

[2024年度]

レギュラトリーサイエンス活動報告書

REGULATORY SCIENCE ACTIVITY REPORT 2024



PMDA

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

CONTENTS

1.	PMDA レギュラトリーサイエンス活動報告書について	2
2.	はじめに	3
2.1	PMDA RSセンターの概要・沿革	3
2.2	PMDA 第5期中期計画	4
3.	2024年度RS関連活動実績	5
3.1	人材力の強化	5
3.1.1	包括的連携及び連携大学院協定における活動： RS人材育成に向けて	5
3.2	科学的エビデンスの充実・強化	8
3.2.1	科学委員会及び先端科学技術への対応	8
3.2.2	RSに係る横断プロジェクト	10
3.2.3	Early Consideration・ガイダンス・ガイドライン	12
3.2.4	公的研究費に基づく研究	16
3.2.5	文部科学省科学研究費の研究機関指定	17
3.3	発信力の強化	18
3.3.1	PMDA RS研究会	18
3.3.2	SNS発信	19
3.3.3	2024年度の主な論文紹介	21
4.	医療情報の更なる活用への貢献 ～リアルワールドデータを活用した安全性評価～	27
5.	外部有識者メッセージ	30

1. PMDAレギュラトリーサイエンス活動報告書について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency: PMDA) は、主に医薬品、医療機器等の承認審査、安全対策及び健康被害救済の3業務を通じて、国民の健康・安全の向上に貢献することを目的としている行政機関です。(図1参照。詳細は、PMDAのWEBページ <https://www.pmda.go.jp/> をご参照ください)

[図1] PMDAの3つの役割 - セーフティ・トライアングル



PMDAの業務は、最新の科学的知見に基づき、適正かつ迅速に予測、評価及び判断を行うことが求められています。PMDAレギュラトリーサイエンスセンターでは、これらの業務の質を向上させるため、その基盤となる科学であるレギュラトリーサイエンス (Regulatory Science: RS) を推進しています。2024年度から開始されたPMDAの第5期中期計画^{※1}では、RS研究及び関連活動のより一層の推進を目標として掲げており、RS関連の情報についても、より積極的に発信していきたいと考えております。

本活動報告書は、そのような観点から、PMDAで実施しているRS関連の活動を取りまとめ、その活動内容等について記載しています。2024年度の活動報告書では、PMDAと外部機関との連携活動、PMDAと外部有識者との間で科学的な検討を行う科学委員会、新規技術等の医薬品開発等での活用を促進するための参考情報となるEarly Consideration、RSの視点から様々な科学的課題について共有し議論するRS研究会、PMDAが関与した研究活動や関連する情報発信活動、リアルワールドデータを活用した安全性評価の事例等について紹介しています。本活動報告書が、PMDAのRS関連活動を理解する上で、皆様にとって有益な情報源となることを期待しております。

※1 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 第5期中期計画 <https://www.pmda.go.jp/files/000267756.pdf>

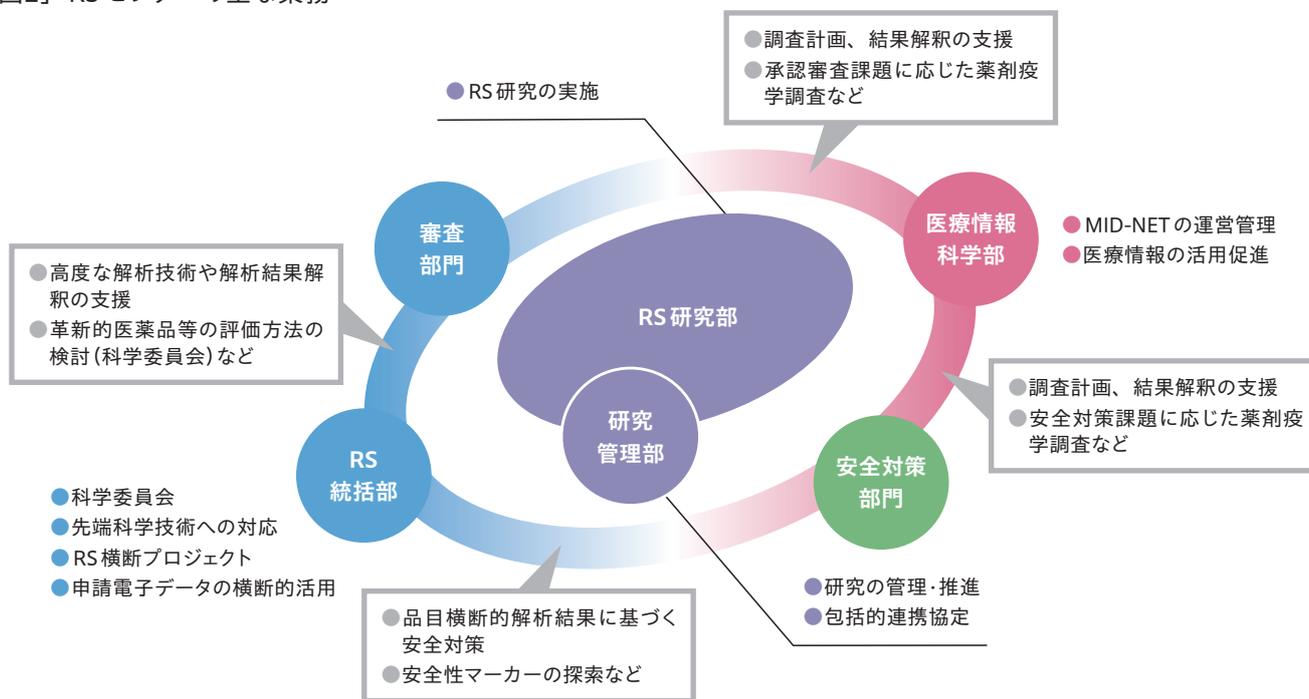
2. はじめに

2.1 PMDAレギュラトリーサイエンスセンターの概要・沿革

レギュラトリーサイエンス (Regulatory Science: RS) とは「科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学^{※2}」とされています。PMDAでは、RSについて、科学技術に基づく成果(製品、新たな手法や技術、知識、情報など)を適切に社会に届けるための科学であると考えており^{※3}、国の方針としても、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、RSを推進していくことが打ち出されています^{※4}。これらの観点から、PMDAでは、RS推進のための様々な取組みを行っています。

2018年4月、このRSをより一層推進するため、レギュラトリーサイエンスセンター(RSセンター)を設置し、RSに関連する業務について、審査部門、安全対策部門と連携して取り組む体制を構築し、業務の質の向上に取り組んできました。2023年7月には、PMDA自らのRS研究体制を強化するため、新たにRSの研究部門である「RS研究部」を設置しました(図2)。さらに、2024年6月には、RS関連業務をPMDAとしてより戦略的に実施するために、RSに関する課題を部門横断的に検討し、方針を決定する内部委員会として「RS戦略会議」を設置しました。

[図2] RSセンターの主な業務



※2 科学技術基本計画(平成23年8月19日付閣議決定) <https://www8.cao.go.jp/cstp/kihonkeikaku/4honbun.pdf>

※3 Regulatory science as a bridge between science and society. Clin Pharmacol Ther 90, 29 (2011).10.1038/clpt.2011.89 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/21691273/>

※4 健康・医療戦略推進法(平成26年法律第48号) <https://laws.e-gov.jp/law/426AC000000048>

2.2

PMDA第5期中期計画

PMDAは、厚生労働省より発出された2024年度から2028年度までの中期目標^{※5}に基づき、第5期中期計画^{※6}を設定し（表1参照）、この目標を達成するために年度ごとに年度計画を公表しています。RSセンターでは、当該中期計画のうち、「人材力の強化」「科学的エビデンスの充実・強化」「発信力の強化」「医療情報の更なる活用への貢献」を主軸に活動しており、令和6年度（2024年度）の年度計画^{※7}は表2に示す通りです。

[表1] 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 第5期中期計画

RSの推進による業務の質の向上	
人材力の強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ 包括的連携協定締結機関などの外部機関との人事交流等を活用した臨床現場等の状況を理解した人材の育成 ・ RS業務への関与等を通じたディスカッションをリードできる人材の育成
科学的エビデンスの充実・強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ 研究へのエフォート増加による、組織としての研究遂行能力の強化 ・ 審査・相談上の課題を集約し、部門横断的に検討できる体制の確立
発信力の強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ RS研究等の業務を通じて得られた成果を、英語論文等として発表
医療情報の更なる活用へ貢献	<ul style="list-style-type: none"> ・ MID-NETの利便性の更なる向上 ・ 医療情報の標準化、品質管理等に関する情報発信

[表2] 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 令和6年度計画

RSの推進による業務の質の向上	
人材力の強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ 包括的連携協定の再締結にあたって具体的な取組の実施に向けた検討を進める。 ・ 包括的連携協定機関等の外部機関との人材交流、意見交換、外部研修等により、臨床現場等の状況を学べる機会を確保するとともに、その機会の一層の充実のための取組を着実に進める。 ・ RS業務に関する研修や国内外での関連する学会、会議等での講演、外部専門家とのディスカッション等の論理的思考等の向上に資する機会を確保するとともに、RSの視点を一層意識して、日々の業務における課題を同定・整理できるようにするための検討を進める。 ・ 研究関連業務の促進に向けて、研究実施への支援、適正な評価等に関する制度について検討を進める。
科学的エビデンスの充実・強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ RS研究部に所属する職員の研究関連業務へのエフォートを高く設定するとともに、研究遂行に必要な研究費の確保とその執行管理、研究部門以外の各部門との連携等、研究環境の整備を進める。 ・ 研究機関として安定的に活動できる基盤として、研究機関指定申請及び関連制度の検討を進める。 ・ RSセンターにおける情報整理及び科学委員会での議論の促進あるいは部門横断的な検討の進捗管理の強化などを通じて、より計画的に検討できる体制を確立するため、関連規定等の整備を進める。
発信力の強化	<ul style="list-style-type: none"> ・ RS研究関連業務の成果を、英語論文、報告書、RS研究会等で積極的に公表するとともに、発信力のさらなる強化のための環境整備、外部への情報発信等に関する検討を進める。
医療情報の更なる活用へ貢献	<ul style="list-style-type: none"> ・ 製薬企業等との意見交換を通じてMID-NETの利活用者のニーズを把握するとともに、利活用者の利便性向上策を検討する。 ・ データ規模の拡充に対応するために必要なデータの管理方法及びシステム基盤を検討する。 ・ MID-NETの安定運営に向け、運営方法の見直しを継続的に実施する。 ・ 説明会等においてMID-NETの構築・運営時に得られた標準化、品質管理等に関する技術・知見を積極的に情報発信する。

※5 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 第5期中期目標 <https://www.pmda.go.jp/files/000267755.pdf>

※6 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 第5期中期計画 <https://www.pmda.go.jp/files/000267756.pdf>

※7 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 令和6年度計画 <https://www.pmda.go.jp/files/000267757.pdf>

3. 2024年度 RS 関連活動実績

本章では、令和6年度(2024年度)の主なRS関連活動についてご紹介いたします。

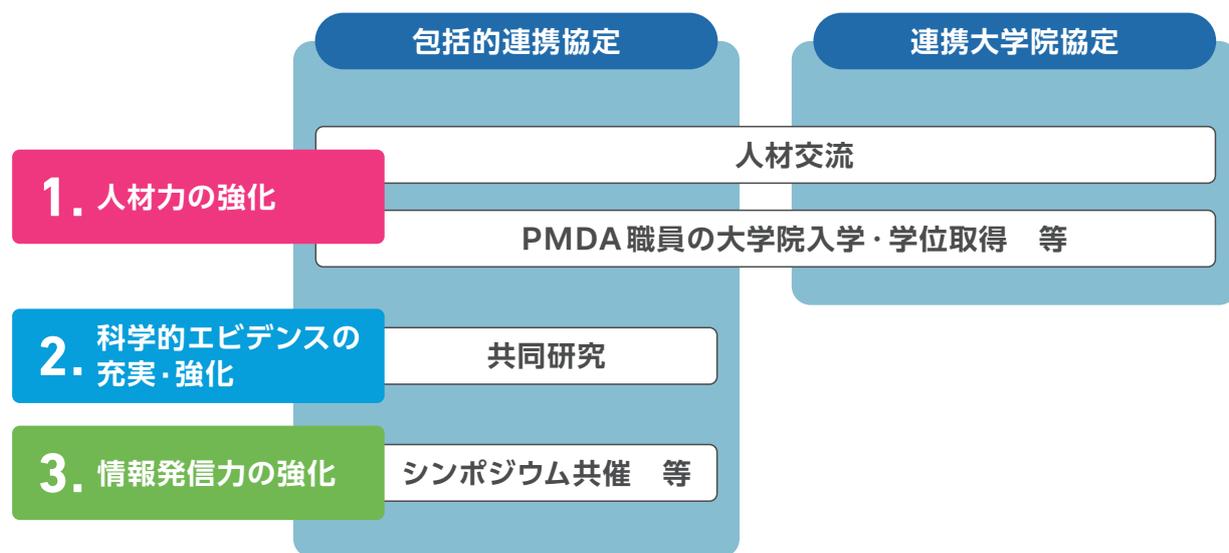
3.1 人材力の強化

3.1.1 包括的連携及び連携大学院協定における活動：RS 人材育成に向けて

PMDAは、業務上明らかとなった課題及び最先端技術の実用化のための課題について、PMDA自らが主体性を持って解決するため、大学、研究機関等の外部機関と協力・連携して取り組む体制を構築しています。具体的には、人材力の強化(人材交流、学位取得支援等)、科学的エビデンスの充実・強化(共同研究)、情報発信力の強化(シンポジウム共催等)に関し活動している包括的連携協定、人材力の強化に焦点をおいた活動を行う連携大学院協定があります(図3)。

(HPはこちら <https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/joint-grad-school/0001.html>)

[図3] 包括的連携協定と連携大学院協定

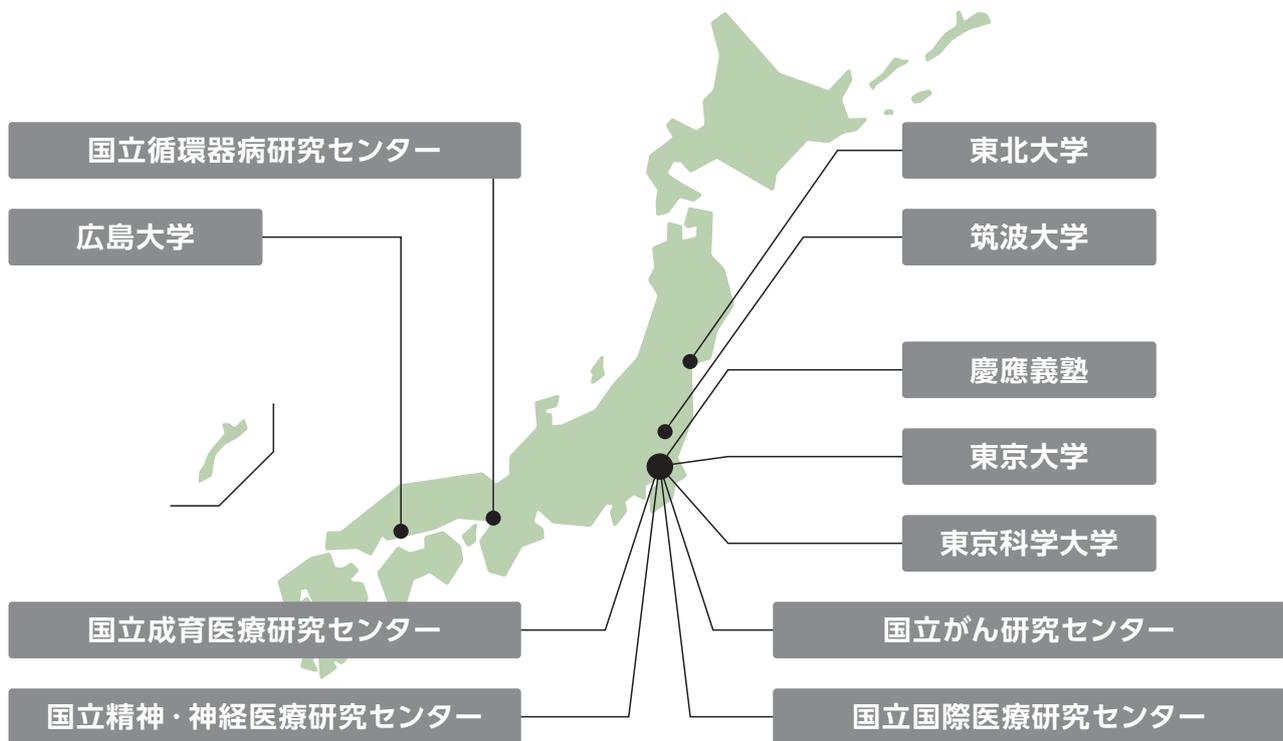


これらの活動は、PMDA及び連携機関の双方にとって、下記のような観点で意義があり、RS 領域での議論をリードできる人材の育成に寄与すると考えています。

- RS に関する知見の習得
- 医療あるいは研究の実情への理解向上
- 最新の科学的技術や知見の習得

包括的連携協定を締結している機関は、2025年3月末時点で11機関です(図4)。

[図4] 包括的連携協定締結機関(2025年3月31日時点)



また、包括的連携協定を締結している各機関における2024年度の主な活動内容は、下表3のとおりです。

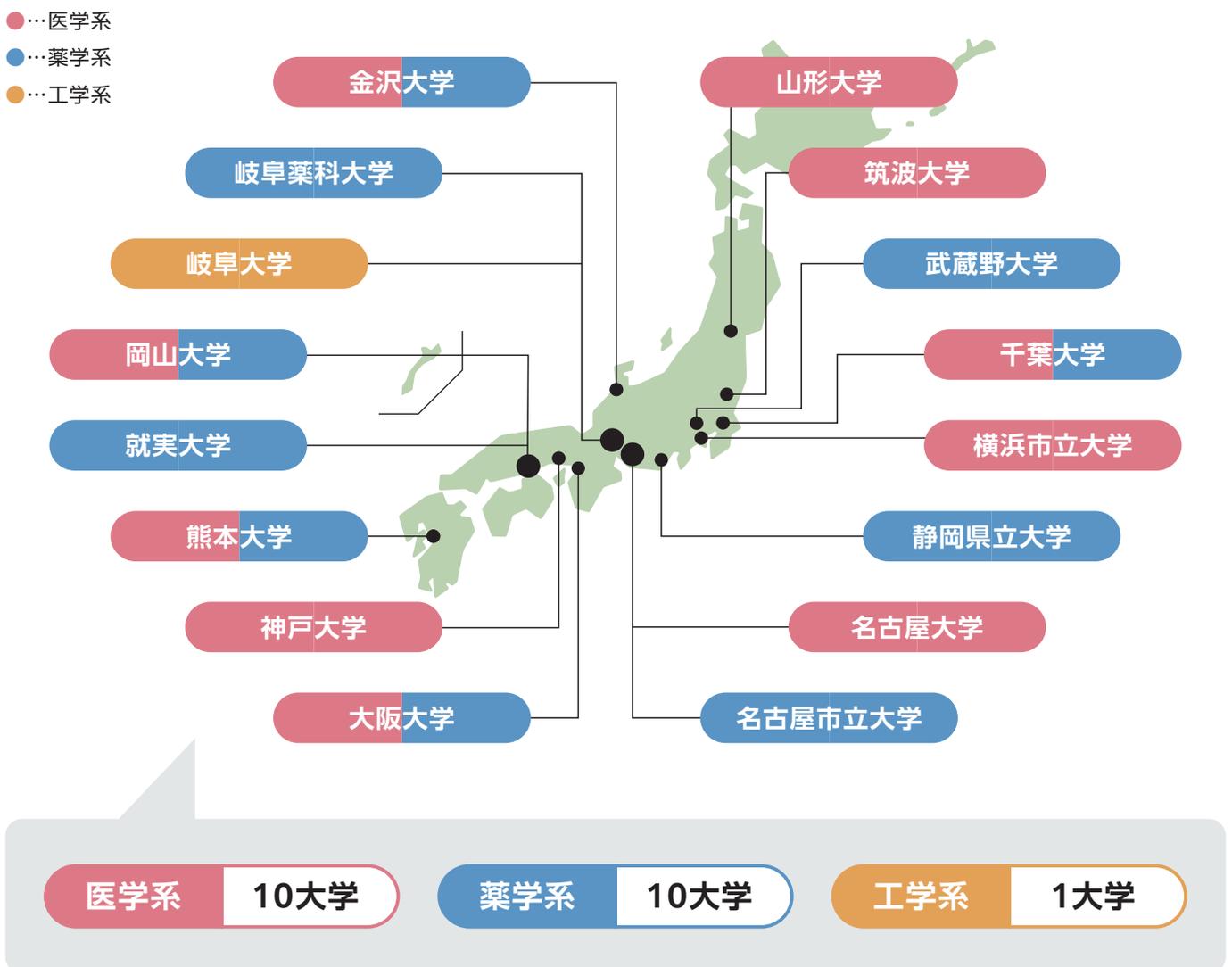
[表3] 包括連携協定締結機関における主な活動内容

締結機関(締結順)	2024年度の主な活動
国立研究開発法人 国立がん研究センター (HPは こちら)	・PMDA職員を対象とした医療現場長期研修(薬剤部/治験管理部門)の実施
国立大学法人広島大学 (HPは こちら)	・PMDA職員によるセミナー及び大学院医系科学研究科でのRSに関する講演又は講義
学校法人慶應義塾 (HPは こちら)	・PMDA職員による薬学部、大学院医学研究科でのRS関連講義 ・PMDA職員を対象としたファーマコメトリクス専門研修の実施
国立大学法人筑波大学 (HPは こちら)	・PMDA職員による大学院人間総合科学学術院でのRS関連講義
国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター (HPは こちら)	・PMDA職員を対象とした委員会見学研修(臨床試験審査委員会等)の実施 ・PMDA職員を対象とした施設見学(疾患モデル飼育施設 他)の実施
国立大学法人東北大学 (HPは こちら)	・共同研究(医療機器の適正使用指針作成及び見直しの最適化に関する研究)の実施 ・PMDA職員による薬学部での講義
国立研究開発法人 国立国際医療研究センター (HPは こちら)	・PMDA職員を対象とした医療現場長期研修(薬剤部)の実施 ・PMDA職員を対象とした治験管理業務見学研修の実施
国立研究開発法人 国立循環器病研究センター (HPは こちら)	・PMDA職員を対象とした医療現場見学(臨床現場、非臨床試験等)の実施

締結機関（締結順）	2024年度の主な活動
国立研究開発法人 国立成育医療研究センター（HPは こちら ）	・PMDA職員を対象とした医療現場長期研修（薬剤部）の実施
国立大学法人東京科学大学 （旧：東京医科歯科大学）（HPは こちら ）	・PMDA職員による産学連携協議会におけるRS関連の講演
国立大学法人東京大学（HPは こちら ）	・PMDA職員による大学院学際情報学府におけるRS関連講義

一方、2025年3月31日時点で連携大学院協定を締結している機関は、図5のとおりです。

【図5】 連携大学院協定締結機関（2025年3月31日時点）



PMDAは、RS領域の人材育成に貢献するため、2024年度は、延べ130名以上の職員が、60以上の大学において、210件以上のRS関連の講義を行いました。このうち、連携大学院協定を締結している機関においては、PMDA職員17名、包括的連携協定ではPMDA職員23名が客員教授等の招聘教員としてRS関連の講義等を担当しました。

3.2 科学的エビデンスの充実・強化

PMDAは、科学的エビデンスの充実・強化として、科学委員会での議論、部門横断的な検討等を行うとともに、組織としての研究遂行能力の強化・研究環境の整備を進めています。

3.2.1 科学委員会及び先端科学技術への対応

PMDAは、医薬品・医療機器・再生医療等製品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、様々な専門性を有する外部有識者から構成される**科学委員会**を設置しています^{※8}。科学委員会により、先端科学技術の適切な評価や実用化を促進させ、審査、安全対策業務等の質の向上を図ることを目的としています。

科学的事項に係る検討課題については、外部専門家との意見交換等により、各テーマの状況に応じた**先端科学技術への対応**を適時行っています。

2024年7月、業務上の必要性を踏まえた課題に、より迅速かつ継続的に対応できるよう、科学委員会設置規程等の改正を行いました^{※9}。

科学委員会及び先端科学技術への対応については、ウェブサイトをご覧ください。



PMDAウェブサイト

[科学委員会](#)

[先端科学技術への対応](#)

2024年度には、下記のテーマに関して報告書が公表されています。

テーマ

標的特異性を有する *in vivo* 遺伝子治療用製品

背景・目的

遺伝子治療には大きく分けて2つの方法が存在する。

- ① *in vivo* 遺伝子治療：患者に直接、治療用の遺伝子を運ぶベクターを投与する
- ② *ex vivo* 遺伝子治療：患者から細胞を取り出し、体外で遺伝子操作を施した細胞を作成した上で、再び患者に戻す

ex vivo 遺伝子治療の例として、B細胞系悪性腫瘍に対するキメラ抗原受容体 (CAR) 遺伝子導入T細胞 (CAR-T) 療法がある。一方で、*ex vivo* の手法は、製造のために多大なりソース(設備、物品、人手)を要するなどの課題があり、今後は *ex vivo* 遺伝子治療から *in vivo* 遺伝子治療へ発展させる試みが進むと考えられる。これまで以上の標的特異性を必要とする *in vivo* 遺伝子治療製品を開発する際の留意点や評価時の論点を整理することが、この分野における適切な開発を促進すると考えられた。

※このテーマに関する検討の詳細は、科学委員会の該当ページ^{※10}をご参照ください。

※8 PMDAの紹介～科学委員会について～ <https://www.pmda.go.jp/files/000270546.pdf>

※9 独立行政法人医薬品医療機器総合機構科学委員会設置規程 <https://www.pmda.go.jp/files/000276221.pdf>

※10 標的特異性を有する *in vivo* 遺伝子治療用製品のベクターに関する評価の考え方専門部会 <https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/subcommittees/0031.html>

検討内容等

- *in vivo* 遺伝子治療に用いられるベクターの特徴及び開発動向の整理
- 当該ベクターを利用した製品の開発における臨床試験開始前までの留意事項や臨床試験計画策定にあたり考慮すべき事項の検討

成 果

「標的特異性を有する *in vivo* 遺伝子治療用製品の開発における留意事項 - *in vivo* CAR-Tの開発など」(2024年7月4日)が作成され、日本語及び英語で公表されました。

本報告書をこれまでに公表されているガイドライン・通知等と合わせて活用することで、遺伝子治療用製品の適切な開発の促進に寄与することが期待されます。



PMDAウェブサイト

[日本語](#)

[英語](#)



3.2.2 RSに係る横断プロジェクト

PMDAは、審査等業務、安全対策業務等における分野横断的な課題に対応するため、課題ごとに複数の部門から構成されるワーキンググループ(WG)を設置し、その解決に向け、考え方の公表、ガイドライン等の策定について検討を進めてきました。

2024年度より、分野横断的な課題への対応をより組織的に行う体制を構築することを目的として、従前のWG(「横断的基準作成等プロジェクト」)を発展的に改編し、「RSに係る横断プロジェクト」を立ち上げました(2024年10月発足)。

「RSに係る横断プロジェクト」は、通知・ガイドラインの作成等を目的としてプロジェクトごとに設置される横断プロジェクトチーム(横断PT)と、審査等業務及び安全対策業務等における分野横断的な課題等について、意見交換を行うことを目的として課題ごとに設置される意見交換ワーキンググループ(意見交換WG)から構成されます。設置された各PT及びWGの活動目的は表4のとおりです。



PMDAウェブサイト

[日本語](#)

[英語](#)

[表4] RSに係る横断プロジェクトにおけるPT/WGの活動目的一覧

横断PT	活動目的
小児開発状況に係る照会事項対応検討PT	・相談・審査時に小児を対象とした開発状況等に関して照会事項を作成・送付する対応についての内規整理と通知発出の検討を行う

意見交換WG	活動目的
国際共同治験WG	・国際共同治験を含む日本人データ取り扱いや要否等について、新薬審査部門内で意見や対応の統一に取り組む
小児用医薬品WG	・小児用医薬品開発に係る各種案件について、国内外関係者とも意見交換等を行いながら、分野横断的に対応する
オーファン医薬品WG	・日本における希少疾病用医薬品開発促進に向け、開発促進のあり方等について、国内外に発信、関係者と議論する
コンパニオン診断薬WG	・コンパニオン診断薬の開発の合理化等について意見交換を行う
患者参画WG	・患者との連携方針を分野横断的に検討しつつ、連携のための活動を進める

部門横断的な検討を通じて、2024年度に発出した主な通知等は表5のとおりです。なお、横断的基準作成等プロジェクトにおけるWG(従前のWG)の成果も含めて、表5に纏めています。

[表5] 部門横断的な検討を通じて発出した主な通知等(2024年度)

関連するWG/PT	関与した通知・ガイドライン等	概要
小児開発状況に係る 照会事項対応検討 PT	小児用医薬品の開発促進に向けた取組について(令和7年3月21日付薬機審長発第1618号・薬機RS長発第15号) https://www.pmda.go.jp/files/000274421.pdf / English Version	治験相談等において、小児用医薬品の開発計画を含めた医薬品開発計画の全体像を把握した上で必要な助言・指導を行うこととし、小児用医薬品の開発に関する基本的な考え方や留意事項等を整理
コンパニオン 診断薬 WG	「医薬品横断的コンパニオン診断薬等に関するガイダンス等について」の一部改正について(令和6年5月22日付事務連絡) https://www.pmda.go.jp/files/000268515.pdf / English Version	「医薬品横断的コンパニオン診断薬等に関するガイダンス等について」(令和4年6月28日付け薬機発第0628013号、独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知、以下「ガイダンス」)について、医薬品横断的コンパニオン診断薬等を開発する際の、医療機器及び体外診断用医薬品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令(平成16年厚生労働省令第169号)への適合性に関する考え方等を取りまとめ、当該ガイダンスの一部を改正
Real World Data (RWD) WG*	レジストリ又は医療情報データベースのデータを医療機器の承認申請、使用成績評価申請に利用する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集(Q&A)について(令和6年5月29日付事務連絡) https://www.pmda.go.jp/files/000271519.pdf	申請者等がレジストリ又は医療情報データベースのデータを医療機器の承認申請及び使用成績評価申請に利用する場合に、利用する予定のレジストリ又は医療情報データベースに対して行う 信頼性の確認についての一般的な留意事項を整理
	医療用医薬品の承認事項一部変更承認申請又は電子化された添付文書改訂においてレジストリデータを活用する際の留意点について(令和6年10月4日付医薬審発1004第4号・医薬安発1004第1号) https://www.pmda.go.jp/files/000271189.pdf / English Version	医療用医薬品における承認事項一部変更承認申請や電子化された添付文書の改訂手続において、レジストリデータを活用する際の留意点を整理
医療機器 国際業務対応 WG*	「医療機器のサイバーセキュリティ対策に関連する一部変更に伴う軽微変更手続き等の取扱いについて」(令和6年4月23日付医薬機審発0423第1号) https://www.pmda.go.jp/files/000268363.pdf	医療機器のサイバーセキュリティ関連で軽微変更届または手続き不要な事例を整理

※2024年10月に発展的解散に至った横断的基準作成等プロジェクトのWG

3.2.3 Early Consideration・ガイダンス・ガイドライン

PMDAは、Early Considerationの発信、ガイドラインの策定等により最新の科学的知見に基づく対応を促進しています。

Early Consideration

Early Considerationとは

科学的知見や情報等が十分に集積されていない段階ではあるものの、イノベーションの実用化と革新的な医薬品等の開発促進の参考情報として、その時点における開発の方向性に係るPMDAの考え方を示したものです。

位置づけと留意点

革新的技術の実用化や医薬品の開発・評価に当たっての論点等について、公表時点のPMDAの考え方を示したものです。そのため、今後、新たに得られる知見や科学の進歩、産業界やアカデミア等との議論等により変わり得るものであることにご留意ください。

実績

2024年度は表6に示した15件のEarly Considerationを発出し、PMDA ウェブサイトで公表しています。2025年度以降も順次発出予定です。



PMDAウェブサイト

[日本語](#)

[英語](#)

[表6] Early Consideration (2024年度)

タイトル (注)(Early Consideration)は省略	概要
新型コロナウイルス (SARS-CoV-2) ワクチンの評価に関する考え方 (補遺5) 製法が十分に確立したワクチンの株変更の承認審査に必要な品質資料について (令和6年5月29日ワクチン等審査部) https://www.pmda.go.jp/files/000269131.pdf / English Version	本邦において製法が十分に確立したSARS-CoV-2 ワクチンの株変更の承認審査 (医薬品製造販売承認事項一部変更承認申請) に必要な品質資料
向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響を評価する臨床試験を計画する際の留意事項について (令和6年8月15日新薬審査第三部) https://www.pmda.go.jp/files/000270142.pdf / English Version	向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響を評価する臨床試験を計画する際の留意事項
抗悪性腫瘍剤の第I相試験計画時の統計学的留意事項-安全性の観点から (令和6年12月4日審査センター生物統計領域及び新薬審査第五部) https://www.pmda.go.jp/files/000272424.pdf / English Version	抗悪性腫瘍剤に関する30日調査において、統計学的な検討に基づく用量漸増デザインの動作特性を評価する上で、特に安全性の観点から重要と考える具体的な留意事項
トランスサイレチン型心アミロイドーシスに係る治療薬の臨床開発にあたっての留意事項 (令和6年12月26日新薬審査第二部) https://www.pmda.go.jp/files/000272944.pdf / English Version	トランスサイレチン型心アミロイドーシスに対する治療薬開発において、診療体系の変化、早期治療介入に伴う死亡率の低下等も考慮した開発戦略の検討が必要となっている状況を踏まえた臨床試験計画時の留意事項

<p>肺動脈性肺高血圧症治療薬の開発にあたっての留意事項(令和7年1月7日新薬審査第二部) https://www.pmda.go.jp/files/000272998.pdf / English Version</p>	<p>既存治療により十分な予後の改善が認められない患者、小児の患者等に対する医療ニーズが存在し、新規治療薬の開発が進んでいる状況を踏まえた、現時点での本邦における肺動脈性肺高血圧症に対する治療薬開発を目的とした臨床試験を計画する際の留意事項</p>
<p>治験届に添付するDNA反応性(変異原性)不純物の評価及び管理状況に関する資料の記載例について(令和7年1月16日審査センター品質領域化成品部門) https://www.pmda.go.jp/files/000273112.pdf / English Version</p>	<p>治験届に対する調査の効率化と円滑な治験の実施を目的とし、これまでのICH M7ガイドラインの運用実績に基づいた、治験届に添付する変異原性不純物の評価及び管理状況に関する資料の作成方法の例示</p>
<p>新有効成分含有医薬品(化成品)の承認申請に際し留意すべき、頻度の高い照会事例に基づくチェックリストについて(令和7年1月16日審査センター品質領域化成品部門) https://www.pmda.go.jp/files/000273113.pdf / English Version</p>	<p>新薬審査部品質領域の審査において頻度高く照会された事項を基に作成したチェックリストであり、申請者が申請資料内容を確認する際の参考とすべく、留意事項及びその理由・補足説明等を提示</p>
<p>掌蹠膿疱症の治療薬の有効性評価の考え方について(令和7年1月23日新薬審査第四部) https://www.pmda.go.jp/files/000273111.pdf / English Version</p>	<p>一般社団法人日本臨床試験学会の学術集会総会(2024年3月)における、掌蹠膿疱症の治療薬の有効性評価についての審査側の現在の見解の紹介と、関係者と意見交換した概要</p>
<p>内因性バイオマーカーを利用した薬物相互作用の臨床評価に関する考え方について(令和7年2月14日審査センター) https://www.pmda.go.jp/files/000273869.pdf</p>	<p>ICH-M12ガイドラインにおいて新たなアプローチとして提示されている、内因性バイオマーカーを用いた薬物相互作用の臨床評価についての現時点の考え方</p>
<p>小児の炎症性腸疾患に係る医薬品の開発における留意事項(令和7年3月24日新薬審査第一部) https://www.pmda.go.jp/files/000274640.pdf / English Version</p>	<p>小児の炎症性腸疾患に係る医薬品の開発を促進するための、小児の炎症性腸疾患に係る治療薬開発を目的とした臨床試験を計画する際の留意事項</p>
<p>外部対照試験に関する留意事項について(令和7年3月24日審査センター生物統計領域) https://www.pmda.go.jp/files/000274653.pdf / English Version</p>	<p>外部対照試験を用いて医薬品等の有効性及び安全性を評価し、製造販売承認申請等の資料とする場合の、外部対照として様々なデータソースを用いた外部対照試験に関する留意事項</p>
<p>薬剤耐性グラム陰性菌感染症治療薬の臨床開発における留意事項について(令和7年3月24日新薬審査第四部) https://www.pmda.go.jp/files/000274656.pdf / English Version</p>	<p>昨今の治験相談・承認審査事例等も踏まえた、薬剤耐性グラム陰性菌感染症治療薬の臨床開発を行う場合の留意事項</p>
<p>医薬品安全性相談(ICH S1B(R1)ガイドラインに係る相談)を活用したPMDAとの協議及び承認申請時の留意事項について(令和7年3月24日審査センター毒性領域) https://www.pmda.go.jp/files/000274670.pdf / English Version</p>	<p>ICH S1B(R1)ガイドラインに基づくラットがん原性試験の免除可否の妥当性等についてのPMDAとの協議及び承認申請時の留意事項</p>



<p>初回治験届時に留意すべき非臨床安全性関連事項について(令和7年3月25日審査センター毒性領域) https://www.pmda.go.jp/files/000274659.pdf / English Version</p>	<p>近年の初回治験届の確認時に頻出した照会内容を整理し、非臨床安全性に係る情報提供、妊娠の回避、授乳婦の組入れ規定等に関する基本的な考え方を提示</p>
<p>診断用放射性医薬品の開発における非臨床試験に関する留意事項(令和7年3月26日新薬審査第二部) https://www.pmda.go.jp/files/000274696.pdf / English Version</p>	<p>「診断用放射性医薬品の臨床評価方法に関するガイドライン」で示された内容の補完と、新たに発出されたICHガイドライン等も踏まえた、診断用放射性医薬品の開発に際して必要な非臨床試験についての現時点における規制上の考え方</p>

ガイダンス・ガイドライン等

2024年度にPMDAが発出又は発出に協力したガイダンス・ガイドライン等(Early Consideration、ICH関連を除く)は表7のとおりです。

[表7] ガイダンス・ガイドライン等(2024年度)

タイトル	概要
<p>再生医療等製品の試験検査に関する質疑応答集(Q&A)について、令和6年5月30日厚生労働省医薬局医療機器審査管理課・厚生労働省医薬局監視指導・麻薬対策課事務連絡 https://www.pmda.go.jp/files/000268632.pdf / English Version</p>	<p>再生医療等製品の試験検査に関する質疑応答集</p>
<p>「医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方について」の一部改正について、令和6年7月18日医薬審発0718第1号・医薬安発0718第1号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局医薬安全対策課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000269818.pdf / English Version</p>	<p>近年の創薬環境の変化、国際整合、これまでの我が国の市販後安全対策の実績等を踏まえ、医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方についての見直し</p>
<p>治験及び製造販売後臨床試験における情報通信機器等により電磁的記録として収集された情報を用いた有効性及び安全性の評価に関する留意点について、令和6年9月20日医薬審発 0920第1号・医薬機審発0920第1号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000270881.pdf</p>	<p>近年の情報通信技術の進展及び当該技術を活用した治験の分散化・効率化の観点を踏まえた、電磁的方法を用いた有効性及び安全性の評価に関する留意点</p>
<p>医療用医薬品の承認事項一部変更承認申請又は電子化された添付文書改訂においてレジストリデータを活用する際の留意点について、令和6年10月4日医薬審発1004第4号・医薬安発1004第1号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局医薬安全対策課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000271189.pdf / English Version</p>	<p>医療用医薬品における承認事項一部変更承認申請や電子化された添付文書の改訂手続において、レジストリデータを活用する際の留意点</p>

<p>医薬品及び再生医療等製品の適合性調査におけるリスクに応じて実施範囲を変更する場合の運用方法について、令和7年1月31日薬機審長発第1399号、独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査センター長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000273566.pdf</p>	<p>適合性調査をより効果的かつ効率的に実施するため、品目の特性、承認申請資料の内容等から考えられるリスクに応じて適合性調査の実施範囲を変更する場合の運用方法</p>
<p>「向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響の評価方法に関するガイドライン」の補遺について、令和7年1月31日医薬審発0131第1号・医薬安発0131第1号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局医薬安全対策課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000275374.pdf</p>	<p>運転技能影響評価ガイドラインが推奨する非臨床試験及び臨床試験より得られた情報に基づき、向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響の程度を判定するに当たっての基本的考え方を示した補遺</p>
<p>医療機器の製造販売承認申請等に必要な生物学的安全性評価の基本的考え方に関する質疑応答集(Q&A)について、令和7年3月11日厚生労働省医薬局医療機器審査管理課事務連絡 https://www.pmda.go.jp/files/000274368.pdf</p>	<p>医療機器の製造販売承認申請等に必要な生物学的安全性評価の基本的な考え方に関する質疑応答集</p>
<p>「医療機器の製造販売承認申請等に必要な生物学的安全性評価の基本的考え方についての改正について」の全部改正について、令和7年3月11日医薬機審発0311第1号、厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000274367.pdf</p>	<p>医療機器の生物学的安全性評価の基本的考え方について、医療機器の製造販売業者が、製造販売承認申請等の対応に特化した形で生物学的安全性試験の方法等を参照できるように見直し</p>
<p>「医薬部外品原料規格2021」の一部改正について、令和7年3月21日医薬発0321第1号、厚生労働省医薬局長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000275686.pdf</p>	<p>一般試験法48. 鉄試験法に、2,2'-ビピリジル比色法の追加を行い、その他、一般試験法及び規格各条について日本薬局方等の公定書との整合性を図ったもの</p>
<p>ディファインドアプローチによる皮膚感作性評価法を医薬部外品・化粧品安全性評価に活用するためのガイダンスについて、令和7年3月28日医薬審発0328第2号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000274766.pdf</p>	<p>医薬部外品・化粧品の安全性評価に皮膚感作性試験代替法の活用促進を図るため、その評価法を用いた際の評価フローや留意点等を取りまとめたガイダンス</p>
<p>「局所皮膚適用製剤の後発医薬品のための生物学的同等性試験ガイドラインに関する 質疑応答集(Q&A)について」等の一部改正について、令和7年3月31日厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡 https://www.pmda.go.jp/files/000275170.pdf</p>	<p>「局所皮膚適用製剤の後発医薬品のための生物学的同等性試験ガイドライン」及び「局所皮膚適用製剤の剤形追加のための生物学的同等性試験ガイドライン」に関する質疑応答集の改正</p>
<p>「局所皮膚適用製剤の後発医薬品のための生物学的同等性試験ガイドライン」等の一部改正について、令和7年3月31日医薬審発0331第7号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000275168.pdf</p>	<p>「局所皮膚適用製剤の後発医薬品のための生物学的同等性試験ガイドライン」及び「局所皮膚適用製剤の剤形追加のための生物学的同等性試験ガイドライン」をそれぞれ改正</p>

3.2.4 公的研究費に基づく研究

PMDAは、医療関連の公的研究にも貢献しています。PMDA職員は、公的研究班において、RSの専門家として研究の推進に寄与し、外部研究者と共に課題の解決に努めています。

2024年度にPMDA職員は、計14件の公的研究班に研究分担者として関与しており、その研究課題等は表8のとおりです。研究成果報告書等の研究の詳細については、下記の該当ページをご参照ください。

※厚生労働科学研究成果データベース：<https://mhlw-grants.niph.go.jp/>

※国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) 事業成果：<https://www.amed.go.jp/seika/>

[表8] PMDA役職員の参画した公的研究一覧(2024年度)

厚生労働科学研究

研究分野・区分	研究課題名
医薬品・医療機器等 レギュラトリーサイエンス 政策研究	アジア地域における国際共同治験の推進に向けた環境整備に関する研究
	医療機器の適正使用指針作成及び見直しの最適化に関する研究
	適切な医薬品安全性評価のための国際統合化を考慮した医療情報データベースの品質管理・標準化に関する研究
	我が国における今後の国際標準獲得推進(医療機器分野)を担う人材育成推進事業
がん対策推進総合研究	小児・AYA世代がん患者に対するがん・生殖医療における心理社会的支援体制の構築と安全な長期検体保管体制の構築を目指した研究—サバイバーシップ向上を志向して
厚生労働科学特別研究	医療機関における医療機器のサイバーセキュリティの確保等のために必要な取組の研究
	再生医療等安全性確保法におけるリスク分類の見直しに関する調査研究
政策科学総合研究 (政策科学推進研究)	分析ガイドラインの改定に向けた費用対効果評価における方法論およびツール等の開発に関する研究

AMED 事業

事業名	課題名
医薬品等規制調和・ 評価研究事業	医薬品安全性評価の迅速化・高精度化に資する非臨床試験毒性用語の標準化とデータベース構築
	医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤整備と国際調和の推進に資する研究
	in vivo 遺伝子治療における患者検体を用いたAAVベクター由来遺伝子治療用製品の品質・有効性・安全性評価系の開発
	向精神薬が自動車運転技能に与える影響の判定基準の開発
	先進的手法を用いた医薬品の製造・管理及び評価手法におけるライフサイクルマネジメントに関する研究
次世代治療・診断実現のための 創薬基盤技術開発事業	国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発/次世代抗体医薬品の実用化に向けた物性・品質評価及び管理手法に関する技術的研究/次世代抗体医薬品の実用化に向けた品質評価及び管理手法に関する技術的研究

3.2.5 文部科学省科学研究費の研究機関指定

PMDAは、医薬品・医療機器等の承認審査、安全対策及び健康被害救済業務の質の向上を図るため、PMDA自らにおいてもRS研究の実施を推奨し、その成果をこれら業務に活用できるよう取り組んできたところです。組織としての研究遂行能力の強化の一環として、2023年7月には、RSセンター内にRS研究の実施に関することを所掌とするRS研究部を新設しました。

2024年度、同部について、職員のエフォートの明確化、一定の内部研究費の確保等、研究環境の整備を進め、文部科学省の科学研究費助成事業における研究機関の指定に向け申請を行い、文部科学大臣により2024年12月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構(RS研究部)が当該研究機関として指定されました。これによりPMDAでは、厚生労働省科学研究費補助金等、AMED委託研究開発費及び文部科学省科学研究費を活用した研究の実施が可能となり、さらなる研究活動の促進に向け、研究環境、組織体制等の整備を進めています。



3.3 発信力の強化

PMDAは、PMDAで実施しているRS研究への理解促進とRS関連情報の発信や科学的議論の促進等を目的として、様々な手法に基づく情報発信を行っています。

3.3.1 PMDA RS研究会

RSセンターは、PMDAで取り組んでいるRS研究に関して、RS研究の成果を積極的に公表し、外部の方々とのディスカッション等を通じて理解を深める場として、PMDA RS研究会を定期的に開催しています。2024年度について、第8回は「RSの視点からドラッグ・デバイスのロス・ラグ問題を考える」、第9回は「再生医療等製品の迅速な新規導入に向けたRSの視点」をテーマに開催し、それぞれ887名、1370名の参加登録がありました。また、質疑応答やディスカッションを通じて、第8回ではドラッグ・デバイスラグ・ロスに対する産官学の意見やGlobal CRO等の具体的な解決案、第9回はカルタヘナ法の運用上の課題、生物由来原料基準の課題、再生医療等製品の条件及び期限付き承認等について、活発な議論が行われ、PMDAにおけるRS研究の内容やその意義について理解を深めていただくことができました。

★ RS研究会のポスターはこちら（画像をクリックすると演題が表示されます。） ★



第8回 PMDA RS研究会
RSの視点からドラッグ・デバイスのロス・ラグ問題を考える

11/19
13:00~16:25
WEB開催
参加費無料

MEET THE AUTHORS 2024

【開会の挨拶】 13:00
近藤 恵美子（レギュラトリーサイエンスセンター長）
【講演①：外部有識者による発表】 13:05～13:55
1. 「我が国の治療環境に係る諸課題（厚労特別研究班の結果から）」
佐藤 純洋（国立がん研究センター東病院 臨床研究支援部門）
2. 「ドラッグ・ラグ/ロスの実態把握と要因分析」
東 宏（医薬産業政策研究所）
【講演②：PMDA 研究発表】 14:00～14:50
1. 「HBD 活動の経験を踏まえた医療機器の日米共同開発のポイント」
岩元 真（医療機器審査第一部）
2. 「国際共同開発にアジア地域がさらに貢献するための戦略を考える～東南アジアとの連携の可能性について～」
青井 陽子（新薬審査第五部 ATC 事業室）
3. 「抗がん剤による有害事象の民族差についての解析」
佐藤 潤（国立がん研究センター中央病院 先端医療科）
4. 「欧米と東アジア地域における国際共同治験の実施状況に基づく我が国の医薬品開発ラグの現状と課題」
野口 敦（新薬審査第五部）
【パネルディスカッション（総合討論）】 15:00～16:20
座長：宇山 佳明（執行役員（研究部門担当））
パネリスト：講演発表および PMDA 研究発表の演者
【Closing、次回開催案内】 16:20
高橋 史雄（研究管理部長）

参加登録はこちらから
参加には事前登録が必要です。
お名前、メールアドレスをお間違えなくご登録をお願いいたします。
受付締切：11月14日（木）23:59まで（定員に達し次第、参加登録を締め切ります）
URL: <https://docs.google.com/forms/d/e/1FAIpQLSc5FngM5jV4mitEG6hWkN3o8M4QVABKmpU0z2zeW/viewform>
お問い合わせ（研究会事務局）：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 研究管理課 rs-research@pmda.go.jp

第9回 PMDA RS研究会
再生医療等製品の迅速な新規導入に向けたRSの視点

1/21
13:00~17:00
オンライン業務説明会
WEB開催
参加費無料

【開会の挨拶】 13:00
近藤 恵美子（レギュラトリーサイエンスセンター長）
【講演①：機構演題発表】 13:05～13:35
再生医療等製品の審査の現状
1. 「遺伝子組換え生物規制の米欧の比較」
野井 博（スベハリスト（バイオ品質担当））
2. 「組織型再生医療等製品における審査の考え方」
野田 佳一（国際部 企画管理課）
3. 「日本における再生医療の開発動向」
丸山 良亮（再生医療製品等審査部）
【講演②：外部有識者講演】 13:35～14:25
1. 「生物由来原料基準の国際化に向けたレギュラトリーサイエンスの視点」
佐藤 隆治（国立医薬品食品衛生研究所 薬品部）
2. 「臨床現場から考えるカルタヘナ法第一種使用規程への対応」
小野寺 雅史（国立成育医療研究センター 遺伝子治療推進センター）
3. 「再生医療等製品の条件及び期限付承認について（総論）」
上村 俊雄（一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム）
4. 「条件及び期限付承認制度の効果の推定及び本承認への試験デザインについて（ハードシート等も踏まえて）」
上村 潤平（東京大学大学院情報学環・生物統計情報学講座）
5. 「再生医療等製品の条件及び期限付承認制度と本承認：開発者としての考察」
岡野 栄之（日本再生医療学会、慶應義塾大学 再生医療リサーチセンター）
【パネルディスカッション（総合討論）】 14:40～16:15
座長：宇山 佳明（執行役員（研究部門担当））
パネリスト：機構演題発表および外部有識者講演の演者
浅野 淳一（スベハリスト（生物統計担当））
【閉会の挨拶】 16:55～17:00
高橋 史雄（研究管理部長）
【オンライン業務説明会】 17:00～17:30

参加登録はこちらから
参加には事前登録が必要です。
お名前、メールアドレスをお間違えなくご登録をお願いいたします。
受付締切：1月16日（木）まで
URL: <https://docs.google.com/forms/d/e/1FAIpQLSc5G29h4putsp53o10Rg0Hh38RRC3PuGJ3u1J3sK1R1h1w1w/viewform>
お問い合わせ（研究会事務局）：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 研究管理課 rs-research@pmda.go.jp

3.3.2 SNS 発信

PMDAは、医薬品・医療機器等の承認審査・安全対策・健康被害救済等の業務に関する情報、各種イベントや公表資料、Early Consideration等についての情報を、Facebook、X、YouTubeでも発信しています。

本項目では、2024年度にYouTubeにて公開した動画のうち、PMDA職員の執筆した研究論文の紹介動画、各種説明会における審査のポイント・考え方等に関する動画を、表9に抜粋して記載しております。

PMDAから発信している情報については、下記のPMDA公式チャンネルにアクセスしてください。


[PMDA公式SNS](#)

[Facebook](#)

[X](#)

[YouTube](#)

[表9] RS関連のYouTube動画一覧(画像をクリックすると動画が視聴できます)

研究紹介動画 研究論文に関する紹介動画です。PMDA職員の実施した研究内容について、紹介しています。

	<p>モデリング&シミュレーション(M&S)とは? 医薬品開発に活用されている、薬物動態・疾患・効果等、様々な事象を予測する技術。薬物動態の事例を中心に、M&Sの仕組みについて紹介します。</p>
	<p>MID-NET®リアルワールドデータを利用した医薬品安全対策 ~腎機能と薬剤性の低カルシウム血症の検討例~ PMDA MIHARIプロジェクトから、骨粗鬆症治療薬であるビスホスホネート製剤の腎機能障害患者における低カルシウム血症のリスク評価事例を紹介します。</p>
	<p>薬の安全性情報は世界共通? ~日米の安全性情報の違いの要因~ 日米の安全性情報(添付文書)の違い・要因について紹介します。</p>

RS関連動画

	<p>Center for Regulatory Science RSセンターの活動(先端技術評価、ビッグクリニカルデータ解析など)を紹介します。</p>
	<p>Regulatory Approach to Software as a Medical Device in Japan 医療目的で使用されるソフトウェア(SaMD)について紹介します。</p>



	<p>Cartagena Act 遺伝子治療製品開発のために留意すべき生物多様性規制(カルタヘナ法)について紹介 します。</p>
	<p>Pharmacovigilance Activities 市販後の医薬品の安全性確保のためのリスク管理計画(RMP)の活動の一つ、ファーマコ ビジランス(PV)について紹介します。 リスクコミュニケーションについては こちら</p>
	<p>MID-NET[®] 解説動画 医療情報データベース(MID-NET[®])を用いた製造販売後データベース調査について紹介 します。(日本語版は こちら) MID-NET[®]に関するその他の解説動画は こちら</p>



3.3.3 2024年度の主な論文紹介

PMDAでは、RS研究等の成果を査読付き学術雑誌に積極的に公表しています。

※これまでにPMDAから公表された学術論文については、年ごとに情報をリスト化して公表しておりますので、下記の該当ページをご参照ください。

英語論文：<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/research/0015.html>

日本語論文：<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/research/0006.html>

2024年度に公表された英語学術論文の中から主要な論文について、その概要や意義を筆頭著者又は責任著者が解説しています(著者の個人的見解が含まれており、必ずしもPMDAの公式見解を示すものではないことにご留意ください、なお本解説は学術論文を新たに解説したものであり、解説の中で学術論文の一部を引用・改変しております)。

本邦におけるロボットPCIの市販前・市販後の審査を通じた考察

● 該当論文 PubMedは [こちら](#)

Shiba T, Aizawa K, Ho M, Ishii K. Regulatory Review of Robotic-Assisted Percutaneous Coronary Intervention in Japan. *Circ J*. 2024; 88(11): 1737-1744. doi: 10.1253/circj.CJ-24-0474.

医療機器審査第一部 芝 武志

● 背景

2018年にCorPath GRX systemが承認され、本邦で初めてのロボット支援下での経皮的冠動脈インターベンション(PCI)が可能となった。承認申請時は海外臨床試験成績が提出され、本邦における臨床成績はなかったことから、使用成績調査により安全性及び有効性の確認が必要と判断された。使用成績調査の結果、本邦における臨床成績は良好であったが、手技状況は海外と異なる特徴も確認された。

そこで、本邦におけるロボットPCIの市販前・市販後の審査を取りまとめて広く発信することにより、PMDAの審査の考え方を理解いただくとともに、今後の開発促進につながることを期待して研究を行った。

● 概要等

使用成績調査において、院内主要心血管イベントの発生はなく、また手技成功も良好な成績であった。また、複雑病変を有する患者に対しても比較的多くの手技が実施されたが、成績は良好であり、手技のラーニングカーブの影響も認められなかった。本邦へのロボットPCIの導入にあたり、関連学会の協力により医師や施設の基準を定めた適正使用指針が策定され、トレーニングの実施を含む安全対策が十分に行われたことが、この良好な成績につながったと考えられた。

なお、PCI手技においては、血管内イメージングの実施率が90%を超えており、計画的な用手的な手技への移行が行われていた。本邦では血管内イメージングの使用率が海外に比べて高いことがこれまでも報告されており、これはロボットPCI手技においても同様であった。手技をより簡便にし、手技時間を短縮するためにも、将来的には血管内イメージングカテーテルとの適合を含む製品開発が望まれると考えられた。

使用成績調査を含むリアルワールドデータの収集は、実臨床における製品の有効性及び安全性の把握とともに、製品改良に向けた課題抽出に有用であると考えられた。

Table 7. Summary of Research Reports on the CorPath 200 and CorPath GRX Systems								
	CorPath 200 system (first-generation)				CorPath GRX system (second-generation)			
	Weisz et al. (2013) ⁴	Mahmud et al. (2017) ⁶	Smitson et al. (2018) ⁷	Dou et al. (2019) ⁸	Lemos et al. (2022) ⁹	Brunner et al. (2022) ¹⁰	Häner et al. (2023) ¹¹	Japan use-results survey ³
Country	US	US	US	China	Brazil	Germany	Switzerland	Japan
No. sites	9	1	1	1	1	1	1	8
No. patients	164	108	40	10	83	71	21	239
No. lesions		157	54	11	112	86	25	292
Lesion classification (%)								
B2/C	31.7	78.3	77.8	63.6	77.7	88.4	72	65.9
Procedural characteristics								
Intravascular imaging	—	—	—	—	IVUS: 21.7%	IVUS: 12.8%	—	IVUS and OCT: 93.7%
Contrast use (mL)	144.2±70.4	183.4±78.7	171.6±64.6	127.0±40.3	206.4±111.4	145	194±64	97.6±52.2
Fluoroscopy time (min)	11.1±6.2	18.2±10.4	17.4±5.8	18.2±8.0	—	20.4	11.5	23.3±15.5
Radiation exposure	Cumulative dose: 1.5±0.8Gy	DAP: 12,518±15,970 cGy · cm ²	DAP: 7,054±5,572 cGy · cm ²	Air kerma: 1,681±870 mGy	—	DAP: 2,298 cGy · cm ²	DAP: 5,118 cGy · cm ²	DAP: 111.4±271.9 Gy · cm ²
Clinical outcomes								
Technical success (%)	98.8	91.7	90.0	100	85.7	94.2	81	89.1
Clinical success (%)	97.6	99.1	97.5	100	—	—	100	97.5

(Circ J. 2024; 88 (11): 1737-1744. doi: 10.1253/circj.CJ-24-0474. Table 7 より引用。

Creative Commons License : [CC BY-NC-ND 4.0](https://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/)

● RS へのインパクト、期待されること

本論文では、本邦におけるロボットPCIの市販前・市販後の審査を取りまとめ、審査の考え方とともにプロダクトライフサイクルを踏まえた開発課題等についても考察して発信を行った。カテーテルロボットはPCIのみならず、脳血管や頸動脈におけるインターベンションなど他の血管領域での臨床応用も報告されている。今後の本邦における新規製品の開発や海外製品導入の検討にあたり、本論文がその一助となることが期待される。

医薬品の生物薬剤学的特性と薬物動態に対する 食事の影響の関連性に関する調査

● 該当論文 PubMedは [こちら](#)

Honma N, Yamagishi K, Ideno Y, Takaoka R, Ishiguro A. Regulatory Perspective Based on Survey of Relationship Between Biopharmaceutical Characteristics and Food Effects on Systemic Pharmacokinetics. *Clin Pharmacol Ther.* 2025 Jul;118(1):29-32. doi: 10.1002/cpt.3622.

医薬品安全対策第二部・新薬審査第五部 本間 尚子

● 背景

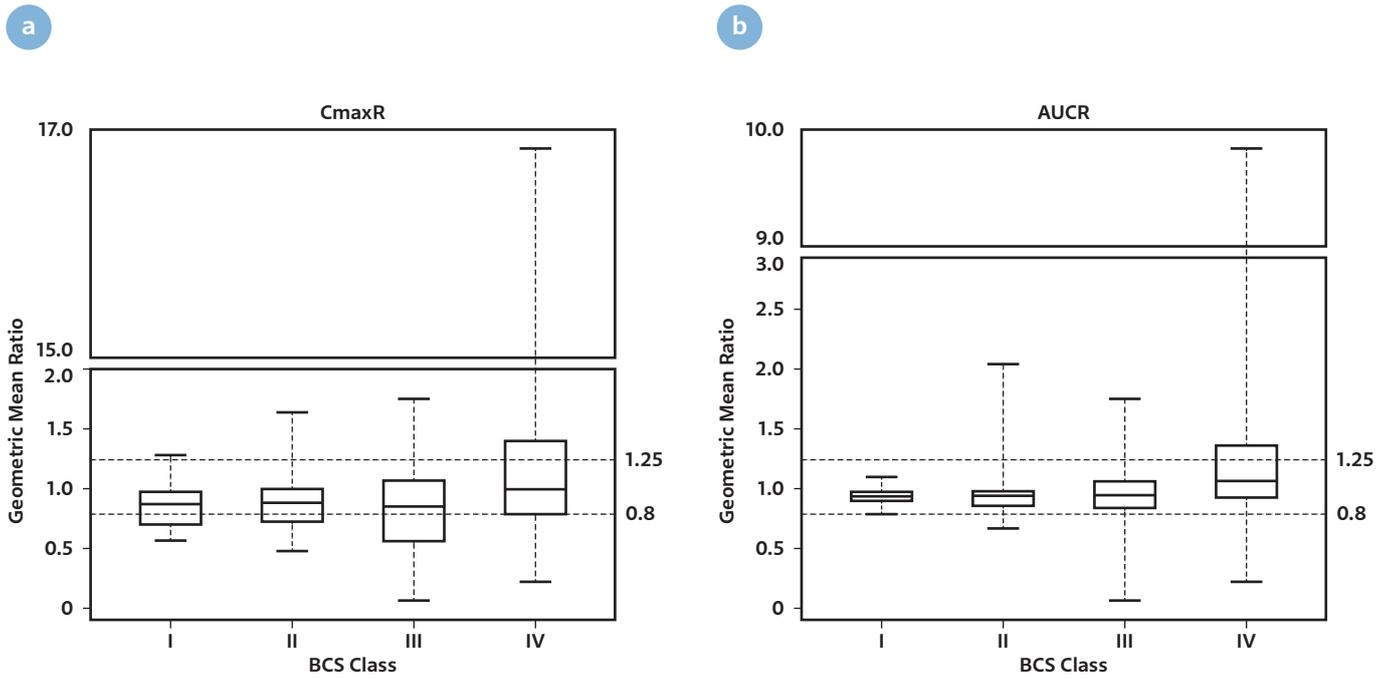
本邦では「医薬品の臨床薬物動態試験について」(平成13年6月1日付け医薬審発第796号)において、最終製剤を用いた臨床試験で食事の影響を検討する必要がある旨が記載されている。一方で、米国FDAのガイドライン(Assessing the effects of food on drugs in INDs and NDAs-clinical pharmacology, 2002)では、Biopharmaceutics Classification System(BCS)[※]のクラスIに該当する即放性製剤ではその80%以上が食事による影響を受けないとされ、食事の影響試験を免除する可能性が言及されている。本邦においても、医薬品の生物薬剤学的特性を踏まえて食事の影響に関する臨床評価の必要性を明確化するための一助として、薬物動態に対する食事の影響と、BCS分類に基づく生物薬剤学的特性との関係性について調査を行った。

※原薬の溶解性及び膜透過性に基づく薬物の分類方法である。クラスIは溶解性及び膜透過性が高い。クラスIIは溶解性が低く膜透過性が高い。クラスIIIは溶解性が高く膜透過性が低い。クラスIVは溶解性及び膜透過性が低い。

● 概要等

2004年以降に本邦で承認された新医薬品を対象として、BCS分類(クラスI - IV)別に、絶食投与時に対する食後投与時における薬物動態パラメータの幾何平均値の比を検討した結果、下図に示すように、BCSクラスIに分類される薬剤では、それ以外の分類の薬剤と比較して、最高血中濃度の比(C_{max}R)及び血中濃度-時間曲線下面積の比(AUCR)のばらつき及び範囲が小さかった。また、BCSクラスIに分類された15の医薬品すべてでAUCRは0.8-1.25の範囲内であり、比較的食事の影響を受けにくいことが示唆された。





(Clin Pharmacol Ther. 2025 Jul;118 (1):29-32. doi: 10.1002/cpt.3622. Figure 1より、出版社の許諾を得て引用)

● RS へのインパクト、期待されること

本報告を踏まえ、BCSクラスIの特徴を有する製剤開発において、「医薬品の臨床薬物動態試験について」に規定された最終製剤を用いた臨床試験の実施以外の異なるアプローチにより、食事の影響評価を実施できる可能性があることが示された。本結果は、具体的なアプローチに関する科学的議論を促進し、食事の影響評価の効率化に貢献するものと考えている。



VEGF/VEGFR阻害作用を有する薬剤の 動脈解離に関するリスク評価：NDBを活用した薬剤疫学調査

● 該当論文 PubMedは [こちら](#)

Okui J, Waki T, Kajiyama K, Sawada S, Watanabe S, Namba Y, Kobayashi A, Kawarasaki S, Amakasu K, Iguchi T, Horiuchi N, Uyama Y. Risk of artery dissection during systemic exposure to vascular endothelial growth factor pathway inhibitors. *Clin Transl Sci*. 2024 Dec;17(12):e70096. doi: 10.1111/cts.70096.

医薬品安全対策第一部、医薬品安全対策第二部 和氣 宗

● 背景

血管内皮増殖因子(VEGF)は血管内皮細胞上のVEGF受容体(VEGFR)と結合することで、正常な血管の増殖、移動、退行、透過性の亢進を引き起こすことが知られている。VEGF経路を薬理的に阻害することによる血管新生の抑制は、腫瘍の成長や転移の進行を抑える上で重要な治療戦略であるが、Vascular Endothelial Growth Factor Pathway Inhibitors(VPI; VEGF/VEGFR阻害剤)の使用は、大動脈解離など動脈壁の構造異常と関連するという症例報告が蓄積されている。日本では、ベバシズマブ(遺伝子組換え)に関して動脈解離に関する国内副作用報告が集積したことを受け、2020年6月、「使用上の注意」の「重大な副作用」の項に動脈解離が追記された。一方で、他のVPIsにおいては、医薬品と動脈解離との関連を裏付ける具体的なデータが十分ではなかった。また、動脈解離の発現リスクがVPIのクラスエフェクトであるのかは不明確であったことから、大規模な医療情報データベースを用い、本調査を実施することとした。

● 概要等

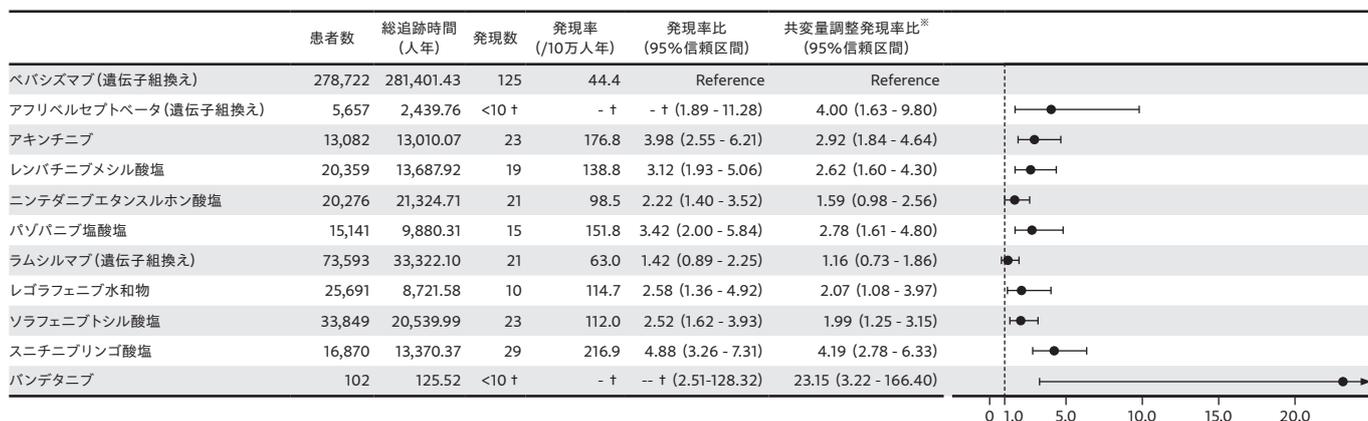
本調査では、「匿名医療保険等関連情報データベース(NDB)」の2012年～2020年のデータを用い、VPIが処方された約50万3千人の患者を対象にコホートデザインの薬剤疫学調査を実施した。アウトカムは動脈解離の発現とし、調査対象とした12種類のVPI[※]のそれぞれの発現率(IR; Incidence Rate)を推定した。また、VPIのうち、電子化された添付文書に「動脈解離」が記載されているベバシズマブ(遺伝子組換え)を対照に、各VPIの動脈解離の発現率比(IRR; Incident Rate Ratio)を推定した。また、参考として、NDBの全集団における動脈解離の自然発現率は、ベバシズマブ(遺伝子組換え)が処方された患者を基準集団として性別及び年齢を直接法により標準化し、推定した。

※アキシチニブ、アフリベルセプトベータ(遺伝子組換え)、カボザンチニブリンゴ酸塩、スニチニブリンゴ酸塩、ソラフェニブトシル酸塩、ニンテダニブエタンスルホン酸塩、バゾパニブ塩酸塩、バンダテニブ、ベバシズマブ(遺伝子組換え)、ラムシルマブ(遺伝子組換え)、レゴラフェニブ水和物、レンバチニブメシル酸塩

その結果、ベバシズマブ(遺伝子組換え)の発現率は10万人年あたり44.4件であり、カボザンチニブリンゴ酸塩を除く他のVPIにおける調整IRRの点推定値は一貫して1.0以上を示した。なお、各VPIのIRは、動脈解離の自然発現率(標準化後2.18 [95%信頼区間(95%CI): 1.86 - 2.50]/10万人年)を大きく上回っていた。また、サブグループ解析や新規処方患者に限定した解析においても、結果は一貫していた。カボザンチニブリンゴ酸塩の処方患者人数は0人であり、評価はできなかった。

本調査の結果及びVPIの薬理学的機序等を踏まえ、PMDAは動脈解離がVPIに共通のリスクであると判断し、厚生労働省は2024年2月、すべてのVPIを対象として「重大な副作用」の項に「動脈解離」を追記する「使用上の注意」の改訂を指示した。

[図] VEGF/VEGFR阻害剤が処方された患者の総追跡期間、並びに追跡期間中の動脈解離の発現数、発現率及びペバシズマブ(遺伝子組換え)に対する発現率比及び調整発現率比



† NDBの公表基準に基づき、10未満の集計値が特定できないようマスクしている。

※性別及び年齢(65歳未満/65歳以上)に加えて、高血圧、動脈解離、心血管系イベント、糖尿病、脂質異常症の既往歴を共変量として調整した発現率比を推定している。

(Clin Transl Sci. 2024;17:e70096. doi:10.1111/cts.70096 Figure 2を翻訳。
Creative Commons License : [CC BY-NC 4.0](https://creativecommons.org/licenses/by-nc/4.0/))

● RSへのインパクト、期待されること

NDB等の医療情報データベースを用いて実臨床の状況を反映した薬剤疫学調査が可能となっており、個別症例報告で医薬品と有害事象の関連性の評価が困難である場合においても、クラス横断的に医薬品の安全性評価を行うことが可能である。個別症例報告等の情報に加え、薬剤疫学調査の結果も用いて医薬品の安全性を評価することは、医薬品安全対策の質の向上に役立ち、市販後の医薬品の適正使用の推進に貢献するものと考えている。



4. 医療情報の更なる活用への貢献

～ リアルワールドデータを活用した安全性評価 ～

医療情報データベースを用いた調査の安全対策への活用事例

PMDAでは、PMDAが管理・運用する医療情報データベース(MID-NET[®]、詳細は29ページをご参照ください)や、厚生労働省が保有する匿名医療保険等関連情報データベース(NDB)を用いて、診療情報などのリアルワールドデータを活用した薬剤疫学的な手法に基づく医薬品の安全性評価事業(MIHARI Project)を行っています。

MIHARI projectでは、PMDAにおける医薬品安全対策業務の強化・充実策の一環として、2014年度より個別の医薬品の安全性評価に医療情報データベースの活用を開始しました。2024年度に公表した調査結果は表10のとおりです。このうちNo.2及びNo.4は使用上の注意の改訂といった具体的な安全対策措置につながりました。

MIHARI projectの概要と、医療情報データベースを用いてPMDAが実施している調査については、以下をご参照ください。

※ MIHARI project : <https://www.pmda.go.jp/safety/surveillance-analysis/0044.html>

※ PMDAが実施している調査 : <https://www.pmda.go.jp/safety/surveillance-analysis/0045.html>

[表10] 医療情報データベースを用いた薬剤疫学調査の一覧(2024年度結果公表分)

No.	調査の名称と概要
1	MID-NET [®] を用いたアンジオテンシン変換酵素阻害薬(ACE阻害薬)による肝障害関連指標への影響評価(2024年8月27日)
	ACE阻害薬における肝機能障害関連事象の注意喚起状況は医薬品により異なることから、ACE阻害薬処方後の肝機能障害に関連する検査値異常の発現頻度を比較し、医薬品ごとの肝機能検査値異常の発現リスクの異同について評価した。 結果概要 : https://www.pmda.go.jp/files/000270044.pdf
2	MID-NET [®] を用いたミロガバリンベシル酸塩による腎機能検査値異常のリスク評価(2024年8月27日)
	早期安全性シグナルモニタリング [※] のうち、シグナル強化に該当する調査として、ミロガバリン処方後の腎機能検査値異常の発現頻度を①ブレガバリン処方後、②ワクシニアウイルス接種家兎炎症皮膚抽出液の経口剤処方後の腎機能検査値異常の発現頻度と比較した。 結果概要 : ① https://www.pmda.go.jp/files/000270049.pdf ② https://www.pmda.go.jp/files/000270053.pdf 使用上の注意の改訂 : https://www.pmda.go.jp/files/000270270.pdf
3	MID-NET [®] を用いた非心原性脳梗塞再発抑制にかかる診療下におけるジェネリック医薬品のベネフィットリスクバランスの評価に関する疫学調査(2024年10月4日)
	客観的に評価可能な医療情報データベースを活用した安全性の調査はジェネリック医薬品の普及拡大に資すると考え、①アスピリン、クロピドグレル硫酸塩及びシロスタゾールのジェネリック医薬品及び先発医薬品の処方実態を確認し、②当該医薬品の脳梗塞再発及び出血性イベントの発現状況等を比較した。 結果概要 : https://www.pmda.go.jp/files/000271087.pdf

	NDBを用いた非ステロイド性抗炎症薬 (NSAIDs) による心血管系イベント発現のリスク評価 (2024年10月8日)
4	NSAIDsにおける心血管系イベントの注意喚起状況は医薬品により異なることから、慢性疾患患者を対象に、NSAIDsの使用時期及び処方継続期間の日数と心血管系イベント発現との関連を検討した。 結果概要： https://www.pmda.go.jp/files/000270714.pdf 使用上の注意の改訂： https://www.pmda.go.jp/files/000271182.pdf
	MID-NET [®] に基づく新型コロナウイルスによる感染症 (COVID-19) ワクチンに関する安全性プロファイル等の評価 (2024年10月24日)
5	本邦の実臨床下におけるCOVID-19ワクチンの安全性に関する情報提供を目的に、① COVID-19ワクチン接種前後の各種検査値の経時的推移等を確認し、② COVID-19ワクチン接種後の有害事象の発現状況について、Self-Controlled Case Series デザインを用いて探索的に評価した。 結果概要： https://www.pmda.go.jp/files/000269817.pdf
	MID-NET [®] を用いたポリコナゾールによるその他検査値異常のリスク評価 (2024年11月13日)
6	早期安全性シグナルモニタリング [※] のうち、シグナル強化に該当する調査として、ポリコナゾール処方後のカリウム上昇の発現頻度をフルコナゾール又はホスフルコナゾール処方後のカリウム上昇の発現頻度と比較した。 結果概要： https://www.pmda.go.jp/files/000271818.pdf
	NDBを用いたロモズマブ (遺伝子組換え) による心血管系事象発現のリスク評価 (2025年1月31日)
7	日本人を対象とした疫学調査はなかったこと等から、ロモズマブ処方後の心血管系事象の発現頻度を、テリバラチド (遺伝子組換え) 又は骨粗鬆症に適応を有するテリバラチド酢酸塩と比較することで評価した。 結果概要： https://www.pmda.go.jp/files/000273468.pdf
	MID-NET [®] を用いたグルカゴン様ペプチド-1 (GLP-1) 受容体作動薬が処方された2型糖尿病患者における肝機能障害の発現状況の評価 (2025年3月5日)
8	GLP-1受容体作動薬及びそのインスリン製剤との配合剤における肝機能障害関連の注意喚起状況は医薬品により異なることから、GLP-1受容体作動薬が処方された2型糖尿病患者において、肝機能障害の発現状況を比較した。 結果概要： https://www.pmda.go.jp/files/000274104.pdf

※早期安全性シグナルモニタリングは、医薬品の安全性に関する情報を早期の段階から集積することを目的とした調査です。詳細は以下をご参照ください。

<https://www.pmda.go.jp/safety/surveillance-analysis/0049.html>

MID-NET[®]とは

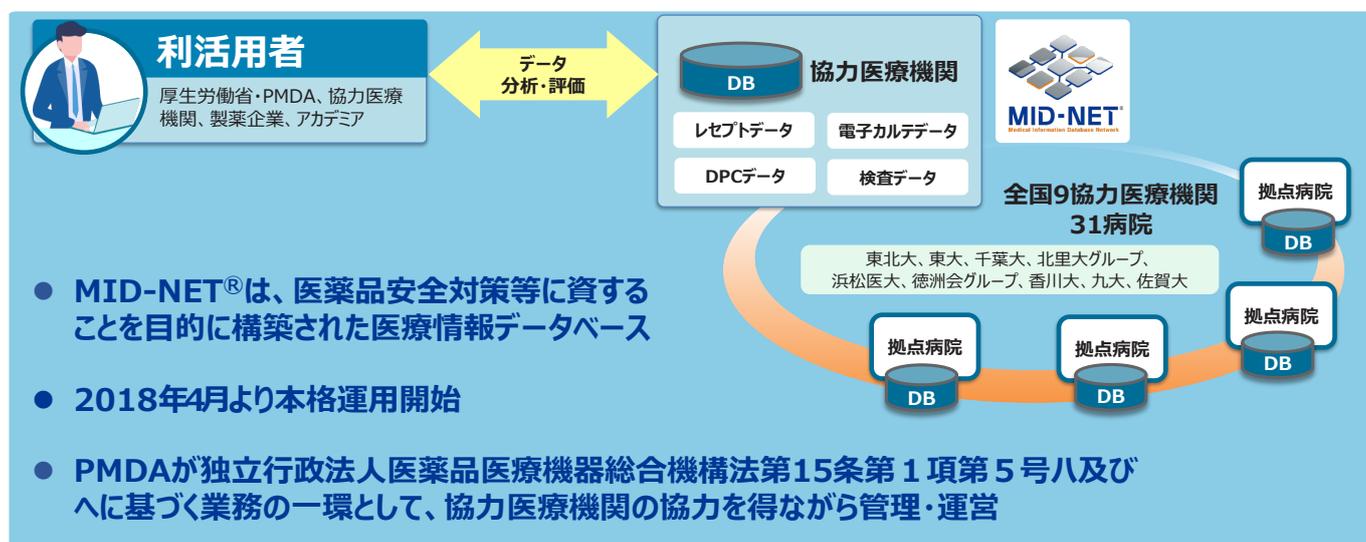
PMDA 医療情報科学部では、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第15条第1項第5号ハ及びヘ^{※11}に基づく業務の一環としてMID-NET[®]の管理・運営を行っており、2018年4月から本格運用を開始しています。

MID-NET[®]は、国内9拠点(7大学病院及び2医療機関グループ、計31医療機関)の協力医療機関で構成される分散型のデータベースシステム及び関連ネットワークの総称です(図6)。データベースには、2019年以降の電子カルテ、レセプト及びDPC(診療群分類包括評価: Diagnosis Procedure Combination)(以下あわせて「HIS」(病院情報システム: Hospital Information System)という。)のデータが蓄積されており、そのデータ規模は、2024年12月末時点で830万人超であり、年40万人程度ずつ増加する見込みとなっています。HISからデータベースへのデータ移行過程においては、データ形式の標準化(SS-MIX2の規約に基づく電子カルテデータのデータ形式の標準化)を行うとともに、個人情報保護の観点から実施している処理に加え、主要なデータ項目の標準化が行われています。

PMDA 医療情報科学部では、データベースの信頼性を担保したうえで、利活用に資するデータを提供できるよう協力医療機関と協力しながら臨床実態を損なわない標準コードを付与する作業、データの正確な移行を確認するための作業等を継続的に実施しています。

※MID-NET[®]のパンフレット、動画: <https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0001.html>

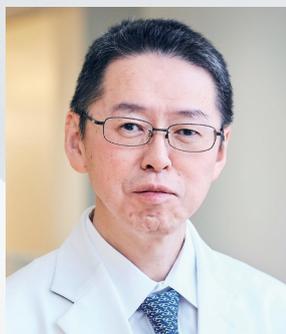
[図6] MID-NET[®]の概要



※11 独立行政法人医薬品医療機器総合機構法(平成14年12月20日法律第192号)

<https://laws.e-gov.go.jp/law/414AC0000000192>

5. 外部有識者メッセージ



国立がん研究センター中央病院・副院長・先端医療科長

山本 昇

医療従事者からみて、近年のPMDAの変革には驚きと期待を感じています。従来のPMDAは頑なでユーザーフレンドリーではない印象が強く、医療現場から遠い存在と見られていました。しかし近年、PMDAはその姿勢を大きく転換し、柔軟性と対話性を重視する姿勢へと進化しています。事実、以前は「前例と同じことを要求する頑なな姿勢」と指摘されていたものが、現在では「代替案の提示や前例にとらわれない柔軟な議論」が行われるケースも見られ、明らかにアプローチが変わっています。

それでもなお、PMDAの実際の活動は医療現場ではごく一部しか知られていないのが実情です。このギャップを埋めるため、PMDAの活動内容を可視化する「レギュラトリーサイエンス活動報告書」の試みは非常に意義深いものです。本活動報告書には、大学や研究機関との連携、科学的知見の積極的な発信、SNS(X/旧TwitterやFacebook)やYouTubeを通じた情報発信、さらに英文論文の公表や実践的な研究成果の紹介など、柔軟かつ対話的な姿勢を裏付ける取り組みが数多く紹介されています。これらの活動からは、PMDAが殻を破り、医療者や市民と双方向にコミュニケーションを取ろうとしていることが伝わってきます。

医療従事者として、こうしたPMDAの変革と努力には深く共感するとともに、大きな期待を寄せています。規制当局と医療現場が歩み寄り、科学的知見を共有することで、医薬品・医療機器の開発と安全使用が一層促進されるでしょう。柔軟で対話を重んじるPMDAの姿勢が今後も継続し、それが医療の発展と患者さんの利益につながるよう、応援したいと思います。

編集後記

第2回となるRS活動報告書を公表することができました。PMDAでのRSに関する取り組みについて、読者の皆様の理解向上に役立つ内容となっていれば幸いです。今後、内容等については、さらに充実させていく予定ですのでご期待ください。

ご感想等については、

MAIL [rs-research-toiawase △ pmda.go.jp](mailto:rs-research-toiawase△pmda.go.jp)

までお寄せください。

(迷惑メール防止のため「△」としておりますが、「△」のところは「@」に変換してください)

おことわり

本書の掲載内容(文章、画像など)について、事前の許諾なく二次利用を固く禁じます。

写真・イラスト提供

ピクスタ株式会社

デザイン提供

株式会社クエストデザイン

本報告書に関するお問い合わせ先

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

PMDA

研究管理部

〒100-0013 東京都千代田区霞が関3-3-2 新霞が関ビル

MAIL [rs-research-toiawase △ pmda.go.jp](mailto:rs-research-toiawase△pmda.go.jp)

(迷惑メール防止のため「△」としておりますが、「△」のところは「@」に変換してください)



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

REGULATORY SCIENCE ACTIVITY REPORT **2024**