REGULATORY SCIENCE ACTIVITY REPORT **2025**

レギュラトリーサイエンス活動報告書

［ 2025年度 ］

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センターについて …… 3

2.2 PMDA 第5期中期計画、令和7年度計画 …… 4

3. 2025年度 RS 関連活動実績 …… 6

3.1 人材力の強化 …… 6

3.1.1 包括的連携協定及び連携大学院協定における活動：RS 人材育成に向けて …… 6

3.2 科学的エビデンスの充実・強化 …… 9

3.2.1 科学委員会及び先端科学技術への対応 …… 9

3.2.2 RS に係る横断プロジェクト …… 10

3.2.3 申請電子データを活用した解析 …… 13

3.2.4 Early Consideration・ガイダンス・ガイドライン …… 14

3.2.5 公的研究費に基づく研究 …… 18

3.3 発信力の強化 …… 20

3.3.1 PMDA RS 研究会 …… 20

3.3.2 SNS 発信 …… 21

3.3.3 PMDA 機関リポジトリ …… 22

3.3.4 2025年度の主な論文紹介 …… 23

4. 最新のトピック …… 27

4.1 New Approach Methodologies：NAMs …… 27

4.2 PMDA 業務における AI 活用 …… 29

4.2.1 PMDA 業務に対する AI 活用行動計画の策定 …… 29

4.2.2 AI 対応 WG の設置 …… 29

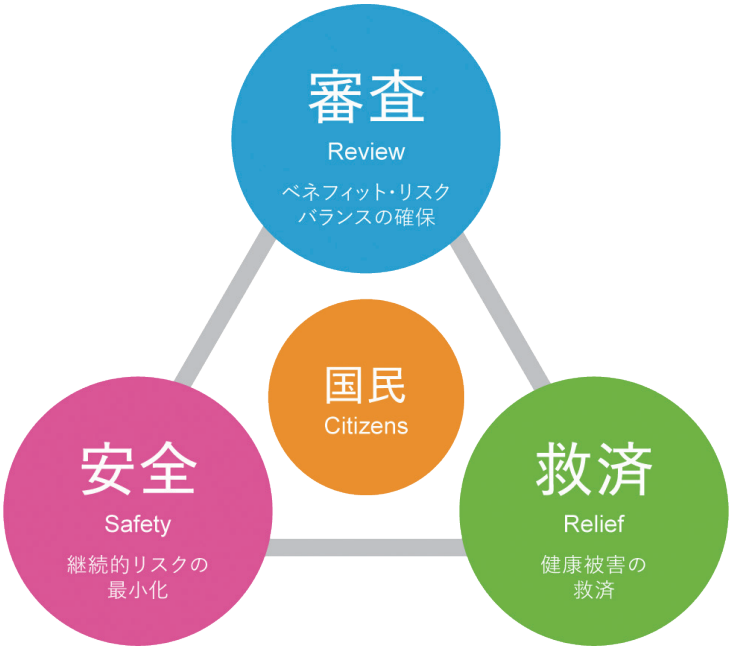
4.2.3 AI 活用に関する研究 …… 30

5. 外部有識者メッセージ …… 31

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、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つの業務を通じて、国民の健康及び安全の向上に貢献することを目的とした、厚生労働省所管の独立行政法人です。(詳細は、PMDAのウェブサイトhttps://www.pmda.go.jp/ をご参照ください)

[図1] PMDAの3つの役割 - セイフティ・トライアングル



PMDAは、最新の科学的知見を取り入れ、より明確な根拠に基づき、的確な予測、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(RSセンター)では、これらの質の向上に資する、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。

本活動報告書では、PMDAで実施しているRS関連活動について、活動内容及び各年度の実績等を紹介しています。2025年度は、主に下記活動について紹介いたします。

- アカデミアとの連携活動
- 各分野の専門家と科学的な検討を行う科学委員会
- 分野横断的な課題を検討する横断プロジェクト、シンポジウム・意見交換会等の開催
- 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の観点から、論文で公表された重要なテーマについて外部有識者と議論を行うRS研究会
- PMDAが関与した研究活動及び研究**成果等**の公表
- 最近の話題であるNAMs(New Approach Methodologies)やAI(Artificial Intelligence)活用に関する、PMDAの分野横断的な検討

本活動報告書の公表により、PMDAのRS関連活動が広く周知され、アカデミア、医療現場、患者さん、産業界の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。

2. はじめに

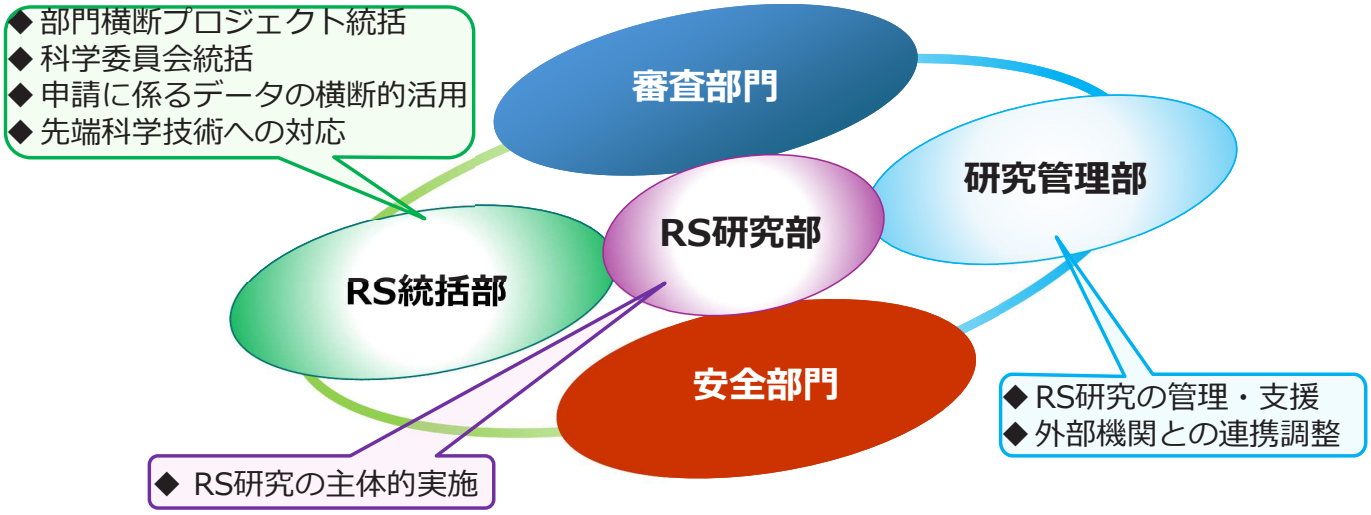
2.1 PMDA RSセンターについて

PMDA RSセンターでは、業務の質の向上に資する、その基盤となる科学であるRSを推進しています。

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、根拠に基づく的確な予測、評価及び判断を行い、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」[※1]とされています。また、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学であるRSを推進することが国の方針として打ち出されています。[※2]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、RSセンターを設置しました。RSセンターでは、RSに関連する業務について、RS専門部署と審査部門、安全対策部門とが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研究部門として「RS研究部」を設置しました(図2)。さらに、2024年6月には、RS関連業務を戦略的に実施するため、RSに関する課題を部門横断的に検討し、方針決定する「RS戦略会議」を設置しました。

[図2] RSセンターの主な業務



※1 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

※2 健康・医療戦略推進法(平成二十六年法律第四十八号) https://laws.e-gov.go.jp/law/426AC0000000048

2.2 PMDA第5期中期計画、令和7年度(2025年度)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[※3]に基づき、第5期中期計画[※4]を策定し、令和7年度計画[※5]を定めています。RSセンターは、当該中期計画における、「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」を主軸に活動しています。当該中期計画では、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、より積極的な発信に取り組んでいます。

[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	①包括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 ・包括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の充実を図る。 ②レギュラトリーサイエンス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 ・レギュラトリーサイエンス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の充実を図る。
科学的エビデンスの充実・強化	①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 ・レギュラトリーサイエンス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、研究遂行に必要な環境整備を促進する。 ②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 ・レギュラトリーサイエンス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。
発信力の強化	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 ・レギュラトリーサイエンス研究関連業務の成果を、英語論文、報告書等で積極的に公表できるよう環境を整備するとともに、外部との意見交換会等も積極的に実施する。
医療情報の更なる活用へ貢献 ※	①MID-NETの利便性の更なる向上 ・製薬企業等との意見交換を通じて利活用者のニーズを把握するとともに、利活用促進に資する利便性の向上やデータ規模の拡充に向けた検討及び安定運営に向けた見直しを積極的に実施する。 ②医療情報の標準化、品質管理等に関する情報発信 ・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。

※MID-NETを運営・管理している医療情報科学部は、2026年4月にRSセンターから安全部門に移管された。

※3 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

※4 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

※5 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 令和7年度計画 https://www.pmda.go.jp/files/000277225.pdf

［表2］独立行政法人医薬品医療機器総合機構　令和7年度計画

RSの推進による業務の質の向上	
人材力の強化	①包括連携協定締結機関などの外部機関との人材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 ・包括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。 ②レギュラトリーサイエンス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 ・レギュラトリーサイエンス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、レギュラトリーサイエンス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	①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 ・レギュラトリーサイエンス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。 ・指定研究機関として安定的に活動できる基盤として、文部科学省科学科研費申請に向けた研究環境、組織体制等の整備を進める。 ②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 ・レギュラトリーサイエンス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、関連規定等の円滑な運用を進める。
発信力の強化	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 ・レギュラトリーサイエンス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、外部への情報発信方法等に関する検討を進める。
医療情報の更なる活用へ貢献※	①MID-NETの利便性の更なる向上 ・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引き続き把握するとともに、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引き続き検討する。 ・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。 ②医療情報の標準化、品質管理等に関する情報発信 ・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・知見に係る情報発信を積極的に実施する。

※MID-NETを運営・管理している医療情報科学部は、2026年4月にRSセンターから安全部門に移管された。

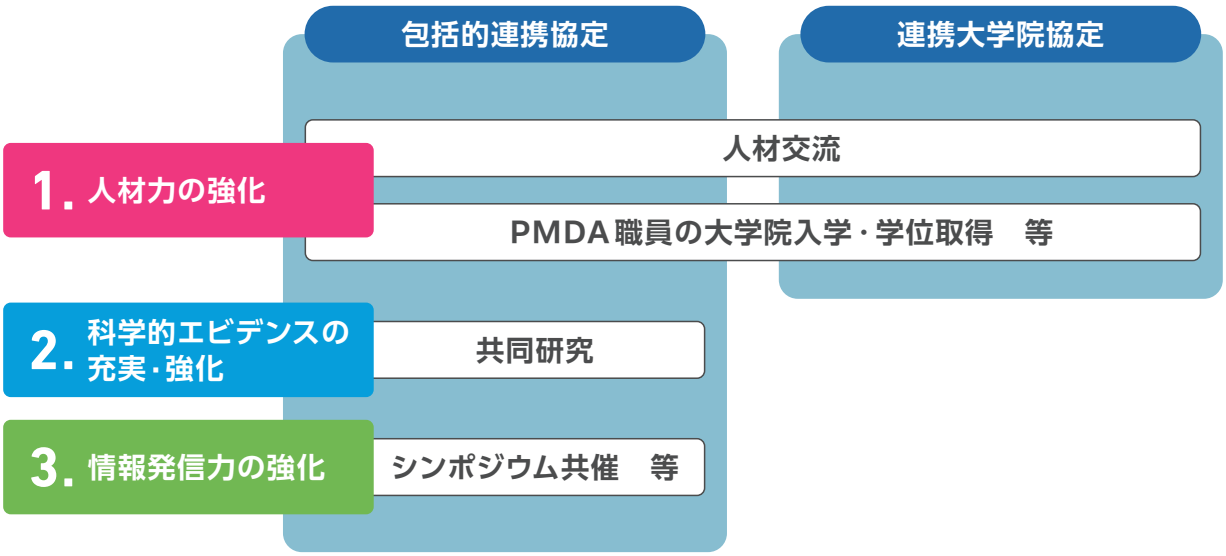
3. 2025年度 RS関連活動実績

3.1 人材力の強化

3.1.1 包括的連携協定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に向けた課題について、大学、研究機関等の外部機関と協力・連携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）に関する活動を目的とした包括的連携協定、人材力の強化に焦点を当てた活動を目的とした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 ）

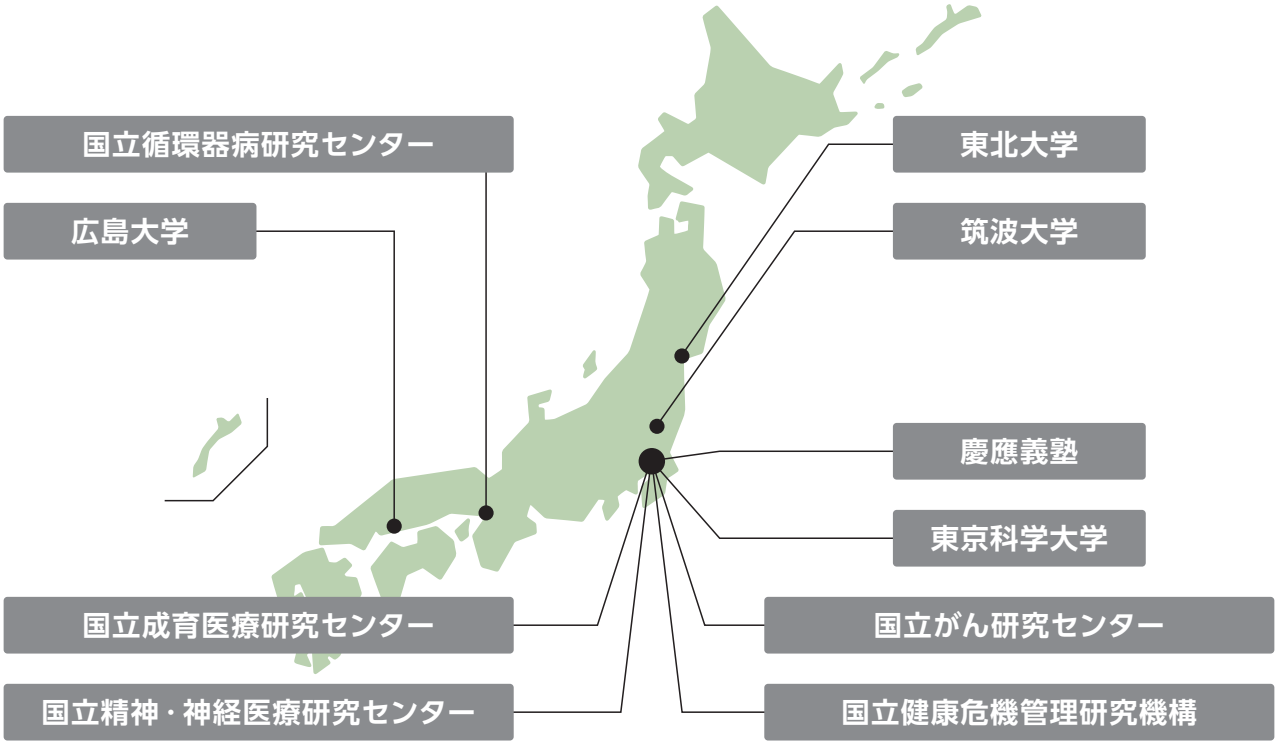
［図3］包括的連携協定と連携大学院協定



これら協定に基づく活動は、PMDA及び連携機関の双方にとって、RSに関する知見の習得、医療現場または関連研究の実情についての理解向上、最新の科学技術や知見の修得といった面で意義があります。また、これらの活動は、RS領域での議論をリードできる人材の育成に資するとともに、PMDAにおいては、RSの更なる推進を通じて、審査等業務の質の向上等に寄与しています。

包括的連携協定を締結している機関は、2026年3月末時点で10機関です（図4）。

［図4］ 包括的連携協定締結機関（2026年3月31日時点）



また、包括的連携協定の各機関における2025年度の主な活動内容は、下表3のとおりです。

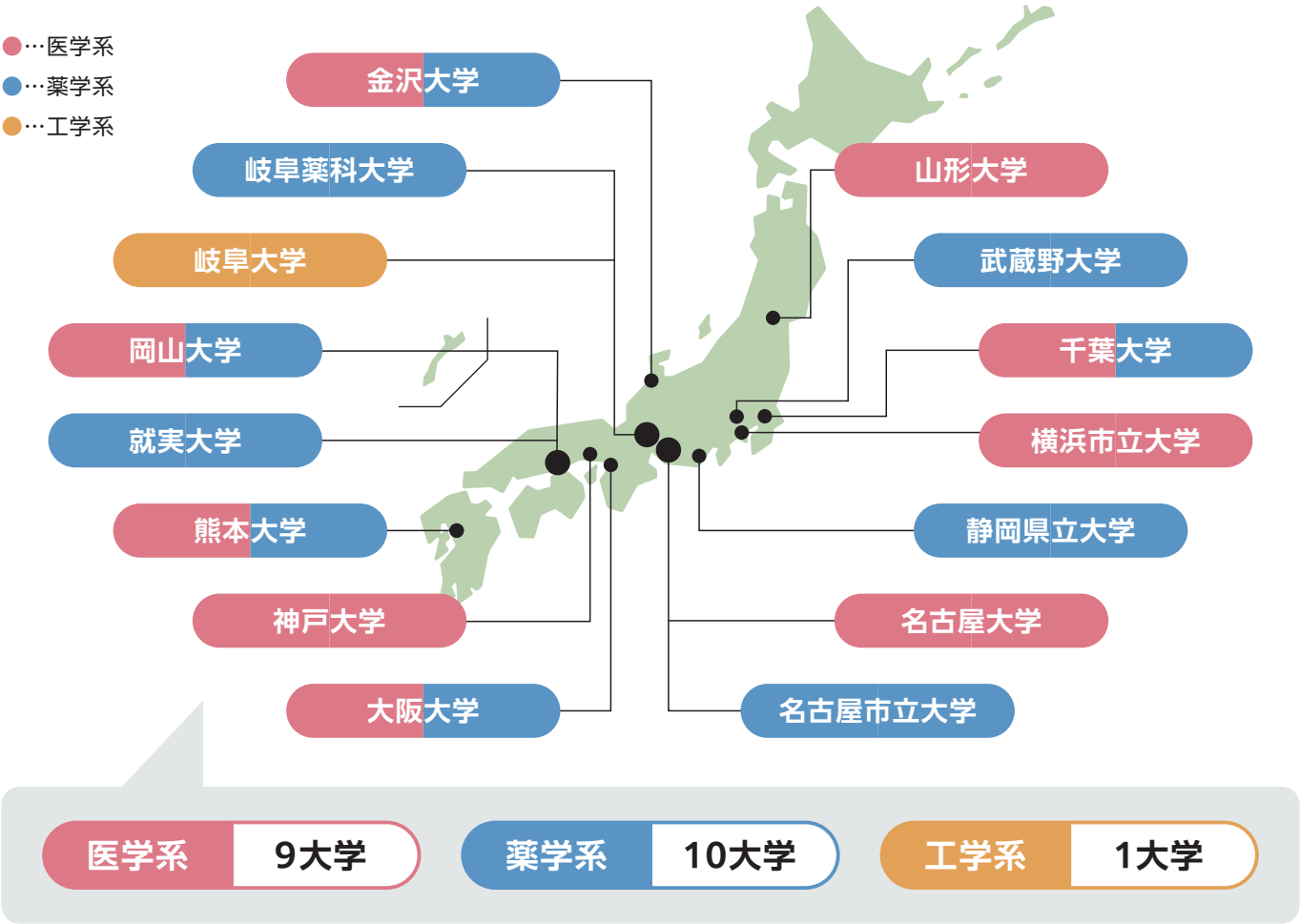
［表3］ 包括連携協定締結機関における主な活動内容

締結機関（締結順）	2025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 ・PMDA職員を対象とした研究倫理に関する研修の実施 ・生物統計学、臨床試験方法論に関する共同プラットフォームでの活動 ・小児がんに関するシンポジウムの共催
国立大学法人広島大学（HPはこちら）	・PMDA職員による大学院医系科学研究科でのRSに関する講義
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 ・PMDA職員を対象とした病院見学
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 ・PMDA職員を対象とした病院見学
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及び承認済み新薬に関する意見交換の実施 ・うつ病用治療アプリに関する共同研究
国立大学法人東北大学（HPはこちら）	・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共同研究 ・PMDA職員による薬学部、大学院薬学研究科及び大学院医工学研究科での講義

締結機関（締結順）	2025年度の主な活動
国立健康危機管理研究機構（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 ・医薬品の安全対策に関する共同研究
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
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 ・小児がんに関するシンポジウムの共催
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 ・生物統計に関する共同研究 ・生物統計学、臨床試験方法論に関する共同プラットフォームでの活動

一方、2026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（2026年3月31日時点）



また、PMDAではRS領域の人材育成に貢献するため、2025年度は、160名以上のPMDA職員が、60以上の大学において、250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大学機関では15名、包括的連携協定を締結している大学機関では25名のPMDA職員が、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

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、医療機器及び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で構成される科学委員会を設置しています[※6]。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し、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。

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

2025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

薬剤耐性菌感染症に用いるファージ製剤の開発における留意事項

背景・目的

薬剤耐性菌感染症の問題は深刻化しており、その治療選択肢としてバクテリオファージ（ファージ）に期待が寄せられている。ファージとは、細菌に特異的に感染して複製し、殺菌するウイルスの総称である。

近年、患者の病原細菌株に適したファージを選定して治療に用いる個別化医療の「ファージ療法」に加え、複数の患者に使用できるよう予め株や組成等が固定化された「ファージ製剤」の開発が行われ、臨床試験が進められている。

そこで、2024年10月から2025年7月にかけて、先端科学技術への対応に係る立案に関する専門協議を開催し、薬剤耐性細菌感染症の治療に用いるファージ製剤の開発における留意事項について、外部専門家との意見交換を行った。

検討内容等

●ファージ製剤の特徴、欧米における薬事規制及び開発動向の整理

●ファージの特性をふまえた品質の管理戦略、製造方法の確立、非臨床評価、臨床試験計画、カルタヘナ法における取扱いを含む、本邦における薬事承認取得を目的としたファージ製剤を開発する際の留意事項の検討

成　果

専門協議における議論を取りまとめた報告書「薬剤耐性菌感染症に用いるファージ製剤の開発における留意事項」が、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡として発出されました（2026年1月15日）[※7]。また、総説として、英文科学雑誌Front Pharmacolに掲載されました（2025年12月）[※8]。

本報告書に示した基本的な考え方をこれまでに公表されているガイドライン・通知等と合わせて参照することで、ファージ製剤の開発促進に繋がることが期待されます。

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、「RSに係る横断プロジェクト」を2024年10月に立ち上げました。これらの課題の解決に向け、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います。

「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、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。

2026年3月末までに設置された各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 *1	・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
AI対応WG *2	・PMDA業務におけるAI活用のあり方や課題について、部門横断的に議論するとともに、必要に応じて外部ステークホルダーとも意見交換を行う

*1：「小児用医薬品の開発促進に向けた取組について」(2025年3月21日付け薬機審長発第1618号・薬機RS長発第15号)(https://www.pmda.go.jp/files/000274421.pdf)を発出し、PTの活動目的を達成したこと等を踏まえ、活動終了(活動期間：2024年10月～2025年7月)

*2：2025年12月から活動開始した新設WG(AIについては、4.2(p29～30)も参照)

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

※7　https://www.pmda.go.jp/files/000278699.pdf

※8　Regulatory considerations for developing phage therapy medicinal products for the treatment of antimicrobial resistant bacterial infections. Front Pharmacol. 2025 Dec 18;16:1713471. doi: 10.3389/fphar.2025.1713471
https://www.frontiersin.org/journals/pharmacology/articles/10.3389/fphar.2025.1713471/full

3.2.2.1 通知等の発出について

横断PT、意見交換WGでの検討内容等を踏まえ、PMDAの考え方等を整理し、通知・ガイドライン等の内容の提案等を行うことで、審査等の質の向上や、審査等におけるPMDAの考え方の周知に取り組んでいます。部門横断的な検討を通じて、2025年度に発出した主な通知等は表5のとおりです。

［表5］部門横断的な検討を通じて発出した主な通知等（2025年度）

関連WG/PT	関与した通知・ガイドライン等	概要
コンパニオン診断薬WG	医薬品横断的なコンパニオン診断薬等への該当性に係る評価報告書（令和7年8月29日、独立行政法人医薬品医療機器総合機構） 000276953.pdf／English Version	EGFR遺伝子変異を検出するコンパニオン診断薬等製品について、分析性能の結果等を評価し、また、コンパニオン診断薬の横断化（従来の「特定の1つの医薬品に紐づく診断薬」という枠を超えて、複数の医薬品の適応判定に共通して使用可能なコンパニオン診断薬として活用すること）に係る検討を進め、当該横断化に係る評価を整理。 また、当該報告書の周知に係る通知も発出された。
	医薬品横断的なコンパニオン診断薬等の該当性評価に基づく承認事項の一部変更承認申請について（非小細胞肺癌患者におけるEGFR遺伝子変異）（令和7年9月5日付、医薬薬審発0905第1号・医薬機審発0905第1号・医薬安発0905第1号） 000277665.pdf／English Version	
小児用医薬品WG	「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について（令和8年2月27日付、医薬薬審発0227第8号） https://www.pmda.go.jp/files/000279515.pdf	2025年5月の改正薬機法により、成人用の新医薬品の承認申請者に対して、小児用医薬品開発の計画策定が努力義務とされたこと等を踏まえ、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」（令和6年1月12日付医薬薬審発0112第3号）及び当該通知に関連する質疑応答集（Q&A）を一部改正した。主なコンセプトとして、小児用医薬品の開発、その開発に係る基本的考え方、PMDAの確認等について追記・整理された。
	成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定についての質疑応答集（Q&A）の改正について（令和8年2月27日付、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/000279516.pdf	
	再審査期間の取扱いについての質疑応答集（Q&A）について（令和8年2月27日付、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/000279514.pdf	医療用医薬品の再審査期間の取扱いに関し、「再審査期間の取扱いについて」（令和2年8月31日薬生薬審発0831第16号）の一部改正に伴い、質疑応答集（Q&A）を新たに取りまとめた。主なコンセプトとして、成人を対象とする医薬品の承認時に、対応する小児用医薬品の開発の必要性や、当該開発に対するインセンティブ（小児の開発に伴う再審査期間の延長）に係る手続き・考え方についての内容が整理された。

3.2.2.2 シンポジウム・意見交換会等の開催について

「RSに係る横断プロジェクト」では、外部のステークホルダーに対して意見交換WGで検討した考え方や取組み等を周知すること、外部のステークホルダーと課題やその解決策等を意見交換することを目的として、シンポジウム・意見交換会等を開催しています。2025年度に開催したシンポジウム・意見交換会等は表6のとおりです。

［表6］部門横断的な検討を通じて開催したシンポジウム・意見交換会等（2025年度）

関連WG	シンポジウム・意見交換会等	開催年月
国際共同治験WG	「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」に関する公開シンポジウム（PMDAと国内外製薬団体の共催） 【HP】https://www.pmda.go.jp/review-services/symposia/0184.html	2025年8月
小児用医薬品薬WG	PMDA 小児用医薬品シンポジウム「充実した小児薬物療法を目指し、国内外のStakeholderと共に歩む」（PMDA主催） 【HP】https://www.pmda.go.jp/review-services/symposia/0185.html	
	こどものがん治療薬開発シンポジウム（PMDA含む産学官共催） 【HP】https://www.pmda.go.jp/review-services/symposia/0195.html	2026年1月
患者参画WG	炎症性腸疾患<IBD>ネットワークとの意見交換会（PMDA主催） 【PMDA講演資料（HP掲載）】 https://www.pmda.go.jp/files/000277476.pdf https://www.pmda.go.jp/files/000277477.pdf	2025年9月
	PPI JAPAN※との意見交換会	2025年12月
	国立がん研究センター東病院（Fairy's）×PMDA共催「第1回対話会」	2026年3月

※PPI（Patient and Public Involvement：患者・市民参画）とは、患者やその家族、市民の経験や意見を医療や研究、制度づくりに活かし、専門家とともによりよい医療の実現を目指す取組です。

上記の表（表6）に挙げたものについて、以下、各WG関連から1つずつ紹介します。

①国際共同治験関連では、「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」（2023年12月25日付医薬薬審発1225第2号（日本人第I相試験関連通知））に関するシンポジウムを開催し、本通知に対する産官学の関係者の共通理解を深めるとともに、今後の対面助言や開発戦略立案における当該通知の適切な活用を促進することを目的として、2025年8月に公開シンポジウムを行いました。パネルディスカッションでは、主として、日本人第I相試験関連通知の解釈が難しい箇所、通知発出に対する期待・今後の展望等が議論され、ドラッグ・ロス解消のために国際共同治験の積極的な活用が望まれること等が確認されました。

なお、本シンポジウムは、PMDA Updatesにおいても紹介しています
https://www.pmda.go.jp/files/000278866.pdf（2026 No.1、p4～5）

②小児用医薬品関連では、小児用医薬品開発の促進を目指したPMDAでの最近の取り組みや、PMDAの考え方等を紹介するとともに、産学官患の様々な立場からご意見を頂き、小児用医薬品開発促進に向けて進めるべき対策（通知・ガイドライン発出等）を議論することを目的として、2025年8月にPMDA主催のシンポジウム「充実した小児薬物療法を目指し、国内外のStakeholderと共に歩む」を開催しました。産学官患（海外規制当局を含む）からの講演やパネルディスカッションを通じて、開発早期から国際共同試験に積極的に日本が参加していくこと等が重要である点を共有し、また、小児医

薬品開発促進に向けて、産学官患の関係者で協力し、国・地域、立場を越えて取り組んでいく決意を発信しました。

なお、本シンポジウムで議論された内容も含めて、小児用医薬品開発推進のためのPMDAの取り組み等は、PMDA Updatesにおいても紹介しています。

https://www.pmda.go.jp/files/000278866.pdf（2026 No.1、p2～3）

③患者参画関連では、PMDA職員が患者の日々直面する問題について具体的に知り、患者がPMDAについて知るための機会として、双方向かつ具体的な対話を重視した意見交換をすることを目的として、炎症性腸疾患<IBD>ネットワークとの意見交換会を2025年9月に行いました。PMDA及び患者側からのプレゼンテーション後の意見交換では、疾患の状況や治療において困っていること等の患者側が抱える具体的な悩みをPMDA職員が知る機会となり、また、PMDA職員が医薬品開発に対する患者の期待感や業務の先にある患者の存在を改めて認識する機会となりました。患者側においても、PMDAが関わる薬の開発や承認プロセスを理解するための機会となりました。

上記（①～③）も含めて、各シンポジウム・意見交換会を通じて、PMDAの考え方等を周知するとともに、今後の課題等について外部ステークホルダーとの共通認識が得られ、また今後の継続的な検討・協力に繋がる良い機会が得られました。今後も各WGにおいて、シンポジウム・意見交換会等を企画し、積極的にアウトリーチ活動を行っていきたいと考えています。

3.2.3 申請電子データを活用した解析

PMDAでは、審査業務を通じて蓄積された申請電子データ（医薬品承認申請時に添付される臨床試験成績の電子データ）の品目横断的な二次利用を推進し、医薬品開発の促進に資する知見の創出・発信に取り組んでいます。

2025年度は、解析の推進に加え、成果の対外公表および情報発信基盤の整備を重点として進めました。

具体的には、申請電子データを含む品目横断的解析を本格的に実施するための実施体制を整備し、人材力の強化、申請電子データを用いた研究の推進・支援、解析手法の検討、ならびに申請電子データ等を用いた検討に係る内部の整備を進めました。

これらの取組により、申請電子データを用いた分析を継続的に実施し、成果を対外的に共有可能な形に整理するための基盤整備が進展しました。

成果公表として、申請電子データを用いた解析に関する発表を以下の会合で実施しました。

- PMDA小児用医薬品シンポジウム（2025年8月27日、口頭発表）
- 第46回日本臨床薬理学会学術総会（2025年12月6日、ポスター発表）
- こどものがん治療薬開発シンポジウム（2026年1月31日、口頭発表）

また、PMDAウェブサイトにおいて、申請電子データを活用した解析に関する専用ページを作成し、取組の発信を開始しました。 https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/0002.html

今後は、科学的エビデンスの充実・強化を図るため、申請電子データを用いた品目横断的解析の事例を継続的に集積し、専用ページ、学術論文および、学会・シンポジウムを通じて計画的に情報発信を行うことで、医薬品開発の促進に資する情報発信力を強化します。併せて、蓄積した解析事例を踏まえ、レギュラトリーサイエンスセンターと審査部門が連携して、分析テーマの設定や手法の高度化を進めるとともに、申請電子データ利活用を安定的・継続的に実施できる基盤の充実を図ります。

3.2.4 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

2025年度は表7に示した20件のEarly Considerationを発出し、PMDAウェブサイトで公表しています。2026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7］ Early Consideration（2025年度）

タイトル　（注）（Early Consideration）は省略	概要
バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証における日本人データに関する考え方、令和7年9月19日再生医療製品等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000277273.pdf／English Version	「バイオ後続品の品質・有効性・安全性確保のための指針に関する質疑応答集（Q&A）について」で示された内容について、現時点における規制上の考え方をより明確にすることを目的に、バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証における日本人データに関する考え方を整理
医薬部外品申請におけるNew Approach Methodologies（NAMs）利用の方針について、令和7年9月25日一般薬等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000277384.pdf／English Version	近年、動物愛護の観点から国際的にもNew Approach Methodologies（NAMs）についての関心が高まっていることから、医薬部外品申請におけるNAMsの利用についての現時点の考え方を整理
インフルエンザワクチン及び新型コロナウイルスワクチンの株変更に係る医薬品等変更計画確認申請書等のモックアップ、令和7年10月3日ワクチン等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000277606.pdf／English Version	インフルエンザ及び新型コロナワクチンについては、毎年春頃に製造に用いる株がWHO又は厚生労働省により推奨され、同年秋頃までの短期間に株を変更する薬事上の手続きを完了する必要があることから、手続きの負担軽減を目的に、PACMP制度を株変更に利用できるよう、その取扱いや運用方法を整理

非臨床安全性評価におけるWeight of Evidenceアプローチの活用についての考え、令和7年10月24日審査センター https://www.pmda.go.jp/files/000277673.pdf／English Version	動物実験の 3Rs（使用動物数の削減、動物の苦痛軽減、代替試験法の利用）の推進及び近年のNew Approach Methodologiesの進展を踏まえ、医薬品及び再生医療等製品の非臨床安全性評価におけるWeight of Evidenceアプローチの活用についての考えを整理
バイオテクノロジー応用医薬品のサルを用いた生殖発生毒性試験の代替としてのWeight of Evidenceアプローチの利用について、令和7年10月24日審査センター毒性領域 https://www.pmda.go.jp/files/000277674.pdf／English Version	「非臨床安全性評価におけるWeight of Evidenceアプローチの活用についての考え（令和7年10月24日審査センター）」の一つの事例として、バイオテクノロジー応用医薬品のサルを用いた生殖発生毒性試験の代替としてのWeight of Evidence アプローチの利用について、現時点の考え方を整理
便微生物移植（Fecal Microbiota Transplantation ; FMT）製剤初期開発時の品質に関する留意事項、令和7年10月31日再生医療製品等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000277831.pdf／English Version	便微生物移植（FMT）製剤の開発においてはFMT製剤の由来となる便ドナーの適格性をどのように評価するかが製剤の安全性を担保する上で重要であり、FMT製剤の開発初期に際しての品質に関する留意事項について、現時点における規制上の考え方を 提示
乾癬性関節炎治療薬の臨床開発における留意事項について、令和7年11月13日新薬審査第四部 https://www.pmda.go.jp/files/000277949.pdf／English Version	乾癬性関節炎に関する国内診療ガイドライン、近年の本邦における乾癬性関節炎治療薬の開発状況等を踏まえ、乾癬性関節炎治療薬の臨床開発における留意事項を整理
類似処方医療用配合剤の非臨床試験に係る留意事項、令和7年11月18日新薬審査第二部 https://www.pmda.go.jp/files/000278004.pdf／English Version	類似処方医療用配合剤のうち、透析用剤、輸液又は経腸栄養剤に分類される医療用医薬品について、承認申請時までに実施すべき薬理作用及び毒性に関する新たな試験の考え方を提示
IgA腎症に係る治療薬の有効性評価に関する留意事項、令和7年12月24日新薬審査第一部 https://www.pmda.go.jp/files/000278437.pdf／English Version	IgA腎症は指定難病であり、末期腎不全に至る可能性があるものの、いまだ確立された治療はなく、国内外でIgA腎症に係る新規治療薬の開発が進められている状況を踏まえ、IgA腎症に係る治療薬の有効性評価に関する留意事項を整理
緑内障配合点眼剤の開発の考え方、令和8年1月15日新薬審査第三部 https://www.pmda.go.jp/files/000278706.pdf／English Version	本邦において緑内障及び高眼圧症に対して既承認の有効成分のみを組み合わせた緑内障配合点眼剤の開発時に実施する検証的試験の計画に関する留意事項等を提示
従来のウイルス否定試験を次世代シークエンシング（NGS）により代替する場合の考え方について、令和8年1月22日審査センター https://www.pmda.go.jp/files/000278697.pdf／English Version	NGS 法をウイルス否定試験の代替として使用することを検討している開発者や製造販売業者に対し、現時点における規制上の考え方を提示
肥大型心筋症治療薬の開発にあたっての留意事項、令和8年1月27日新薬審査第二部 https://www.pmda.go.jp/files/000278941.pdf／English Version	肥大型心筋症に対する薬物治療はこれまで対症療法が中心だったが、昨今、病態に直接作用する治療薬等の開発が進められている状況を踏まえ、今般、肥大型心筋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を整理

感染症予防を目的としたmRNA-LNPワクチンの非臨床安全性評価におけるプラットフォームアプローチ利用の考え方について、令和8年2月6日ワクチン等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000279230.pdf／English Version	感染症予防を目的としたmRNA-LNPワクチンの非臨床安全性評価におけるプラットフォームアプローチ利用の考え方について整理
てんかん治療において一時的に経口投与ができない患者に対する経口製剤と同一有効成分の静注製剤の臨床開発に関する留意事項、令和8年3月3日新薬審査第三部 https://www.pmda.go.jp/files/000279536.pdf／English Version	てんかん治療において一時的に経口投与ができない患者に対する、経口製剤と同一有効成分の静注製剤の臨床開発に当たっての留意事項等を提示
前立腺特異的膜抗原を標的とした陽電子放出断層撮影（PSMA-PET）に用いる放射性医薬品の臨床開発に関する留意事項、令和8年3月9日新薬審査第二部 https://www.pmda.go.jp/files/000279586.pdf／English Version	欧米で承認され、前立腺癌の診断における使用が推奨されている PSMA-PET用の放射性医薬品の、本邦の医療現場への速やかな導入に向け、考慮し得る臨床開発方針に関する留意事項を整理
医薬品（化成品）のエスタブリッシュトコンディションとされた製造工程パラメータの変更区分を事前に設定する場合の基本的な考え方について、令和8年3月12日審査センター https://www.pmda.go.jp/files/000279737.pdf／English Version	ICH Q12 ガイドラインに示された考え方により製造工程のエスタブリッシュトコンディションが特定されていることを前提として、製造販売承認申請書に記載する製造工程パラメータの変更区分（一部変更承認申請対象事項又は軽微変更届出対象事項）を事前に設定する場合の基本的考え方を整理
体内診断用医薬品の臨床開発における留意事項、令和8年3月12日新薬審査第二部 https://www.pmda.go.jp/files/000279738.pdf／English Version	診断用放射性医薬品を含む体内診断薬全体に共通する臨床開発の基本的な考え方を整理
「第一種使用規程承認申請書における生物多様性影響評価書の記載に当たっての留意事項に関する補足解説（令和8年2月版）」及び「生物多様性影響評価書AAV記載例（令和8年2月版）」について、令和8年3月16日再生医療製品等審査部 https://www.pmda.go.jp/files/000279549.pdf	遺伝子組換え生物等含有医薬品等の第一種使用規程承認申請に必要な生物多様性の評価に当たっての留意事項について、遺伝子組換えウイルスを用いる場合の留意事項を補足した解説書、及びアデノ随伴ウイルスを用いる場合の生物多様性影響評価書記載例の改訂
少数例臨床試験に関する留意事項について、令和8年3月19日審査センター https://www.pmda.go.jp/files/000279877.pdf／English Version	少数例臨床試験を計画する際の検討方針や、対面助言や承認申請の際に必要な説明等、少数例臨床試験に関する留意事項を整理
経口製剤における食事の影響の評価に関する考え方について、令和8年3月30日審査センター https://www.pmda.go.jp/files/000279989.pdf	最終製剤以外の製剤を用いた食事の影響を検討する臨床試験により、薬物動態に対する食事の影響評価を行う場合の考え方を提示

ガイダンス・ガイドライン等

2025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、横断PT関連、ICHガイドラインの通知化（ステップ5）を除く）は表8のとおりです。

［表8］ ガイダンス・ガイドライン等（2025年度）

タイトル	概要
「医薬品の品質に係る承認事項の変更に係る取扱い等について」の一部改正について、令和7年4月9日医薬薬審発0409第1号・医薬監麻発0409第1号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長・厚生労働省医薬局監視指導・麻薬対策課長通知 https://www.pmda.go.jp/files/000280115.pdf	合理化記載に係る事前の手続相談を一律不要とする旨の通知
バイオ医薬品の規格及び試験方法欄の記載の合理化について、令和7年4月9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/000280116.pdf	バイオ医薬品の規格及び試験方法（別紙規格を含む）における合理化記載例の提示
生物学的安全性評価の審査ポイント、令和7年6月4日独立行政法人医薬品医療機器総合機構 https://www.pmda.go.jp/files/000275706.pdf／English Version	本邦における医療機器薬事申請に必要な評価のうち、生物学的安全性評価に係る審査のポイントについて、国際規格であるISO 10993-1もしくはJIS T 0993-1の情報とともに整理
インフルエンザワクチン及び新型コロナウイルスワクチンの株変更に係る変更計画の確認申請等の取扱いについて、令和7年10月3日医薬薬審発1003第1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/000277522.pdf／English Version	インフルエンザワクチン及び新型コロナウイルスワクチンの製造に用いる製造株・抗原株について変更が必要となる場合の変更計画を用いた承認事項の変更に係る取扱いについて整理
インフルエンザワクチン及び新型コロナウイルスワクチンの株変更に係る変更計画の確認申請等の取扱いに関する質疑応答集（Q&A）について、令和7年10月3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/000277523.pdf／English Version	インフルエンザワクチン及び新型コロナウイルスワクチンの株変更に係る変更計画の確認申請等の取扱いに関する質疑応答集
後発医薬品等へのICHガイドラインの適用について、令和7年11月17日医薬薬審発1117第1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/000280149.pdf	国際的な規制調和の推進、後発医薬品に係る審査基準の透明性の向上、ならびに製品特性に応じた科学的かつ柔軟な品質管理の実現を目的として、後発医薬品へのICHガイドラインの適用に関する基本方針を取りまとめたもの
「後発医薬品等へのICHガイドラインの適用について」に関する質疑応答集（Q&A）について、令和7年11月17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/000280150.pdf	後発医薬品等へのICHガイドラインの適用に関する質疑応答集

3.2.5 公的研究費に基づく研究

PMDAは、公的研究にも参画しています。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するとともに、外部研究者と連携し、課題の解決に努めています。

3.2.5.1 厚生労働科学研究費、AMED研究費に基づく研究

2025年度にPMDA職員は、計21件の公的研究班に研究代表者又は研究分担者として関与しており、その研究課題等は表9のとおりです。研究成果報告書等の詳細については、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9］PMDA役職員が研究代表者/研究分担者として参画した公的研究一覧（2025年度）

厚生労働科学研究

事業名	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 政策研究事業	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
	医療機器及び体外診断用医薬品の一般的名称の策定・選定に係る環境整備に向けた考究
	陣痛誘発を目的として使用されるPGF2α製剤の使用実態の調査及び用法及び用量の有効性と安全性の検証に関する研究
	適切な医薬品安全性評価のための国際整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
	妊婦・授乳婦における医薬品の安全性に関する情報収集及び情報提供の在り方に関する研究
	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事業	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事業	遺伝子組換え医薬品（先発医薬品）に対する、化学合成品たる後発医薬品の承認申請の検討のための調査研究
	再生医療に関連した新技術領域に関するリスク評価および妥当性評価のための総合的研究
	サイバーセキュリティ対策が未策定の医療機器におけるサイバーセキュリティ確保のための研究
	新型インフルエンザのプロトタイプワクチンの開発等に関するガイドライン策定に向けた調査研究
	毒性評価の迅速化・高精度化に資する毒性用語の標準化とデータベース構築
臨床研究等ICT基盤構築・ 人工知能実装研究事業	生成AIを活用した薬事承認申請・審査関連文書作成の推進のための研究

AMED事業

事業名	研究課題名
医薬品等規制調和・評価研究事業	アデノ随伴ウイルスベクター（AAV）の治験開始におけるカルタヘナ法第一種使用規程に関する研究
医薬品等規制調和・評価研究事業	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
	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
	バイオシミラーの承認規制の変革に対応した品質及び臨床評価に関する研究
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
再生医療等実用化研究事業	遺伝子治療用製品、細胞加工製品のためのNGSを利用した新規のウイルス安全性評価法の国際的な標準化
創薬基盤推進研究事業	エクソソーム製剤のウイルス安全性評価法の開発

3.2.5.2 文部科学研究費に基づく研究

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、RS研究の実施に関する業務を所掌とする「RS研究部」をRSセンターに設置しました。さらに、2024年、文部科学省の科学研究費助成事業（科研費）の研究機関の指定について申請し、文部科学大臣よりRS研究部が当該研究機関として指定され、文部科学省科研費を活用した研究の実施が可能となりました。

2025年度もPMDA RS研究部は文部科学省科研費の研究機関指定を継続し、文部科学省科研費の申請を行い、2課題が採択されました。今後、文科省科研費に基づく研究も活性化しながら、引き続き、安定的に研究活動を行うことができる組織体制等の確保を進めていきます。

3.3 発信力の強化

3.3.1 PMDA RS研究会

PMDAでは、PMDAで実施しているRS研究の関連テーマについて、研究成果及び関連情報をPMDA職員による講演にて積極的に公表し、外部有識者とのディスカッション等を通じて理解を深めるPMDA RS研究会を開催しています。2025年度は、第10回、第11回を開催し、企業、医療従事者、アカデミア、学生等から各々860名、587名の参加登録がありました。第10回はRWD／RWEの利活用について、第11回は医薬品開発におけるM&Sの可能性について、活発な議論が行われ、RS研究の内容や意義について理解を深めるとともに、関連テーマの最新動向や課題解決に向けたステークホルダー間の連携の重要性について共有することができました。

★　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。）　★

3.3.2 SNS発信

PMDAは、医薬品、医療機器等の承認審査、安全対策及び健康被害救済等に関する情報、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、2025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を抜粋し、下表10に記載しております。2025年度に公表した論文の内容を、一般の方にもご理解いただけるよう平易にまとめておりますので、ぜひご覧ください。

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ご確認ください。

PMDA公式SNS　Facebook　X　YouTube

［表10］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について、紹介しています。

	Regulatory Evolution to Expedite Drug Development in Japan: A PMDA Initiatives PMDAが海外スタートアップに対して日本の規制制度への理解を促進するための取組み、日本を含む医薬品開発の支援、「ドラッグ・ロス」などの課題解決に向けた支援について紹介しています。（音声・スライドは英語、日本語字幕付きです。） 【論文リンク】https://ascpt.onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/cpt.70022 …（Clinical Pharmacology & Therapeutics）
	医薬品等の非臨床安全性試験（GLP試験）の実施の傾向分析 過去6年間の医薬品等の製造販売承認申請時にPMDAに提出されたGLP適用の非臨床安全性試験の傾向を分析した結果をご紹介します。 【論文リンク】https://www.frontiersin.org/journals/pharmacology/articles/10.3389/fphar.2025.1591433/full …（Frontiers in Pharmacology）
	リアルワールドデータ（RWD）は医薬品の有効性評価に利用できる？～審査でのRWDの活用事例と留意点～ 本邦での医薬品承認審査におけるRWD活用事例について検討した研究をご紹介します。 【論文リンク】https://ascpt.onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/cpt.3540 …（Clinical Pharmacology & Therapeutics）

3.3.3 PMDA機関リポジトリ

PMDAでは、RS研究等の成果を査読付き学術雑誌への公表を積極的に進めています。また、「学術論文等の即時オープンアクセスの実現に向けた基本方針」(令和6年2月16日 統合イノベーション戦略推進会議)[※9]を踏まえ、PMDAでもオープンアクセス方針を定め、当該方針に基づき、PMDA役職員による論文や研究成果について、PMDA機関リポジトリに掲載・公開し、誰でもウェブ上で容易にアクセス・検索・閲覧できる環境整備を進めてきました。RS研究の成果や関連論文が蓄積されており、無料で利用可能ですので、ぜひご活用ください。

PMDAオープンアクセス方針
https://pmda.repo.nii.ac.jp/search?page=1&size=100&sort=pyear&search_type=2&q=1760677156120

PMDAリポジトリ(2026年4月より公開開始)
https://pmda.repo.nii.ac.jp/?page=1&size=100&sort=pyear

※9 「学術論文等の即時オープンアクセスの実現に向けた基本方針」(令和6年2月16日 統合イノベーション戦略推進会議)
https://www8.cao.go.jp/cstp/oa_240216.pdf

3.3.4 2025年度の主な論文紹介

次ページ以降では、2025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PMDA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しております)。

近視の進行抑制に対する医薬品開発に関するPMDAの見解

●該当論文　PubMedは こちら

Perspective of the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency on Drug Development for Childhood Myopia
Arima M, Atsumi M, Takeuchi K, Aoki T, Inagaki E, Kobayashi Y, Kageyama T, Izumi K, Yoshimura A and Asakura W
Clin. Pharmacol. Ther.2026; 119(1): 26-9. Epub 20251003　doi: 10.1002/cpt.70086

新薬審査第三部　竹内 久美子

●背景

近視は通常小児期に発症し、発症年齢が低いほど進行が速い傾向があり、将来的に病的近視や重篤な視力障害に至るリスクが高いことから、世界的な公衆衛生上の重要な課題となっている。特に東アジアでは有病率は高く、また、進行速度が速いと考えられ、近視の進行抑制を目的とした治療法の開発が求められている。このような背景の下、本邦では、低濃度アトロピン点眼液(リジュセアミニ点眼液0.025%、以下、「本剤」)が小児進行性近視に対する医薬品として初めて製造販売承認された。本論文では、本剤の承認審査の過程を提示した上で、当該承認審査等を通じて得られた知見を基に、医薬品医療機器総合機構(PMDA)の考え方を整理し、今後の近視の進行抑制に対する医薬品の開発における留意点を提示した。

●概要等

本剤の有効性及び安全性の主要な根拠となる臨床試験として、弱度から中等度の進行性の近視を有する5～15歳の日本人患者を対象としたプラセボ対照無作為化二重遮蔽並行群間比較試験が実施された。主要評価項目はベースラインからの調節麻痺下の他覚的等価球面度数(SERE)の変化量、副次評価項目はベースラインからの眼軸長(AL)の変化量等とされ、主要評価時点は投与開始から24カ月後とされた。また、本剤投与終了後の近視の悪化の程度、及び2年を超えて本剤を投与した場合の有効性及び安全性を評価するための期間として12カ月間が設定された。主要評価項目(24カ月時点)について、プラセボ群に対して本剤群の優越性が示され、36カ月時点においてもプラセボ群を上回る効果が認められたこと等から、近視の進行抑制に対する本剤の有効性は示されたと判断した。本剤投与終了後には近視の進行速度が速くなる傾向が認められたものの、少なくとも12か月間は近視の進行速度が未治療例(プラセボ群)よりも加速するような急激な近視の悪化は認められなかった。安全性について、重大な懸念は認められず、主な有害事象は羞明等の散瞳効果に伴う事象であり、適切な注意喚起が行われることを前提とすれば安全性は許容可能と判断した。以上の審査を踏まえ、本剤は、近視の進行抑制を効能・効果として承認がなされた。

また、本論文では、この審査経験等を通じて得られた知見を基に、近視の進行抑制に対する医薬品の開発における以

下の留意点を提示している。

- 近視の進行速度には人種差があることが報告されているため、本邦で承認を得るためには、日本人患者を含む臨床試験の実施が必要である。
- 原則としてプラセボ対照無作為化試験が必要であるが、本剤の承認後は倫理的な観点から本剤を対照とする優越性又は非劣性試験が求められる可能性がある。
- 検証的試験では進行性の近視患者を対象とし、SEREや年齢等の選択基準については、各医薬品の想定される臨床的位置付け、承認後の使用方法等を踏まえ設定する。
- 主要評価項目はSEREとすべきであり、副次評価項目にはALを設定する。近視の進行に対する治療は長期に及ぶこと、近視進行には季節変動があること等を考慮し、基本的に臨床試験の期間は3年（有効性評価期間2年+リバウンド評価期間1年）以上とする。また、近視は不可逆的であることから、治療中止後のリバウンドに対するレスキュー治療を設定することが望ましい。
- ただし、臨床試験デザイン等の適切性は、各医薬品の特性等に応じて個々に判断されるものであることに留意すること。

●RSへのインパクト、期待されること

本論文により、近視の進行抑制に対する医薬品の審査における規制当局の考え方を示すとともに、開発上の留意点を提示することで、今後の近視の進行抑制に対する医薬品の開発促進の一助になることが期待される。

日本におけるCAR T細胞製品の現状と課題：規制の観点から

●該当論文　PubMedは こちら

Current status and issues with CAR-T cell products in Japan: a regulatory perspective
Nakamura M, Noda S, Nishikawa A and Matsumoto J　doi: 10.1007/s12185-026-04189-z
Int. J. Hematol. 2026. Epub 20260309

再生医療製品等審査部　中村 美紀

●背景

2017年8月に米国において、世界で初めてキメラ抗原受容体発現T細胞製品（CAR-T細胞製品）であるチサゲンレクルユーセルが承認されて以降、本邦においても2019年3月以降、リンパ腫や多発性骨髄腫等の血液がんを対象として、5つのCAR-T細胞製品が承認されている。

CAR-T細胞療法は非常に有効な治療法である一方で、コスト、製造不良、安全性といった課題を有している。特に、自己由来CAR-T細胞製品は、患者由来のT細胞を原材料として製造されることから、患者ごとの品質特性のばらつきが大きく、規格外製品（out of specification：OOS）となる場合がある。

本稿では、CAR-T細胞製品における審査上の論点や問題点であるOOSおよび副作用について、医薬品医療機器総合機構（PMDA）におけるCAR-T細胞製品審査時の論点および留意事項を報告する。

●概要等

本邦において承認されたCAR-T細胞製品はいずれも希少疾病用再生医療等製品に指定され、優先審査の対象となった結果、条件及び期限付承認ではなく通常承認が付与されている。CAR-T細胞製品の適用対象については、添付文書に記載された「効能、効果又は性能」に加え、最適使用推進ガイドラインにおいて、有効性および安全性の観点から投与が適切と考えられる患者要件が示されている。

CAR-T細胞製品は自己細胞を用いる治療法であることから、従来の医薬品とは異なる観点での審査が求められる。本邦においては、「がん免疫療法開発のガイダンスについて」(平成31年3月8日)等を参考に審査が行われており、FDAおよびEMAにおいてもCAR-T細胞製品の審査に関連するガイドラインが整備されている。これまでに承認された5つのCAR-T細胞製品において、非臨床試験および臨床試験データに対する欧米と本邦の判断は概ね同様であり、承認判断に影響を及ぼすような大きな問題点は認められていない。

一方で、CAR-T細胞製品は治療経験、患者数、フォローアップ期間がいずれも限定的であり、未知の副作用の可能性を否定できない状況にある。また、極めて高価な治療法であることから、医療経済性の観点も含めた検討が必要である。さらに、再生医療等製品特有の課題としてOOSが存在し、我が国ではOOS製品は現時点において治験として投与されている。OOS製品の有効性および安全性は確立しておらず、製造方法の改善によるOOS低減の取組みとともに、品質、有効性および安全性に関する情報を継続的に収集することが重要である。

●RSへのインパクト、期待されること

CAR-T細胞製品の開発は、今後も活発に行われることが想定される。PMDAにおける審査時の論点やOOSに関する情報を提供することは、CAR-T細胞製品の開発のみならず、臨床現場において適切に使用されることにも役立つものと考えている。

本邦の承認審査におけるアルツハイマー病による軽度認知障害および軽度の認知症に対する治療薬の臨床評価の考え方

●該当論文　PubMedは こちら

Clinical evaluation of medicines for patients with mild cognitive impairment and mild dementia due to Alzheimer's disease in Japan

Yanagihara R

Alzheimers Dement (N Y). 2025; 11(2): e70100. Epub 20250513　doi：10.1007/s12185-026-04189-z

新薬審査第二部　柳原 玲子

●背景

アルツハイマー病による軽度認知障害及び軽度認知症(以下、早期AD)治療薬として、抗アミロイドβ抗体薬(以下、抗Aβ抗体薬)であるレカネマブが2023年、ドナネマブが2024年に承認された。この2品目の承認については日米欧英の各規制当局で判断が分かれた。特にレカネマブについては、欧州では当初承認勧告に至らず、その後再評価が行われ、

最終的に投与対象を限定する形で承認されたが、未だ保険償還に至っていない国が多い。

本論文では、早期AD患者におけるベネフィットリスクバランス（以下、B/Rバランス）が各国で大きな論点となったこれら2品目の審査を踏まえ、本邦における早期AD治療薬の臨床評価の考え方、及び早期AD治療薬の審査における臨床的意義のある最小の治療効果（MCID: Minimal Clinically Important Difference）に対する考え方についてまとめた。

●概要等

早期AD治療薬の有効性は、認知機能および日常生活機能の進行抑制を総合的に評価可能な指標に基づいて評価すべきであり、臨床的認知症尺度リポジトリ（CDR-SB：Sum of Boxes。以下、CDR-SB）はその妥当性が確立された評価指標として利用可能である。加えて、臨床症状の進行に至るまでの時間は、治療効果の臨床的意義を補足的に判断する観点から評価することが適切である。

抗Aβ抗体薬の有効性評価においては、作用機序に基づく治療効果であることを裏付けるため、脳内Aβの蓄積量の減少を確認する必要がある。ただし、個々の症例において脳内Aβの蓄積量の低下と臨床症状の進行抑制との相関は認められておらず、脳内Aβはサロゲートエンドポイントとして利用可能なバイオマーカーとは言えない点に留意が必要である。また、神経変性過程に関連するバイオマーカーについても、その変化が薬剤による進行抑制効果を支持するものであるかを確認することが適切である。

上述のとおり、早期AD治療薬の有効性は、CDR-SBに基づく評価に加え、臨床症状の進行までの時間や関連するバイオマーカーの変化量を含めて総合的に評価されることから、MCIDを単一の指標に基づいて定義することは困難である。

レカネマブおよびドナネマブでは、18か月間でプラセボと比較して約20～30%の臨床症状の進行抑制効果が示され、ADが長期的に進行する疾患であることを踏まえると、臨床的に意義のある治療効果が認められると判断された。安全性についてはアミロイド関連画像異常（ARIA）が主なリスクであり、MRIによるモニタリングや休薬等の適切な対応が実施されることを前提として、B/Rバランスは良好と判断された。ただし、早期ADに対する抗Aβ抗体薬のB/Rバランスを確保するためには、適切な対象患者の特定、MRI検査によるモニタリング及び患者の状態の観察等によりARIAに対するリスク管理を行うことが必須であり、医療実装にあたっては、そのための体制整備を行う必要がある。このため、本邦では、抗Aβ抗体薬の使用にあたっての施設要件及び医師要件が最適使用推進ガイドラインに定められ、保険診療下での治療にあたっては、当該ガイドラインに記載される要件を満たすことが必須とされている。

日本における早期AD治療薬の承認においては、特定の評価指標におけるMCIDの達成が必須とされているわけではなく、今後開発される薬剤については、既承認のレカネマブ及びドナネマブと同等以上のB/Rバランスが確保されることが求められる。

●RSへのインパクト、期待されること

早期ADに対する抗Aβ抗体薬のB/Rバランスを確保するためには、適切な対象患者の特定、MRI検査によるモニタリング及び患者の状態の観察等によりARIAに対するリスク管理を行うことが必須であり、医療実装にあたっては、そのための体制整備を行う必要がある。本邦では、最適使用推進ガイドラインが厚生労働省により作成され、医師要件、施設要件が定められたことが、保険診療下でB/Rバランスを確保した形で抗Aβ抗体薬を医療現場に提供することにつながった。本邦における早期AD治療薬の臨床評価の考え方に加え、B/Rバランスを維持するための体制整備を確実に進める上で、最適使用推進ガイドラインが果たした役割を紹介することは、革新的医薬品など医療現場における体制整備を要する医薬品を医療実装していく際のモデルケースとして、国内外に発信する意義があると考える。

4. 最新のトピック

PMDAでは、最新の科学的トピックや知見を考慮した検討を行っております。

本項では、New Approach Methodologies：NAMsへの対応及びAIの承認審査・安全対策等への活用についてご紹介します。

4.1 New Approach Methodologies：NAMs

医薬品、医薬部外品や医療機器等の開発においては、動物実験に対する倫理的配慮から、3Rsの原則［実験動物の苦痛軽減（Refinement）、実験動物の削減（Reduction）、動物を使用しない実験方法への代替（Replacement）］を背景に、動物実験の代替法が検討されてきました。近年では、動物を用いた非臨床試験の代替のみならず、ヒトへの外挿性やその予測精度を高め、医薬品開発等における科学的な意思決定の質と成功確率を向上させる手法としての包括的な考え方として、NAMsという考え方が提唱されています。NAMsの活用により、医薬品や医薬部外品の開発における動物実験への依存度の低減、ヒトにおける安全性、有効性及び薬物動態等に関する予測可能性の向上等が期待されています。

New Approach Methodologies（NAMs）とは

ヒトへの外挿性やその予測精度を高め、医薬品開発等における科学的な意思決定の質と成功確率を向上させるための包括的な考え方

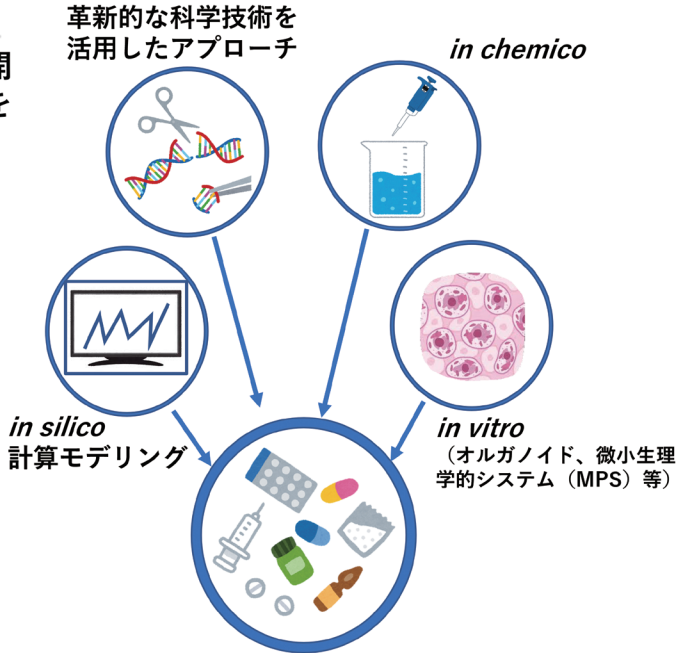
動物実験自体が適切でないモダリティ、薬理学的機序を有する品目（ヒトにしか作用しない品目）の存在

いわゆる動物種差により、ヒトの予測に資さないケース

NAMsの利用

動物実験への依存度を低減

ヒトの安全性、有効性及び薬物動態等に係る予測可能性向上



PMDAでは、NAMsに関する取組みとしてPMDA内にNAMs検討ワーキンググループを設置し、国立医薬品食品衛生研究所／日本動物実験代替法評価センター（JaCVAM）、産業界、アカデミア等との連携及び海外規制当局との連携を行っています。

2025年度には、NAMsに関し以下の3件のEarly Considerationを発出し、PMDAウェブサイトで公表しています（各Early Considerationの概要については「3.2.4 Early Consideration・ガイダンス・ガイドライン」を参照してください）。

- 医薬部外品申請におけるNew Approach Methodologies（NAMs）利用の方針について（2025年9月25日付け一般薬等審査部）
  https://www.pmda.go.jp/files/000277384.pdf ／ English Version
- 非臨床安全性評価におけるWeight of Evidenceアプローチの活用についての考え（2025年10月24日付け審査センター）
  https://www.pmda.go.jp/files/000277673.pdf ／ English Version
- バイオテクノロジー応用医薬品のサルを用いた生殖発生毒性試験の代替としてのWeight of Evidenceアプローチの利用について（2025年10月24日付け審査センター）
  https://www.pmda.go.jp/files/000277674.pdf ／ English Version

また、2025年10月31日には、医薬品及び医薬部外品の開発への更なるNAMsの開発及び活用を活性化すべく、NAMsに関する現状の課題を共有し、その課題解決に向けた議論をすることを目的として、PMDA主催にてシンポジウム「国民が必要とする医薬品/医薬部外品への速やかなアクセスに向けて—NAMsの明日について考える—」を開催しました[i]）。本シンポジウムでは、PMDA職員による講演の他、国立医薬品食品衛生研究所、日本製薬工業協会、日本化粧品工業会らもご講演いただきました。

医薬品の開発においては、現在も動物を用いた非臨床試験が実施されていますが、NAMsを活用することにより、効率的な医薬品の開発の促進が期待できます。医薬部外品の開発においては、動物を用いた非臨床試験が行われた化粧品及び原料の輸入及び販売が欧州にて禁止されていること、本邦でも動物を用いた非臨床試験を廃止した企業も多いことから、新規有効成分の開発が進まない現状があります。PMDAでは、従前より動物実験代替法を用いた医薬部外品の申請を受け入れてきたところですが、更なるNAMsの活用推進を目指しているところです。

このような背景を踏まえ、本シンポジウムでは、国内外の産官学におけるNAMsの取組みと今後の展望について共有の上、NAMsの活用を推進する上の課題点として以下を共通認識としました。

- NAMsの適格性の評価方法の確立
- NAMsの適格性の認証制度の必要性
- NAMsの活用促進に向けた具体的方策

講演後に実施されたパネルディスカッションでは、NAMsの活用に関するガイダンスやガイドラインの策定の必要性について言及され、NAMsの活用方法について国際的にハーモナイズしていく必要があることを共有しました。

PMDAでは、引き続き、産業界や海外規制当局との積極的な意見交換、NAMsの開発及び活用に関する考え方の公表、NAMsの活用に関する相談の実施についての検討等を通して、NAMsに関するRSを推進してまいります。

[i]）https://www.pmda.go.jp/review-services/symposia/0189.html

4.2 PMDA業務におけるAI活用

4.2.1 PMDA業務に対するAI活用行動計画の策定

近年、ドラッグロスや医薬品安定供給の問題、技術の高度化・国際化など、PMDAを取り巻く環境は大きく変化しています。こうした状況の中で、限られた資源を有効に活用しつつ、業務の質を維持・向上させていくことが求められています。

また、世界では生成AIを中心としたAIの利活用がホットトピックとなっており、AIを活用した業務効率化が進められています。こうした中で、PMDAは、「PMDA業務に対するAI活用行動計画」(令和7年9月26日)

(https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0089.html)を策定し、人工知能(AI)技術の業務への導入・活用を段階的かつ計画的に進める方針を示しました。

本行動計画において、AIは職員の判断を代替するものではなく、業務を支援し、その質と効率を高めるための手段として位置づけられています。

まずは、文書検索や要約、議事録作成、翻訳といった、部門横断的に共通する業務を対象に、既に世の中で実用化されているAI技術の導入を進めることとしています。

これにより、情報整理や作業負担の軽減が期待され、職員がより専門性を要する検討や判断に注力できる環境の整備につながるものと考えられます。規制行政においては、迅速性と慎重さが同時に求められますが、AIの活用はその両立を支える基盤の一つとなり得ます。

4.2.2 AI対応WGの設置

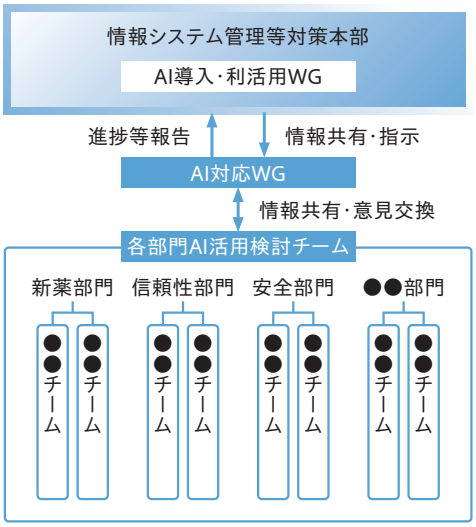
行動計画の推進体制として、PMDA内ではRSに係る横断プロジェクトとして、「AI対応WG(ワーキンググループ)」が設置されました。AI対応WGは、情報システム等管理対策本部の下で活動し、AI導入・利活用に関する検討や調整を一元的に担っています。

AI対応WGでは、トップダウンの検討にとどまらず、各部門の実情を踏まえた検討を重視しています。Copilot導入に先立ち、「AIに任せたい業務」について職員から意見募集を行ったところ、承認審査、安全対策、救済、国際、管理部門など、PMDA全体から多くの意見が寄せられました。これらの意見は、日常業務の中で感じている課題や改善の余地を反映したものであり、AI対応WGにおいてはAI機能の類型ごとに整理し、実現可能性や優先度を踏まえた検討が進められています。

AI対応WGの検討においては、AI導入そのものを目的化しないことが強調されています。

まず業務の流れや在り方を見直し、業務改善(BPR)の観点から整理した上で、AIをどのように活用することが有効かを検討するという考え方です。

また、AI利用の円滑な定着に向け、利用方法の共有サイトや相談窓口の整備、プロンプト事例の共有など、職員のAIリテラシー向上にも取り組んでいます。導入後の成果や課題について部門間で共有し、継続的な改善につなげることが想定されています。



4.2.3 AI活用に関する研究

PMDAでは、PMDA業務及び医薬品開発の効率化や質の向上のために、AIの導入と活用を進めています。

下記は、一例として、PMDAの参加する厚生労働科学研究では、承認申請時の提出書類である総括報告書(CSR)等の作成作業を効率化するための下記研究を行っています。その中で、PMDAでは審査報告書の自動作成を検討しています。研究で得られた結果をもとに、申請資料作成及び審査の効率化や質の向上について検討していきます。

研究課題名	生成AIを活用した薬事承認申請・審査関連文書作成の推進のための研究
研究の背景・目的	医師主導治験やアカデミア・スタートアップによる医薬品開発が増加する中、総括報告書(CSR)や承認申請資料の作成は大きな人的・時間的負担となっている。一方、PMDAにおいても提出文書の質は審査の迅速性・正確性に直結しており、文書作成・審査双方の効率化が課題である。 海外ではFDAで生成AI活用が進み、日本でも国立がん研究センターにおけるCSR自動作成のパイロット研究で高い有用性が示されている。そこで本研究では、生成AIを活用し、CSRや承認申請情報サマリー(審査報告書案等を含む)を高精度かつ効率的に自動作成する技術基盤を構築し、薬事領域におけるAI活用の社会実装と将来的な規制整備・活用推進に向けた提言を行う。
各年度の主な目標	**【令和7年度】** 医師主導治験を対象としたCSR自動作成、さらなる精度向上 PMDAでは、承認申請情報サマリー自動作成の初期モデル構築 **【令和8年度】** 複数の医師主導治験・他機関データを用いた汎用的CSR自動作成の検討 企業治験への適用可能性検討 海外の生成AI活用動向調査 **【令和9年度】** ベンダー支援なしでのCSR自動作成体制の確立 承認申請情報サマリーの品質向上 薬事領域におけるAI活用に関する政策・規制面の提言整理
期待される効果	本研究により、医薬品等の開発・審査関連文書作成へ生成AIを活用することで、研究開発から承認審査までの効率化と質の向上が期待される。具体的には、限られた人員・ノウハウ下にある医師主導治験やスタートアップ企業において、文書作成の時間・労力・コストを大幅に削減し、臨床試験や申請準備への集中を可能とする。さらに、開発から審査に至る文書の標準化・高品質化により、PMDA提出資料の統一性が向上し、審査の効率化、信頼性向上、判断の迅速化に資する。加えて、多様なステークホルダーのニーズを踏まえた実践的なAI活用モデルを構築するとともに、セキュリティや留意点を整理することで、将来的な規制整備や社会実装に向けた提言につながる。

PMDAにおけるAI活用の取り組みは、段階的かつ着実に進められています。

医薬品・医療機器の薬事規制においては、科学的妥当性と社会的信頼が不可欠であり、AIの活用においてもその前提は変わらない。AIを「使うこと」自体を目的とするのではなく、業務・審査の質を高め、国民の健康と安全に資する形でどのように活用していくか。PMDAでは、引き続き慎重かつ前向きに検討を重ねていくこととしています。

5. 外部有識者メッセージ

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED） 理事長

中釜　斉

近年、医療・創薬を取り巻く環境は急速に変化し、創薬シーズの実用化に至るまでのプロセス全体を俯瞰したレギュラトリーサイエンス（RS）の重要性は一段と高まっています。医薬品・医療機器等の実用化には薬事規制への対応が不可欠ですが、新規モダリティを含む革新的製品は承認実績が乏しく、規制の考え方が十分に整理されていない場合があります。各モダリティの特性を踏まえた規制の整備や、品質・有効性・安全性を予測・評価するためのガイドライン策定など、規制要件の早期明確化は、必要な研究の方向性を示し、実用化を加速する上で極めて重要です。そして、この薬事規制の科学的根拠を構築する役割を担うのが、まさにRS研究です。

AMEDは、我が国の医療分野の研究開発と環境整備を担う資金配分機関として、PMDAをはじめとする関係機関と連携し、科学的知見の創出とその適切な活用に取り組んできました。本報告書に示されているPMDAの人材育成、先端科学技術への対応や情報発信の強化、異分野融合課題への取組やリアルワールドデータを活用した安全性評価、NAMsやAI活用などは、我が国の医療の質と創薬力を支える基盤として重要です。AMEDとしても、研究費の適切な配分と研究環境の整備を通じて、これらの活動を支える科学的基盤の強化に努めてまいりました。

遺伝子治療、再生医療、デジタルヘルス、データ駆動型医療などの新領域では、研究開発と規制が同じ方向を向き、早期から科学的論点を共有することが不可欠です。PMDAが実施するEarly Considerationや科学委員会での議論はその実践であり、AMEDとしても、研究者コミュニティとの連携を通じて科学的エビデンスの創出と国際的な整合性（ハーモナイゼーション）の確保に貢献していきます。

今後も、研究開発とRSの連携を一層強化し、科学的根拠に基づく医療の発展と国民の健康・安全の向上に寄与できるよう取り組んでまいります。本報告書が、PMDAのRS活動への理解を深め、我が国の医療・創薬の未来をともに考える契機となることを期待しています。

編集後記

第3回となるRS活動報告書を公表することができました。PMDAでのレギュラトリーサイエンスに関する取組みについて、読者の皆様に役立つ内容となっていれば幸甚です。今後、内容等について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

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

（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 **2025**