

I 日本の医薬品開発の課題

「創薬推進における PMDA の役割とレギュラトリーサイエンスに基づく取組み
ー合理的な医療を目指してー」

近藤達也（医薬品医療機器総合機構 理事長）

1. PMDA について

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA; Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）は厚生労働省所管する独立行政法人の一つで、平成 16 年 4 月 1 日に設立され、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」及び「独立行政法人 医薬品医療機器総合機構法」に基づき、「健康被害救済業務」、「承認審査業務」、「安全対策業務」を実施している。この 3 つの業務を実施しているのは日本では PMDA だけであり、また、世界を見渡しても、同じ機関が担っているのは、日本のみである。この仕組みは日本独自の「セイフティ・トライアングル」と称しており、世界からも評価されている。

PMDA では、「レギュラトリーサイエンス」の概念を基に、全人的な医療の実現に向けて、革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品をより早く国民の皆様が享受できるよう、日々の業務を実施している。これらの PMDA の業務の中から、創薬推進における PMDA の役割とレギュラトリーサイエンスに基づく取組みについて紹介する。



2. レギュラトリーサイエンスとは

レギュラトリーサイエンス（以下「RS」という。）は、1987 年に当時の国立衛生試験所

(現・国立医薬品食品衛生研究所)の副所長であった内山充博士によって提唱された。

内山博士によれば、RSは、

- ・科学技術の進歩の所産をメリットとデメリットの観点から評価・予測する方法を研究し、社会生活との調和の上で、最も望ましい形に調整 (Regulate) すること。
- ・また、そこでのコンプライアンスが必要であること。

を指し示す概念であり、その上で、

- ・科学技術のもたらす成果を良いことも、悪いこととも的確に予測するという「評価科学」と、
- ・そのうえで、人間・社会との調整を実現するという「適正規制科学」

の2つの要素からなるものと定義し、その考えを、国内にとどまらず、国外に向けても発信された。

つまり、RSとは、物事を好き嫌いで判断するのではなく、絶対評価で新しい発明、発見の善し悪しを科学的に判断する考え方である。発明、発見の良いところをどのように世の中に活かしていくべきなのか、悪いところはどのように規制をかけてそのもののリスクを減らしていくのか、これらの要素を総合的に判断することは、薬事行政のみならず、医療全般やそれ以外の分野においても応用すべき考え方と私は考えている。

先ほど紹介したPMDAの3つの業務や、各種取組みについては、全てRSに基づいており、RSの概念はPMDAの業務の根幹となっている。

3. 創薬推進におけるPMDAの役割

PMDAは規制の立場ではあるが、高い透明性・公平性・倫理性の絶対的な確保を行った上で、医薬品等の開発に関する相談業務を行っている。

私は平成20年にPMDAの理事長に就任し、本年で11年目を迎えたが、就任当初は、ドラッグ・ラグといわれた医薬品の承認審査の遅延が世間から厳しく批判されていた。

そこで、当時力をいれていなかった相談業務を徹底することにした。これによって、個々の品目のRSの観点からの開発上の問題点を、承認申請前の段階から把握することができ、その時点から彼らとディスカッションすることによって、承認申請の時点では概ね解決することが可能になった。

その結果として、承認審査業務が効率化し、審査期間を大幅に短縮することができた。平成23年にはドラッグ・ラグをほぼ解消することに成功し、新薬の審査期間は世界の規制当局の中でも最速レベルとなったⁱ。

このように有望な医薬品等のシーズを早期に実用化するために、PMDAは重要な役割を担っている。

4. RSに基づくPMDAの取組み

PMDAではドラッグ・ラグをほぼ解消した後も、より有効でより安全な医薬品等をより早

く医療現場に届けるために、RSを用いて合理的・効率的な仕組みへと改革を行っている。

その主な取り組みとして、平成23年に製薬企業だけではなく、ベンチャー企業やアカデミアの有望なシーズを開発の次段階に結びつける「薬事戦略相談（現：RS総合相談・RS戦略相談）」を導入し、また、平成24年には国内トップクラスのアカデミアとの連携を強化し、最先端技術への対応を検討する「科学委員会」を設置した。

さらに、厚生労働省とも連携し、

- ① 世界に先駆けて日本で開発され、早期の治験段階等で著明な有効性が見込まれる革新的な医薬品等について、早期の実用化を目指す「先駆け審査指定制度」への対応
- ② 革新的な医薬品等の実用化を更に促進するために「イノベーション実用化支援」の体制の整備
- ③ 重篤で有効な治療法が乏しい疾患の医薬品で、検証的臨床試験の実施が困難なものや長期化するものを対象とした「条件付早期承認制度」への対応

など、RSの考え方を基本においた上で、積極果敢にチャレンジを続けている。

また、革新的な医薬品のリスクを最小限にコントロールするために安全対策の高度化を図っており、平成22年に薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会の最終提言等を踏まえて、医療情報データベース（MID-NET[®]; Medical Information Database Network）を構築し、平成30年4月より本格運用を始めた。

PMDAでは、MID-NET[®]やレセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）等の医療情報等のリアルワールドデータの活用を推進し、実医療下での医薬品等の有効性・安全性情報の収集・解析を今年度から積極的に行っている。

そして、申請電子データ（臨床試験の電子データ）やMID-NET[®]といった、新たな舞台装置も整ってきたことを踏まえ、審査業務や安全対策業務のより一層の質の向上を図るために、平成30年4月に、RSに関する活動を一元化した組織で有機的に連携しながら行うことを目的として、「レギュラトリーサイエンスセンター（以下「RSセンター」という。）を設置した。

PMDAは、RSセンターの取り組みを通じて、製品開発や市販後安全対策等のさらなる高度化の促進を図り、また、国際化に向けて、アジア医薬品医療機器トレーニングセンターの活動などを通じて、世界に積極的な情報発信を行うなど、今後も、「合理的な医療」を目指してⁱⁱ、RSの推進及び国際活動の強化にも注力していく。

ⁱ Centre for Innovation in Regulatory Science (CIRS) , 2018, R&D Briefing 67

ⁱⁱ 2017年2月にPMDAは「“Rational Medicine” Initiative - 「合理的な医療」を目指して-」のステートメントを公表。<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0021.pdf>