

## 「第131回 医薬品評価委員会総会シンポジウム」を開催

2018年11月28日、東京証券会館ホール(東京都中央区)において、「第131回 医薬品評価委員会総会シンポジウム」が「『進化する医薬品開発』—最先端技術の応用とレギュラトリー・サイエンスの両輪による革新的医薬品の創出を目指して—」をテーマに開催されました。今回のシンポジウムでは、基調講演として3名の外部講師を招き、アカデミアから国立がん研究センター中央病院の中村健一氏、行政から独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)初代レギュラトリーサイエンスセンター長の新井洋由氏、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課課長補佐の荒木康弘氏より、医薬品開発に対する新規技術の応用に関連した話題について講演がありました。



会場の様子

### はじめに

近年、さまざまな最先端技術の臨床応用が現実のものとなりつつあり、核酸医薬、ゲノム創薬、ゲノムによる個別化医療、ビッグデータの活用、AI等の進展により、革新的な医薬品の新たな開発戦略、開発手法として、これらの最先端技術を採り入れた臨床試験が、実際に国内外で実施され始めています。また、リアルワールドデータや疾患レジストリデータの医薬品開発への利用、MID-NET等の医療情報データベースの市販後安全対策への利用についても、ここ数年で急速に検討が進み、次世代医療基盤法の施行等により企業が利用しやすい環境整備が進められています。

医療情報の利活用を含む革新的ツールの開発を前輪とし、制度改革・法整備という行政からの後押しを後輪として、両輪がうまく回転することで革新的な医薬品の創生が可能となると考えられます。この四輪駆動状態こそが進化したレギュラトリー・サイエンスの一形態であり、医療イノベーションを生み出す基盤そのものであります。

## 基調講演I

国立がん研究センター中央病院の中村健一氏からは、「個別化医療の実現に向けた新たな臨床開発手法への取り組み」と題して、現在、国立がん研究センターで進められているがん多遺伝子パネル検査の活用や希少がんデータベースの確立を目的としたレジストリ研究、これら遺伝子情報を含めたバイオマーカーに基づく新たな臨床試験デザインの工夫等について、具体的な取り組み内容や課題について紹介がありました。また、希少がん患者への治療機会の提供に関する患者申出療養制度を活用したCompassionate Useという新たな枠組みについても提案がありました。



国立がん研究センター中央病院  
中村 健一 氏



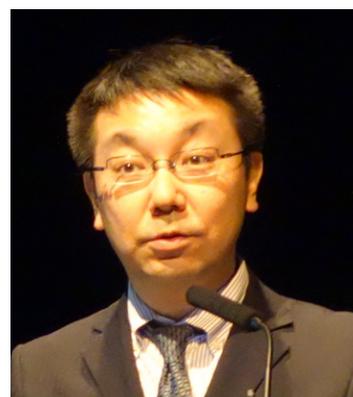
PMDA 新井 洋由 氏

## 基調講演II

PMDAの新井洋由氏からは、「医薬品開発への活用が期待される先端科学技術と評価の考え方」と題して講演がありました。PMDA自らが臨床データ等を活用した解析や研究を行い、積極的に医薬品の有効性・安全性を予測し、本邦発の革新的創薬を推進するという期待に対応するための取り組みとして、臨床薬理領域においてもPMDA審査員が解析を実施していることを紹介しました。また、リアルワールドデータである患者レジストリあるいはMID-NETの利活用推進に加えて、ナショナルレセプト等の電子診療情報等の活用を通じた医薬品の承認審査および安全対策の質の向上のため、安全性情報の評価にリアルワールドデータを用いた解析にも本格的に取り組み始めているそうです。さらに、科学委員会によるイノベーションの実用化支援のほか、ホライズンスキミングの手法の開発をはじめとした、国際的な規制対応について議論を行う薬事規制当局国際連携組織(ICMRA)活動を通じて、国内外の最先端科学技術の情報を積極的に収集すること等について紹介がありました。

## 基調講演III

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課課長補佐の荒木康弘氏からは、「新たな医薬品開発方法に対応する制度上の課題と展望」と題して講演がありました。2018年より医薬品医療機器制度部会において検討が開始された医薬品医療機器等法に係る制度改革の議論の中で、ゲノム創薬等や個別化医療への取り組みが進み、リアルワールドデータの利活用が具体的に開始される等、医薬品開発に係る手法が変化する中、日本の創薬にまつわる制度設計についても、現在変革の時期にさしかかっている現状とともに、このような議論の進む中で行政側での薬事制度の改正に対する課題や考え方として、未充足ニーズを満たす医薬品のより詳細な定義が必要であること、小児開発の推進に資する検討の必要性、「革新的医薬品」「条件付き早期承認制度」の対象となる医薬品の範囲、上記を踏まえた、再審査期間を含むインセンティブの整理等について紹介がありました。



厚生労働省 医薬・生活衛生局 医薬品  
審査管理課 課長補佐 荒木 康弘 氏

## 製薬協からの報告

基調講演に引き続き、製薬協医薬品評価委員会専門部会からは、データサイエンス部会の山本英晴副部会長が「個別化医療用医薬品開発のための新たな試験デザインの選択と留意点」と題して、オンターゲット由来の薬剤で有効性を検証できた事例とできなかった事例を報告しました。PoC (Proof of Concept) 判断の難しさや、バスケット試験やアンブレラ試験の選択等の課題についても紹介がありました。電子化情報部会の井上佳紀運営幹事からは、「臨床試験での最新の電子化ツールの活用状況並びに課題について」と題し、電子化情報部会内で実施したIoTの利用状況のアンケート結果をベースに、臨床試験での電子化ツールがどのように活用されているのか、現状と課題について紹介がありました。

## パネルディスカッション

5名の演者による講演・報告の後、製薬協医薬品評価委員会の国忠聡委員長、菊地主税副委員長の座長のもと、パネルディスカッションが行われました。

パネルディスカッションでは、新井氏より、PMDAの次世代評価手法推進部と各審査部との連携、生物統計家や若手の育成に取り組んでいる事例の紹介がありました。中村氏からは、レジストリ研究は重要であり、MASTER KEYプロジェクトの登録症例は日々増えており、今後の早期承認の根拠データや条件付き早期承認への利用可能性の展望について解説がありました。荒木氏からは、リアルワールドデータの承認申請への利活用と薬事戦略相談の有用性の話があり、30分のパネルディスカッションでは足りないほど、活発な議論が盛り上がりました。

(医薬品評価委員会 花輪 正明)