

PMDAにおける科学委員会およびホライゾン・スキャンニングの取組との関わりについて

科学委員会事務局

1. 科学委員会について

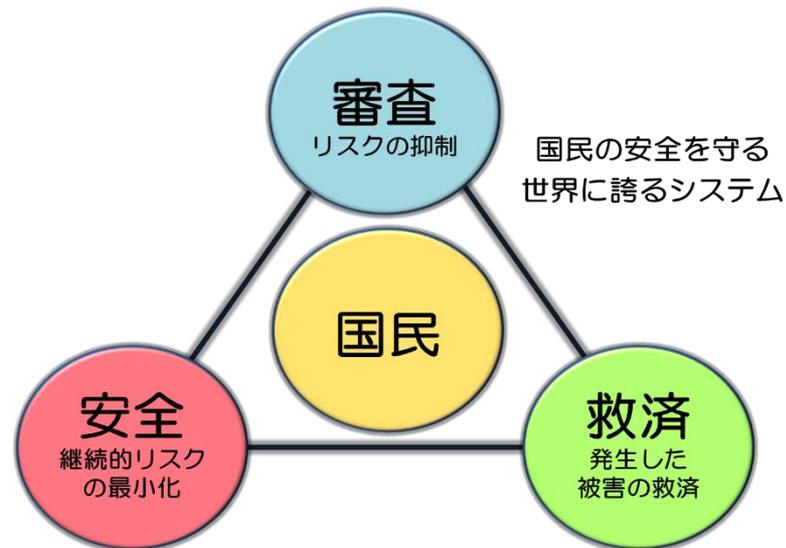


PMDAは、
医薬品の副作用や生物由来製品を介した
感染等による健康被害に対して、迅速な
救済を図り(健康被害救済)、

医薬品・医療機器・再生医療等製品など
の品質、有効性及び安全性について、治
験前から承認までを一貫した体制で指導・
審査し(承認審査)、

市販後における安全性に関する情報の収
集、分析、提供を行うこと(安全対策)
を通じて、国民保健の向上に貢献するこ
を目的としている独立行政法人。

PMDAのセイフティ・トライアングル



PMDAの理念 (2008年9月)

わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- ① 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- ① より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- ① 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点での的確な判断を行います。
- ① 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- ① 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

なぜ科学委員会なのか

PMDAを取り巻く課題

- ① 再生医療等先端科学技術分野(抗体医薬、コンパニオン診断薬、人工心臓、再生医療、がんワクチンetc)における研究内容を理解した審査・相談業務が求められている。
- ② より迅速に医療現場に届けるには、申請前の非臨床、臨床試験、あるいはシーズ段階からの先端科学技術に対する的確な相談・助言が求められている。
- ③ 加速する技術革新をキャッチアップし、最先端の技術の実用化に貢献できる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。



科学委員会の設置(平成24年5月)

PMDA第三期中期計画(平成26年3月)(抜粋)

医学・歯学・薬学・工学等の外部専門家から構成される「科学委員会」を積極的に活用し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品の評価方法に関して、大学・研究機関等や医療現場との連携・コミュニケーションを強化するとともに、薬事戦略相談を含め先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図る。

科学委員会とは

- 今後の医療イノベーションの推進も踏まえ、レギュラトリーサイエンスの積極的推進とともに、アカデミアや医療現場との連携・コミュニケーションを強化し、先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図ることを目的とし、医薬品・医療機器審査等業務の**科学的側面**に関する事項を審議する機関として、平成24年5月14日に設置されたPMDAの業務から独立した機関。
- 具体的役割として、薬事行政上の「審査(承認)基準」や「審査(開発)ガイドライン」ではなく、最先端科学技術等に係る内容を中心に「各審査項目の科学的評価にあたっての留意事項」の取り纏め等が期待される。個別品目の承認審査には関わらない。
- 委員は、医歯薬工などの外部専門家から構成されている。
- 議論すべきトピックごとに、科学委員会に専門部会が置かれる。
- 委員名簿は 専門部会委員も含め公開。科学委員会、専門部会とも個別事例を基に議論することがありうるため、会議は非公開。ただし、議事録は原則公開。
- これまでに13報の取りまとめ報告書が作成されている。

科学委員会の親委員会、専門部会の役割

親委員会の役割

- ① 議論すべきテーマを決定し、そのトピック毎に専門部会を設置する。
- ② 専門部会委員の選定を行う。
- ③ 専門部会において作成された報告書(案)等について確認する。
- ④ 最新のトピックに関する情報提供(ご講演等)

専門部会の役割

- ①親委員会で決定されたトピックについて議論を行い、報告書(案)をまとめる。

第5期科学委員会のテーマ

(令和2年9月1日現在)

<p>1 コンピューターシミュレーションを活用した医療機器ソフトウェアの審査の考え方</p> <p>部会長: 鎮西 清行(産業技術総合研究所 健康医工学研究部門 副研究部門長) 副部会長: 佐久間 一郎(東京大学大学院工学系研究科 教授)</p> <p>生体現象を対象とするシミュレーション技術の現状を調査し、これを医療機器に応用する場合に注意すべき点を整理・検討し、報告書を取りまとめる。</p> <p>(背景) 計算機シミュレーションの応用例の出現</p> <ul style="list-style-type: none">・ 医療機器の設計や評価・ 直接計測できない、あるいは侵襲性が高い手法でしか計測できない診断上有用な情報の取得	<p>状況</p> <p>検討中 (令和1年度2回、令和2年度2回開催)</p>
<p>2 マイクロバイオーム研究に基づいた細菌製剤の現状と課題等</p> <p>部会長: 山口 照英(日本薬科大学 客員教授) 副部会長: 竹田 潔(大阪大学大学院 医学系研究科 教授)</p> <p>菌の補填による菌交代又は菌による免疫系の活性化等により疾病治療を行う領域の背景情報や開発状況を俯瞰し、マイクロバイオーム(微生物叢)研究に基づいた細菌製剤の現状と課題等について報告書を取りまとめる。</p>	<p>状況</p> <p>検討中 (令和2年度1回開催)</p>

これ以外の検討テーマについては、ホライゾン・スキャンニング活動を通じて、今後テーマ候補を提案していく。

1. 薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価
2. ゲノム編集技術を応用した医薬品等のリスク評価の考え方
3. コンピューターシミュレーションを活用した医療機器ソフトウェアの審査の考え方

【これまでのPMDA科学委員会】の成果

第1期（平成24年5月～平成26年3月）

- ・医薬品の開発・承認審査に関わる個別化医療の現状評価に関する議論の取りまとめ
- ・抗がん剤の非臨床薬理試験に関する取りまとめ
- ・iPS細胞等をもと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

第2期（平成26年4月～平成28年3月）

- ・プラセボ対照試験の現状と考え方
- ・抗悪性腫瘍薬開発における非臨床試験の活用に関する提言（‘Cancer Science’誌に投稿／採択）
- ・整形外科インプラントの強度評価への数値解析使用に関する報告書
- ・医療機器の小児への適応評価のあり方に関する議論のまとめ
- ・再生医療等製品の品質確保における基本の考え方に関する提言



第3期（平成28年4月～平成30年3月）

- ・アカデミアと企業との連携による創薬を促進するための課題と提言 2017
ー日進月歩の科学の中でー
- ・希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言 2017（‘Cancer Science’誌に投稿／採択）
ーアカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点からー
- ・AIを活用した医療診断システム・医療機器等に関する課題と提言 2017
（‘Advanced Biomedical Engineering’誌に投稿／採択）

第4期（平成30年4月～令和2年3月）

- ・薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価に関する報告書
- ・ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書
（‘Human Gene Therapy’誌に投稿／採択）

Human Gene Therapy, VOL. 0, NO. ja |

 normal

Aspects of gene therapy products using current genome-editing technology in Japan

Dr. Teruhide Yamaguchi , Dr. Eriko Uchida, Prof. takashi Okada, Dr. Keiya Ozawa, Dr. Masafumi Onodera, Dr. Akihiro Kume, Prof. Takashi Shimada, Prof. satoru takahashi, Prof. Kenzaburo tani, Dr. Yasutomo Nasu, Prof. Tomoji Mashimo, Prof. hiroyuki Mizuguchi, Dr. Ko Mitani, and Dr. Kazushige Maki

Published Online: 31 Jul 2020 | <https://doi.org/10.1089/hum.2020.156>

 Tools  Share

Abstract

The development of genome-editing technology could lead to breakthrough gene therapy. Genome editing has made it possible to easily knock out or modify a target gene, while current gene therapy using a virus vector or plasmid hampering modification with respect to gene replacement therapies. Clinical development using these genome-editing tools is progressing rapidly. However, it is also becoming clear that there is a possibility of unintended gene sequence modification or deletion, or the insertion of undesired genes, or the selection of cells with abnormalities in the cancer suppressor gene p53; these unwanted actions are not possible with current gene therapy. The Scientific Committee of the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency of Japan has compiled a report on the expected aspects of such genome-editing technology and the risks associated with it. This paper summarizes the history of that discussion and compares the key concepts with information provided by other regulatory authorities.



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

本文ヘジャンプ 文字サイズ 標準 拡大 日本語 English

サイトマップ

サイト内検索 検索

PMDAについて 安全性情報 回収情報 等 添付文書等 検索 医療用医薬品 医療機器 一般用・要指導医薬品 体外診断用医薬品 よくみるページ一覧 問い合わせ先 各種様式ダウンロード 地図・交通案内

訪問者別ナビゲーション おすすめのコンテンツをご案内します 製品種類別ナビへ切替 一般の方向け 医療従事者向け アカデミア向け 企業向け

ホーム 審査関連業務 安全対策業務 健康被害救済業務 レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方 国際活動 (ICH-IMDRF等)

このページをよくみるページ一覧に追加する 本文のみ印刷する Click here for English Pages

ホーム > レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方 > 科学委員会運営業務 > 議論の取りまとめ報告書

レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方
レギュラトリーサイエンス推進業務
科学委員会運営業務
科学委員会運営業務の概要
科学委員会
議論の取りまとめ報告書
専門部会(2019年12月~)
専門部会(第4期:~2019年11月)
専門部会(第3期)
専門部会(第2期)
専門部会(第1期)

議論の取りまとめ報告書

第4期(平成30年4月~令和2年3月)に取りまとめられた報告書

- 薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価に関する報告書
- ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書

第3期(平成28年4月~平成30年3月)に取りまとめられた報告書

- 希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言2017-アカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点から
- アカデミアと企業との連携による創薬を促進するための課題と提言2017-日進月歩の科学の中で
- AIを活用した医療診断システム・医療機器等に関する課題と提言2017

(※1) 英文概要版 "Current state of therapeutic development for rare cancers in Japan, and proposals for improvement" は、日本癌学会の機関誌である Cancer Science 誌に掲載された (Cancer Sci., 109(5):1731-1737, May 2018, DOI: 10.1111/cas.13568)

(※2) 英文概要版 "Regulatory Science on AI-based Medical Devices and Systems" は、日本生体医工学会の英文誌である Advanced Biomedical Engineering 誌に掲載された (Adv Biomed Eng., 7: 118-123, 2018, DOI:10.14326/abe.7.118)

↑本ページの上部に移動する ↓

2. PMDAにおけるホライズンスキヤニング の取組みと科学委員会について

第4期中期計画(平成31年4月から令和6年3月)より

<RSの推進による業務の質の向上>

① RS研究の推進

ア 最先端科学技術の積極的な情報収集及び評価についてのガイドラインの作成
・ゲノム編集技術等の最先端科学技術の情報を積極的に収集・選別し、科学委員会、横断的基準作成等プロジェクトチーム^(注1)、関係部門において評価を行い、報告書やガイドラインを作成する。

(注1) 機構の職員が、テーマごとに分野横断的なプロジェクトチームを結成し、開発・評価の考え方を検討し、ガイドラインの策定等につなげる活動

イ ホライゾン・スキャンニング^(注2)手法の確立

・海外規制当局との間で情報交換等の連携を進め、医薬品の開発を見据えた最先端科学技術の情報の収集と評価のための効率的・効果的なホライゾン・スキャンニング手法を確立する。

(注2) RSに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのかの網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組

ウ～オ(略)

カ 科学委員会の活用とその成果を踏まえた評価の考え方等の取りまとめ

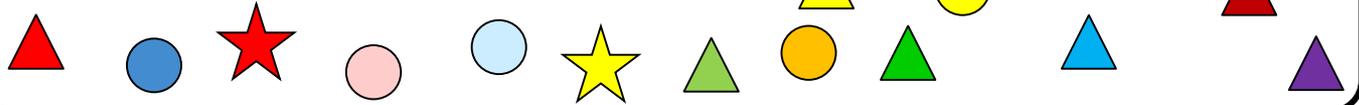
・先端科学技術のうち、新たな対応が必要な技術等について、科学委員会を積極的に活用し、先端科学技術応用製品へのよりの確な対応を図る。

ホライゾン・スキャンングとは

レギュラトリーサイエンスに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのか網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組

1. 同定

新しい技術の同定

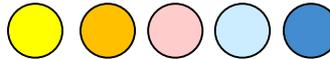


2. 優先順位付け

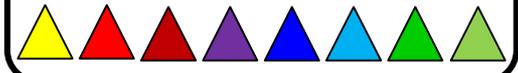
優先順位 高



優先順位 中



優先順位 小



3. 評価



技術★

についての報告書



技術★

についての報告書

4. 必要な対応

例えば



技術★の
ガイドラインの作成



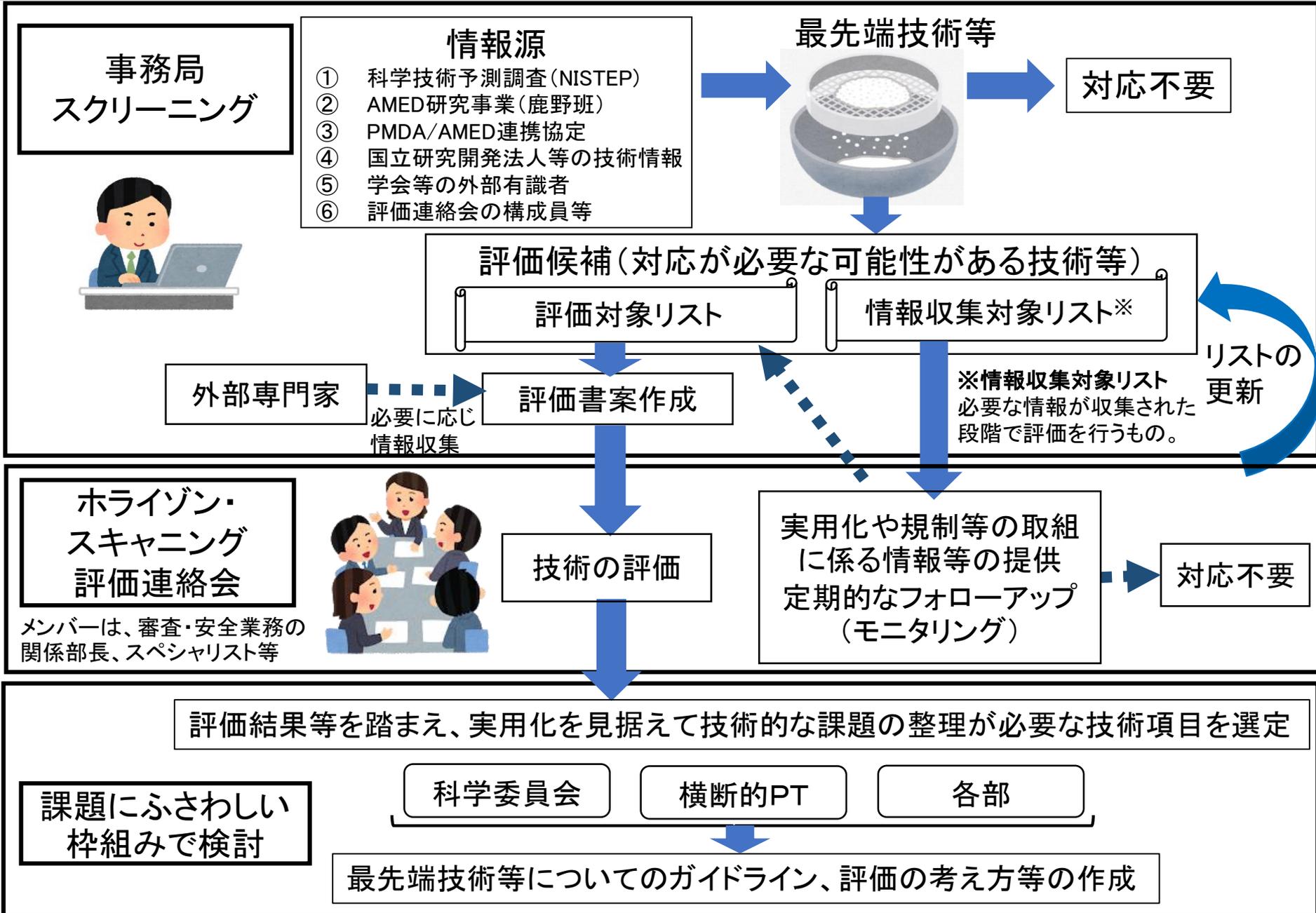
など

必要な審査体制の整備

ホライゾン・スキャンニング手法の確立に向けた検討

- 1 ホライゾン・スキャンニング実施要領の制定(令和元年9月19日)**
PMDAの行うホライゾン・スキャンニングの手順等の枠組みについて定めた。
- 2 ホライゾン・スキャンニングの試行**
次の情報源から、ホライゾン・スキャンニング実施要領に従って作業開始
 - ① 文部科学省科学技術・学術政策研究所(NISTEP)の発表した科学技術予測調査
 - ② PMDAとAMEDとの連携等に関する協定書に基づき提供された情報
- 3 効率的・効果的なホライゾン・スキャンニング手法の確立に向けた検討**
AMED「薬事規制分野におけるホライゾン・スキャンニングの実施手法に関する研究」(研究開発代表者:東京理科大学 薬学部 鹿野 真弓教授)への参加
- 4 ICMRA Informal Network for Innovation への参加**
ICMRA(薬事規制当局国際連携組織)において、各国連携してホライゾン・スキャンニングを行い、その結果見出された技術について合同で評価を行う予定

PMDAにおけるホライゾン・スキヤニングの枠組み



PERSPECTIVE

PMDA's Vision for Horizon Scanning of Emerging Technologies Potentially Relevant to the Development of New Medical Products: The Regulatory Challenge

Masafumi Shimokawa¹, Daisaku Sato^{2,*}, Rika Wakao² and Hiroyuki Arai²

A key goal of regulatory agencies for medical products is to make innovative products available to patients and the medical community in a timely manner in order to improve the quality of public health and health care. Thus, regulators must respond quickly to emerging technologies. It is a horizon scanning method, based on which the Japanese regulatory agency will have the expertise prior to review of forthcoming products of evolving technologies.

emerging disruptive technologies that are being introduced, or that may be used, in medical product development, and which would present a challenge to traditional product regulatory systems. This would help the regulatory agency to determine which of these technologies might call for new modes of regulatory assessment in order to establish the quality, safety, and efficacy, based on detailed evaluation in a timely manner.

However, in carrying out horizon scanning, it is natural to extrapolate from our experiences in the past, and this may restrict our vision. Thus, there is a compelling need for a more systematic and evidence-based methodology for horizon scanning.

PMDA'S INITIATIVE ON HORIZON SCANNING

The Science Board

The PMDA Science Board was established in 2012 as a high-level consultative body, which discusses scientific aspects of product review, aiming at advancing regulatory science and product evaluation in communication with researchers from academia and medical institutions.⁴ It served as a