

目で見る製薬産業

小児用医薬品の国内承認及び収載に関する最新動向

- ・ 小児用医薬品に対するニーズは高いものの、開発難易度や採算性などの観点で課題が残っている。
- ・ 2018 年 1 月から 2024 年 12 月に日本で承認された新医薬品のうち、小児適応に関連する承認は 237 件あり、うち 72 件が新有効成分医薬品であった。小児適応に関連する承認件数は最大でも各年の全承認件数の 3 割程度であったが、小児適応に関する承認件数及び全承認件数に対する割合は調査期間中で増加傾向を示した。
- ・ 分析対象とした小児適応関連の承認のうち、40%が希少疾病用医薬品であった。申請データの動向として、公知申請によるものが 10%、海外臨床試験成績のみでの承認は 4 %であった。その他は日本国内のデータを取得しており、日本を含む国際共同治験を実施したものが 41%、その他は 45%であった。
- ・ 同一の疾患において成人での承認取得から小児の承認取得までのラグ期間について調査したところ、小児適応の承認のうち 77%が成人からの遅れなく承認されていた。
- ・ 薬価上の評価に関しては、収載時の加算では 2024 年度では突出して規格間調整のみの算定における特例（小児加算）への該当件数が多かった。薬価改定時の小児加算は件数も増加傾向だが、2024 年度以降で高い加算率に該当したものが顕著に増加した。

Points of View

製造販売後調査等に関する最近の動向と製造販売後データベース調査の経済性評価

- ・ 製造販売後調査における使用成績調査等の最新動向を整理し、さらに製造販売後データベース調査（以下、DB 調査）活用による経済性評価を行うことを目的として、2020～2024 年度の新医薬品承認品目の医薬品リスク管理計画（以下、RMP）を対象に調査を行った。
- ・ 新医薬品承認において策定される初回 RMP は 37.0%で新有効成分含有医薬品が多くを占めた。その数には大きな変化は無いが、承認により新たに計画された調査総数は 2024 年度に減少傾向が認められた。
- ・ DB 調査については、製造販売後調査総数が減少する中で件数は横ばいで割合が増加していた。また、DB 調査では大規模かつ対照群を設定した調査が可能であり、対照群を設定しない小規模な旧来の使用成績調査との違いが鮮明となった。一方で、使用されるデータベースは限定的であり、利活用可能なデータベースやレジストリに限界があるといえる。DB 調査の活用は特に外資系企業で多く、また、1 企業が複数計画している割合が大きい。
- ・ 従来の使用成績調査から DB 調査への選択の移行がもたらす業務プロセスの変化と各プロセスで発生するコストを整理し、DB 調査への移行可能率から調査期間 5 年のコスト削減効果は約 92 億円となると試算した。
- ・ 製造販売後調査における DB 調査の活用実態を検討した結果、全例調査や対応可能なデータベースの不足、企業の利活用経験の偏りなどが活用の障壁となっていることが示唆された。一方で、DB 調査の適切な活用により、調査負担の軽減と経済的効果が確認され、今後の選択肢としての意義が示された。

公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告①

－利活用の可能性と課題－

- ・ 現在、厚生労働大臣等が保有する医療・介護に関する公的データベースの仮名化情報の利用・提供や、他の仮名化情報、次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析が制度的に検討されている。
- ・ こうした背景を踏まえ、製薬企業における公的データベース等の利活用の実態や将来的な活用にに向けた期待・課題を明らかにすることを目的として、日本製薬工業協会（以下、製薬協）の医薬品評価委員会所属の加盟 74 社を対象にウェブアンケート調査を実施した。
- ・ 公的データベース等の活用実態については、全回答の約 4 割が、活用または検討した経験があると回答し、一定の取組みが確認された。
- ・ 今後の活用意向については、全回答の約 7 割が前向きであった。
- ・ 拡充が期待される情報としては、患者背景、カルテ由来、検査関連のデータが挙げられ、特に臨床検査値、画像データ、医師所見、任意接種の記録に対する要望が寄せられた。
- ・ 今後の利活用にあたっては、制度・運用面の課題に加え、製薬企業側の理解や体制の整備も障壁となっており、実務に即した制度設計と企業側の体制強化の両面が求められる。

公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告②

－格納情報の整理とユースケース－

- ・ 公的データベースと医療等情報の利活用拡大に伴う将来的なユースケースについて、前報「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告①－利活用の可能性と課題－」1) と同様のアンケート調査に基づいて、製薬企業による具体的な研究・分析の構想を紹介する。
- ・ 分析に先立ち、社会的認知の促進を目的として、11 種類の公的データベースと次世代医療基盤法に基づく認定データベースの格納情報を整理した。
- ・ ユースケースにおいて想定されている疾患領域として、「抗悪性腫瘍剤」が最多であったが、疾患を限定しない横断的研究も重視されていた。
- ・ また、活用したい公的データベース等の種類については、回答者の 74.5%が複数のデータベースの情報を連結して利活用したいと回答し、特に NDB との組み合わせの希望が多く見られた。
- ・ 製薬企業においては、複数の公的データベースの情報を連結し、それらを統合的に解析することにより、新たな治療法の効果や患者プロファイルを分析し、治療戦略を最適化する個別化医療の研究推進が実現可能となり、また、市販後の安全性監視の強化や効率的なエビデンス構築といった多方面での進展が望まれている。
- ・ 今後、医療等情報の二次利用を推進するためには法的整備や社会の理解が必要であり、製薬企業は積極的な利活用と、具体的な成功事例を通じてその意義を広めていくことが重要である。

FDA 公表データからみた Patient-Reported Outcome (PRO) の使用状況

- ・ 近年、医薬品開発における患者参画の重要性を産官学それぞれの立場から発信している。
- ・ 製薬協は「PPI/E (Patient and Public Involvement/Engagement: 患者・市民参画)、患者との Co-creation (共創)」を促進し患者・市民参加型創薬の実現を目指すとしている。
- ・ 患者を中心とした創薬研究や PPI/E の重要性が唱えられている中、積極的に患者自身による健康評価ツール「患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome, PRO)」を臨床試験に実装することの関心が高まっている。
- ・ このような背景を踏まえ、本稿では FDA が 2021 年に公表した、種々の疾患／症状に対して使用された PRO 等の評価ツールの情報を一元化した『CLINICAL OUTCOME ASSESSMENT (COA) COMPENDIUM』を分析した。
- ・ 173 の疾患／症状、296 の試験薬の臨床試験において、PRO の使用数は 216 であり、その数は臨床医による評価 (ClinRO) 数の 9 割弱であった。
- ・ 疾患／症状毎にみると、リウマチ性関節炎と類縁疾患、喘息等の慢性呼吸器疾患、女性の性機能障害で疾患特異的 PRO の使用が充実しており、各種疼痛疾患では、主に NRS や VAS といった基礎的な PRO が活用されていた。
- ・ 排便機能障害と各種てんかん症状においては、Diary (日誌) を利用した PRO が中心であった。
- ・ これら『COA COMPENDIUM』の分析から、PRO の使用と開発における今後の課題に関し若干の考察をする。

Patient-Reported Outcome (PRO) の最新動向

—臨床試験登録データベースを用いた調査・分析—

- ・ ClinicalTrials.gov に登録された PRO 関連臨床試験数、割合は、過去 15 年 (2009～2023 年) で増加傾向であるが、2020～2023 年は同程度で推移した。
- ・ 疾患カテゴリー別でみると、PRO 関連臨床試験数では Pathological Conditions, Signs and Symptoms、Neoplasms が上位だが、割合としては Musculoskeletal Diseases が多かった。
- ・ 試験 Phase 別 (Phase1～4) でみると、Phase3 で最も PRO 関連臨床試験の割合が高かった。
- ・ 国・地域別でみると Japan の PRO 関連臨床試験数については United States、Europe 各国に比べて少ないが、増加比は United States、Europe 各国と同程度であり、その割合も他の国・地域と比べ大きな差はなかった。一方、China は割合が他の国・地域に比べ低い傾向が見られた。