

「第125回 医薬品評価委員会総会」を開催

秋の医薬品評価委員会総会は2015年11月27日に野村コンファレンスプラザ日本橋において開催しました。今回の総会テーマは、「生命科学立国に向けての国家戦略～健康・医療戦略を活かした医薬品開発～」として、今後わが国が医薬品開発に向けた生命科学立国としての国家戦略に対して、第1部では医薬品評価委員会の各部会より健康・医療戦略の新薬開発に関連した取り組みや提言を、第2部では厚生労働省および2015年4月に創設された日本医療研究開発機構 (Japan Agency for Medical Research and Development, AMED) としての取り組み、第3部ではAMED-PMDA連携協定下で産学官はいかに取り組み生命科学立国に向けた健康・医療戦略を推し進めるのかについて、産学官による率直かつ活発な対談が行われました。シンポジウムテーマの「生命科学立国に向けての国家戦略～健康・医療戦略を活かした医薬品開発～」の課題に対する会員各位の意識も高く、参加者約300名と活気ある総会・シンポジウムの開催となりました。

背景

2014年7月に閣議決定された「健康・医療戦略」によると、わが国は、産学官挙げての積極的な医療環境向上の取り組み、および国民皆保険制度など、世界屈指の優れた保健医療体制により世界最高水準の平均寿命の延長を達成し、人類誰もが願う長寿社会を実現したとしています。その一方で他国に先行した高齢化の進展により、労働人口比率の減少、老年人口の増加による医療費の増大など、この先各国が味わうであろう問題点の解決がいち早く求められる課題大国になったともいわれています。

今後のわが国の目指すところは、若い世代から高齢者に至るまで国民誰もが健康で生き生きと暮らせる、健康長寿社会を実現することであり、そのために必要な医療イノベーションの具現化が医薬業界に強く求められています。医療イノベーション推進では、革新的研究を進めるアカデミアとその実用化を目指す製薬企業ばかりでなく、その両者を規制(PMDA)と支援(AMED)の両面より支える官の役割が重要であり、産学官の円滑かつ緊密な連携が必要となります。

シンポジウム

第1部：各部会からの講演

(1) 基礎研究部会 部会長の渡部一人氏から、「世界をリードする創薬基盤へのおもい」と題した講演がありました。

われわれは日本成長戦略の「国民の健康寿命の延伸」実現へ向け、医療イノベーション5年戦略、健康・医療戦略推進法、日本医療研究開発機構(AMED)の設立、先駆け審査指定制度など、新たな国策が具現化しつつあるチャレンジングな変革の時期を迎えています。グローバル競争に負けない日本の底力を示すために、創薬の起点となる基礎研究への期待はますます高まっており、産学官+患の連携でシーズの有望性を早期に見極め、研究レベルにとどまらない医療現場の実用化までを俯瞰した開発力の強化が喫緊の課題です。AMEDを主軸とした創薬支援ネットワークの推進はもとより、創薬基盤の拡充と高精度化(ヒト予測性、正確性)による早期臨床試験での効率的なProof of Concept (PoC) 確立、大規模臨床試験での成功確率の向上を実現するために、開発全体のプロセスを大胆に見直し加速する取り組みを行政・業界双方の努力で進めなければなりません。世界に先駆けて画期的新薬を早期に患者さんへ届けるために、われわれができることは何でもやります。

(2) 臨床評価部会 部会長の中島唯善氏から、「治験先進国を目指すために取り組むべき事項」と題した講演がありました。

「医薬品産業強化総合戦略～グローバル展開を見据えた創薬～(平成27年9月4日 厚生労働省)」では、わが国の製薬産業が創薬をめぐる国際競争に打ち勝つための産業構造やイノベーションの強化を打ち出しています。臨床研究・治験に関する

イノベーション推進では、わが国が世界をリードする「治験先進国」を目指すべきとされ、国際共同治験の大規模化を踏まえた臨床研究・治験活性化などの措置の重要性を説いています。過去3回の治験活性化計画(現 臨床研究・治験活性化5か年計画2012)により、治験コーディネーター(Clinical Research Coordinator、CRC)育成を含む治験施設側の環境整備は着実に進んできました。しかしながら、開発手法や開発領域が大きく変わりつつある中、「治験先進国」の観点では、医療機関の治験部門について“治験もできる”体制から“治験用に最適化した”体制へ変化すべくさらなる改革が必要であり、特に医療機関内での品質管理体制やマネジメント機能、症例集積性向上の観点で機能する治験ネットワーク構築、透明性・納得性のある費用算定、ITの積極的活用は不可欠です。製薬企業側も医療機関の変化を推進するための対応と、当該変化を効果的に活用できる柔軟性が必要になるでしょう。

(3) データサイエンス部会 部会長の小宮山靖氏から、「世界の育薬に貢献できる日本になるために」と題した講演がありました。

ドラッグ・ラグの時代、国際共同開発が広まっていった時代を経て、先駆け審査指定制度は諸外国よりも日本が先行して市販が開始される環境を作りつつあります。医薬品の販売直後から1、2年は、開発段階では検出されなかった新たなリスクの発見や、医薬品と重要な事象との因果関係の見極め、さらにはリスク集団の特定に結び付くエビデンスの積み上げを行うという安全性評価の最前線となります。日本は安全性評価の最前線に立ち、日本の後に他国で使用が開始される医薬品について、世界の育薬に貢献できる情報を発信できるような国にならないといけない。そのためには、ほぼ「日本ではどのような条件下で、何ほどの程度の頻度で起こるか」しか情報を与えてこなかった使用成績調査や特定使用成績調査に強く依存した現在の安全性監視の体制を変えることが喫緊の課題となります。この課題を広く認識していただくために、日本薬剤学会の「よりよいPharmacovigilance Plan策定に向けての提言タスクフォース」が提言(<http://www.jspe.jp/committee/020/0290pvptf/>)を出しました。詳細はそちらを参照してください。

(4) PMS部会 副部会長の慶徳一浩氏から、「先駆け時代の市販後安全対策、RMPについて」と題した講演がありました。

先駆け審査指定制度のスキームでは、承認審査期間が短いことから医薬品リスク管理計画(Risk Management Plan、RMP)の策定を含め、市販後安全対策に関するあらゆる準備を前倒しで進め、事前評価の段階で検討できるようにしておく必要があると考えます。先駆け品目は、有効性はもちろんのこと、作用機序の新規性、有害事象の発現率・コントロール性など、従来品よりも切れ味が鋭い医薬品です。治験でわかることに限界があるからこそしっかりしたRMPを策定してリスクに備え、世界に先駆けて承認されることへの責任を果たすために世界に役立つベネフィット・リスク情報を発信する必要があります。そのためには、意味のある安全性監視、リスク最小化活動を行う必要があり、開発チームのメンバーなど社内関係者との今まで以上の連携が必須となります。このような状況では、多くの会社でRMP策定の中心となっているファーマコビジランス担当者は、市販後安全対策は今までと同じで良いのかという問題意識をもつべきです。自分自身や家族が患者になったことを想定して、信頼できる市販後安全対策を行うべきです。



厚生労働省 大臣官房 審議官の
森和彦氏

第2部：特別講演

(1) 厚生労働省 大臣官房 審議官の森和彦氏から、「先駆けパッケージ戦略の実現に向けて」と題した講演がありました。

2012年に米国食品医薬品局(Food and Drug Administration、FDA)が画期的治療指定制度(Breakthrough Therapy Designation)を開始した時には、驚きと焦りを感じたことを今もよく覚えています。

21世紀に入って間もなく、FDAが新薬開発の世界的な効率低下を懸念して、Critical Path Initiativeを発表した時にも薬事規制当局が新薬の臨床開発を促進するためにやるべきことがあるという驚きを覚えました。さらに特別な優先審査の仕組みを設けて世界ではじめて開発される画期的治療薬の登場をFDAが全面的に応援するというのです。

世界の中で新薬を生み出す能力と実績を有する国は限られており、日本もその一角を担っています。世界中で登場する新薬の1割強が日本発の新薬です。しかし、近年の新薬開発の成功率低下、抗体医

薬を中心としたバイオ医薬品の開発の活発化といった世界的動きの中で、今後も日本が新薬開発において活躍し続け、日本の患者さんがその恩恵を速やかに受けられるようにする必要があります。

2014年6月に厚生労働省のプロジェクトチームは「先駆けパッケージ戦略」をとりまとめ、公表しました。その背景には、このような世界的な情勢に対する薬事規制当局としての危機意識があります。特にこの戦略の中で一番の重要施策として掲げられたのが「先駆け審査指定制度」です。

世界の先頭を切って画期的な新薬を開発するのは非常に困難な仕事ですが、薬事規制上の不確実性をできる限り少なくし、科学的に必要なデータ作成を効率的に進め、市販後も計画的にメリハリのついたデータ収集・評価を継続することによる全体的な開発の効率化・迅速化を今や世界中が競って進めています。

先駆けパッケージ戦略は公表後間もなく英語訳も提供され、世界中の製薬業界、薬事規制当局ともに「SAKIGAKE」という呼び名を知り、強い興味を示しています。そのことは、11月にメキシコシティで開催された薬事規制当局サミットの場においても各国の代表からの発言、質問に明確に現れていました。

そして、ついに厚生労働省は2015年10月27日に初めて6品目を先駆け審査指定品目として選定し、公表しました。先駆け審査指定制度は、その第一歩を歩みはじめたところですが、今後、指定された品目の開発が順調に進み、迅速に承認に至るとともに、さらに多くの先駆け審査指定品目の候補が世界中から日本に集まり、活発に日本で臨床開発が進められることに大きな期待を持っています。

日本で生まれる新薬が世界の患者の希望の光となるように心から願っています。



AMED 理事長の末松 誠 氏

(2) AMED理事長の末松誠氏から、「日本医療研究開発機構のミッションと展望～難病研究開発推進による課題解決～」と題した講演がありました。

2015年4月よりAMEDが発足しました。医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進、成果の円滑な実用化、および医療分野の研究開発のための環境の整備を総合的かつ効率的に行うため、健康・医療戦略推進本部が作成する医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発およびその環境整備の実施、助成などの業務を行うことがその目的です。

医療分野研究開発推進計画では9つの重点施策が成果目標とともに示されており、その1つである「難病」に係る取り組みとして、AMEDは「未診断疾患イニシアチブ (Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases, IRUD)」を立ち上げました。有効な検査・治療法が見つからない、その疾患の専門家がほとんどいないなど、さまざまな困難に直面している希少・未診断疾患の患者さんの診療に必要な体系的医療システムと患者情報を収集蓄積・開示するシステムの構築、そして研究開発の促進を目指すものです。

また、AMEDは、2015年7月、未診断疾患に対する取り組みを進めているイギリス、アメリカなどの国々が参加する国際希少疾患研究コンソーシアム (International Rare Diseases Research Consortium, IRDiRC) に加盟しました。数ある医療研究の領域でなぜこの領域からスタートを切ったのかといえば、医師の間でのデータシェアリング、統一的に動く治験審査委員会 (Institutional Review Board, IRB) の仕組み、1人の患者さんの診断を正確につけるために必要な「人の輪」、限られた研究費を多彩な疾患の解明に効果的に使うための高額機器の共有など、ほかの研究領域でも求められる制度改革の課題が集約された領域でもあるからです。

第3部：対談

AMED理事長の末松氏、PMDA理事の長野哲雄氏、山梨大学 副学長の岩崎甫氏、製薬協 医薬品評価委員会の稲垣治委員長の4名により、座長を務める川原章専務理事のもと、活発な対談が行われました。

対談に先立ち、長野氏より、2015年8月19日に締結したAMED-PMDA連携協定についての紹介がありました。AMED-PMDA連携協定では(1)薬事戦略相談の活用、(2)AMEDの研究評価への協力、(3)臨床研究・治験環境整備に関する相互協力、(4)情報の共有、この4つに重点を置いておるとし、連携状況についても実例を挙げ説明がありました。

対談では、岩崎氏よりアカデミア研究者の最近の変化として、自らの研究を論文として早期に世に出すだけにとどまらず、医師として研究の成果を早期に患者さんに役立てたいとの思いは以前より非常に強くなってきており、AMEDの支援を受け



対談の様子

実用的な対応を行っていただいている状況についての説明がありました。ただ、アカデミア側は研究と実用化のバランス、論文と知財のバランスなどに理解が薄い傾向にあるので、今後はそのバランスをどのようにとることが重要であるとして、稲垣委員長は、まずAMEDがさまざまな死の谷を克服する努力をするとともにAMED-PMDAの連携協定による研究開発の支援策に敬意を示し、そのうえで、アカデミアはAMEDのファンディングにより研究を進め、かつ連携協定により、実用化に向け適切な方向性に導かれ、その研究成果が企業で活用可能となることを期待していると述べました。

また、稲垣委員長は知財管理も重要となることから、連携協定による知財戦略にも焦点をあてて対応してほしいとの見解を述べました。その知財管理について末松氏は、AMEDとしても知財は重要としての認識から知財管理は進めているが、まだまだ改良の余地があるとして、知財管理には、将来の利用価値まで予測できる知財の専門家が必要であるとの考えを述べました。

岩崎氏は、ノーベル賞受賞者の大村智氏が語った知財の価値最大化の話を紹介しました。大村氏の特許に関してアメリカに大村氏を招聘した先生から契約方法のアドバイスを受け、「契約方法をロイヤルティー方式に代えたことにより、当初示された一時金3億円が総額で200億円になった。特許とは自分の研究をさらに進めるためのお城をつくる(研究費獲得)ようなものだ」と、教えられたとのことでした。

また、連携協定により強く意識されてくるようになってきた出口戦略について、稲垣委員長から、連携協定によりAMEDからPMDAに最新の研究開発動向などの情報を提供することにより薬事戦略相談の効率化に結び付けてほしいと要望し、長野氏は、アカデミアは薬事戦略相談をもっと有効に活用してほしいとしました。また、今後の産学官での率直な意見の交換の必要性について、産学官が一堂に会しながら自由にディスカッションすることが非常に重要との見解が示され、最後に今回のような機会も大切に、企業側としてもいろいろな集まりに参加するとともに、今まで以上に頑張らねばならないと、川原専務理事より本対談のまとめが行われました。

終わりに

最後に医薬品評価委員会の稲垣委員長より、講演および対談に参加いただいた方々へのお礼の言葉と、業界としても医療イノベーションの推進に尽力していくとの決意表明を閉会の辞とし、総会を終えました。

「生命科学立国に向けての国家戦略～健康・医療戦略を活かした医薬品開発～」に向けてAMEDが創設されたまさに今を、わが国の生命科学立国への目的に向かう元年とし、製薬協 医薬品評価委員会各位には密接な産学官連携のもと最大限の努力を行い、積極的に取り組んでいくことを期待します。

(医薬品評価委員会 副委員長 花輪 正明)