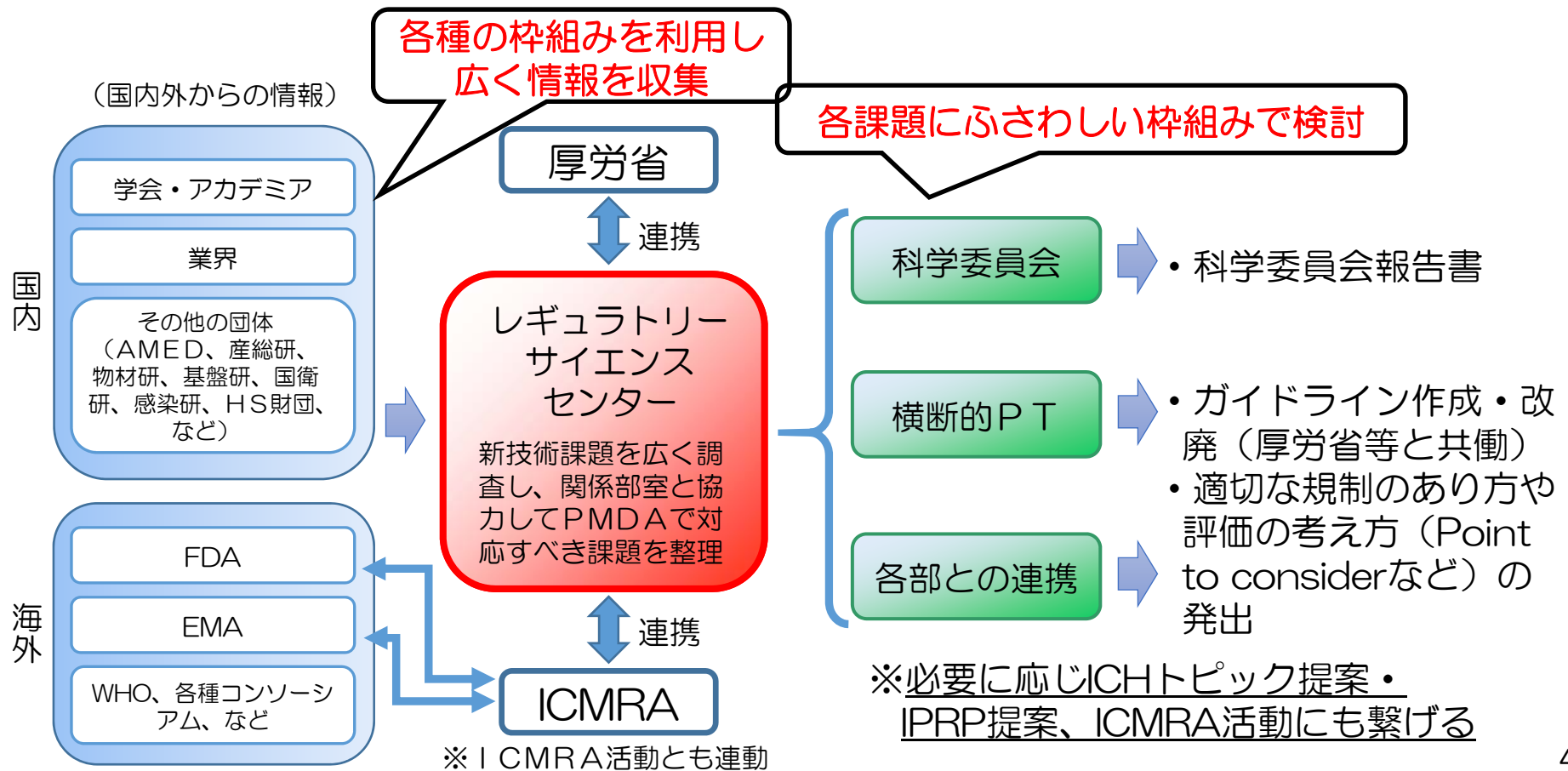
レギュラトリーサイエンスセンターの機能について



- リアルワールドデータ、電子データを用いた承認審査と市販後調査・安全対策の連携強化
- アカデミア等外部機関との連携によるレギュラトリーサイエンスの推進
**審査・安全対策の質の向上、革新的医薬品等の開発に資する
 ガイドライン等を積極的に発信する。**

先端科学技術への対応について

- AIを活用した医療機器等、既存の評価の考え方や規制では適切な対応が困難な先端科学技術の出現を踏まえ、製品への活用が期待される先端科学技術の情報をレギュラトリーサイエンスセンター自らが積極的に収集する機能を強化。
- 収集した先端科学技術情報をレギュラトリーサイエンスセンター内で選別し、科学委員会、横断的PT、関係各部署で評価を行い、国際的整合化も配慮しつつ報告書やガイドライン案を提案。
- 審査等業務及び安全対策業務の質の向上や最適な対策の実施とともに、公表された評価の考え方等により、製品の実用化の促進や、医薬品のライフサイクルを通じた適正使用を推進。



治験データや医療情報の積極的活用

レギュラトリーサイエンスセンター

専門家育成、知識の醸成

- ・国内アカデミアとの共同研究
- ・海外規制当局・海外アカデミアとの連携

研究支援・推進部

最新科学技術を踏まえたGL等作成、PMDA内外のRS連携、企画調整

- ・科学委員会、横断的基準作成等PT、ホライゾンスキャンニング、包括的連携、研究の管理・推進等

次世代評価手法推進部

新医薬品の治験データを 集積したデータベース

平成28年10月データ受付開始

- ・最も詳細かつ精度が高い臨床データ
- ・新薬の臨床試験データを集積



医療情報活用部

NDB、MID-NET®等の 医療情報データベース

- ・高品質で多様なデータを用いた医薬品安全性評価

電子カルテ

レセプト

DPC



治験データでの検討

平成30年度から
検討開始、データ
集積に合わせて
徐々に対象拡大。

- ・投薬後の症状を表現する数理モデル※を作成し、多様な背景因子の患者の症状推移をシミュレーション（モデリング&シミュレーション）
※ある現象の時間変化等を数式を用いて模倣する
- ・複数の類薬のデータを品目横断的に解析して、患者背景因子と有効性や有害事象との関連性を検討

有効性・安全性に影響する候補因子を抽出

製販後の医療情報での検討

平成30年度から
開始。徐々に
対象拡大。

- ・薬剤疫学的手法により、候補因子を中心に有効性・安全性との関連性を検討

継続的なベネフィット/リスク評価
(適切な投与患者、用法・用量、注意喚起等の検討)

- ・グローバルな基準の導入・運用
- ・先進的なデータ解析手法・薬剤疫学的手法の導入と開発

貴重なデータを最大限有効活用

実臨床における各種データの承認申請への活用

現状と課題

- 難病や希少疾病の医薬品開発は、被験者の数が限られているため、比較対照試験などの多くの患者の参加が必要となる臨床試験を実施することが難しく、それが開発を妨げる一因となっている。
- 欧米では、難病等患者のこれまでの臨床成績など、実臨床における各種データ（リアルワールドデータ）を活用した効率的な臨床試験を行い、医薬品の実用化の促進を図っているが、我が国では活用方法が未整備。

対策

- 国内にもNC（国立高度専門医療研究センター）の疾患登録システムやPMDA（医薬品医療機器総合機構）の医療情報データベース（MID-NET®）等のリアルワールドデータのDBを構築中である。
- これらのデータを製薬企業等が適切に活用できれば、長期間・高コストの比較対照試験に代えて、短期間・低コストの臨床試験で、必要な評価が可能となる。

⇒30年度：実臨床における各種データ（リアルワールドデータ）を活用した、効率的な医薬品開発に資する考え方をPMDAで整理

期待される効果

