



レギュラトリーサイエンスと PMDAの今後の展開

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

理事長 近藤 達也

2014年3月15日
アジアデンタルフォーラム シンポジウム2014
「歯科医療機器のレギュラトリーサイエンスと国際規格: アジアへの貢献」

本日のお話

1. はじめに
2. これまでの課題と解決の基本方針
～レギュラトリーサイエンスの推進～
3. 革新的な製品の実用化に向けた取組
4. これからのPMDA



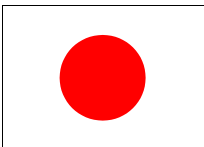
本日のお話

1. はじめに
2. これまでの課題と解決の基本方針
～レギュラトリーサイエンスの推進～
3. 革新的な製品の実用化に向けた取組
4. これからのPMDA



2

世界の薬事の審査体制



日本

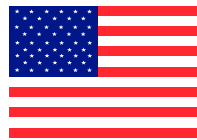
科学的審査:

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

PMDA

行政的判断:

厚生労働省



米国: FDA



欧州: EMA

日米欧: 世界の薬事3極



3

薬事とは

- 医療等に提供される医薬品・医療機器等の品質、有効性、安全性の確保の為に規制や、新薬、医療機器の研究開発を促進の為に必要な措置を講ずることにより保健衛生の向上を図ることにある。ここでは常に信頼性確認が求められる。
- 医療: Individual Medicine (Health)
- 薬事: Public Medicine (Health)
- 薬事は究極の医療倫理といえる



4

PMDAの役割・3つの業務

セイフティ・トライアングル

～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～



5

本日のお話

- 1. はじめに
- 2. これまでの課題と解決の基本方針
～レギュトリーサイエンスの推進～
- 3. 革新的な製品の実用化に向けた取組
- 4. これからのPMDA



6

PMDA改革の戦略と施策

PMDAを 取り巻く環境	問題解決のための 基本方針	これまでの取組み
◆ドラッグ・ラグ ◆デバイス・ラグ ◆安全対策の 強化・充実	◆PMDAの理念 (Mission Statement) ◆レギュトリー サイエンスの推進 ◆国際連携の強化 (Win-Win Relationship)	●成長戦略に基づく増員等の 組織体制の強化 ●アカデミアと連携した レギュトリーサイエンスの実施 ー連携大学院の設置 ー科学委員会の設置 ー革新的医薬品等実用化促進事業 等 ●薬事戦略相談の開始 ●電子診療情報等を用いた 安全対策の強化・充実 ー医療情報データベース基盤整備事業 等 ●副作用等救済制度への対応強化 ●欧米並びにアジア諸国を含む 世界各国との連携強化
● 薬事は究極の医療倫理 ● レギュトリーサイエンスはその科学		



7

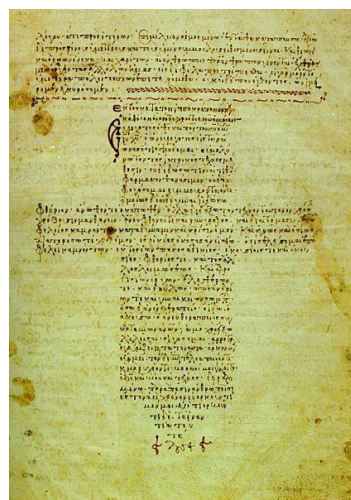
PMDAの理念 (2008年9月)

わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点での確かな判断を行います。
- 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

なぜレギュトリーサイエンスなのか

ヒポクラテスの誓い BC 4C



AC 12C 東ローマ帝国の写本
(ウィキペディアより)

ヒポクラテスの誓い

- 医の神アポロン、アスクレーピオス、ヒギエイア、パナケイア、及び全ての神々よ。私自身の能力と判断に従って、この誓約を守ることを誓う。
- この医術を教えてくれた師を実の親のように敬い、自らの財産を分け与えて、必要ある時には助ける。
- 師の子孫を自身の兄弟のように見て、彼らが学ばんとすれば報酬なしにこの術を教える。
- 著作や講義その他あらゆる方法で、医術の知識を師や自らの息子、また、医の規則に則って誓約で結ばれている弟子達に分ち与え、それ以外の誰にも与えない。
- **自身の能力と判断に従って、患者に利すると思う治療法を選択し、害と知る治療法を決して選択しない。**
- 依頼されても人を殺す薬を与えない。
- 同様に婦人を流産させる道具を与えない。
- 生涯を純粋と神聖を貫き、医術を行う。
- どんな家を訪れる時もその自由人と奴隷の相違を問わず、不正を犯すことなく、医術を行う。
- 医に関するか否かに関わらず、他人の生活についての秘密を遵守する。
- この誓いを守り続ける限り、私は人生と医術とを享受し、全ての人から尊敬されるであろう！
しかし、万が一、この誓いを破る時、私はその反対の運命を賜るだろう。



10

科学的に行政を行うことが必要

レギュラトリーサイエンス

レギュラトリーサイエンスとは

科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく確な予測・評価・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

(第4次科学技術基本計画 平成23年8月19日閣議決定)



1987年:内山 充 博士により提唱
(当時 国立衛生試験所 ※副所長)
※現 国立医薬品食品衛生研究所

医薬品・医療機器等の分野では

実用化・普及のために必要とされる品質・有効性・安全性を「倫理観をもって国民が使ってもよいか」という観点から見定める科学



11

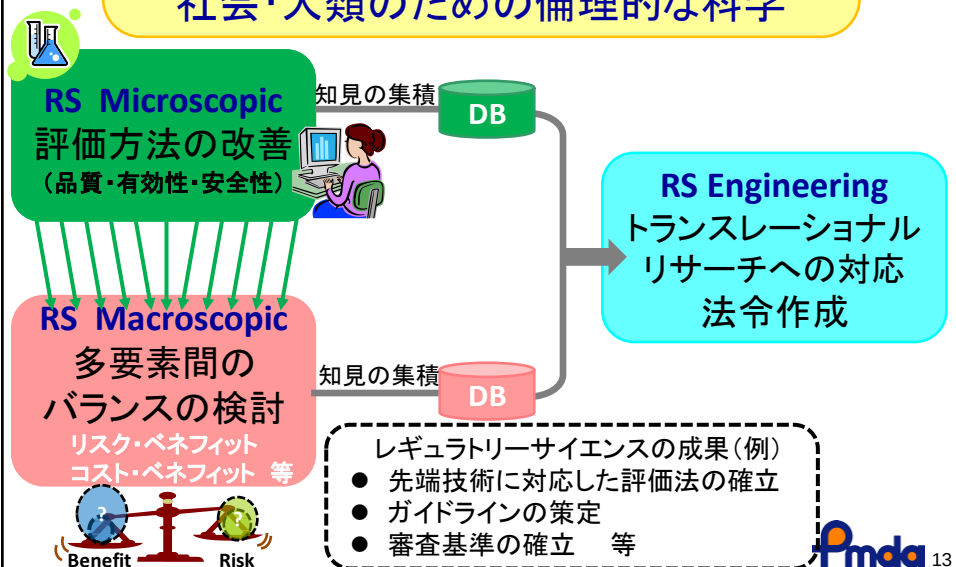
評価の科学

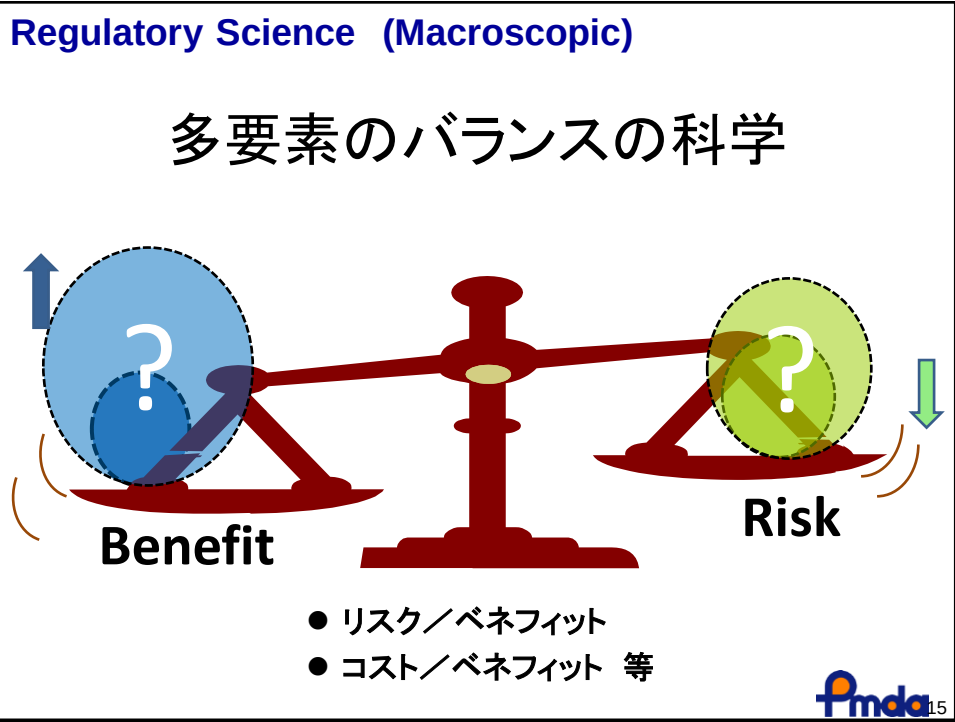
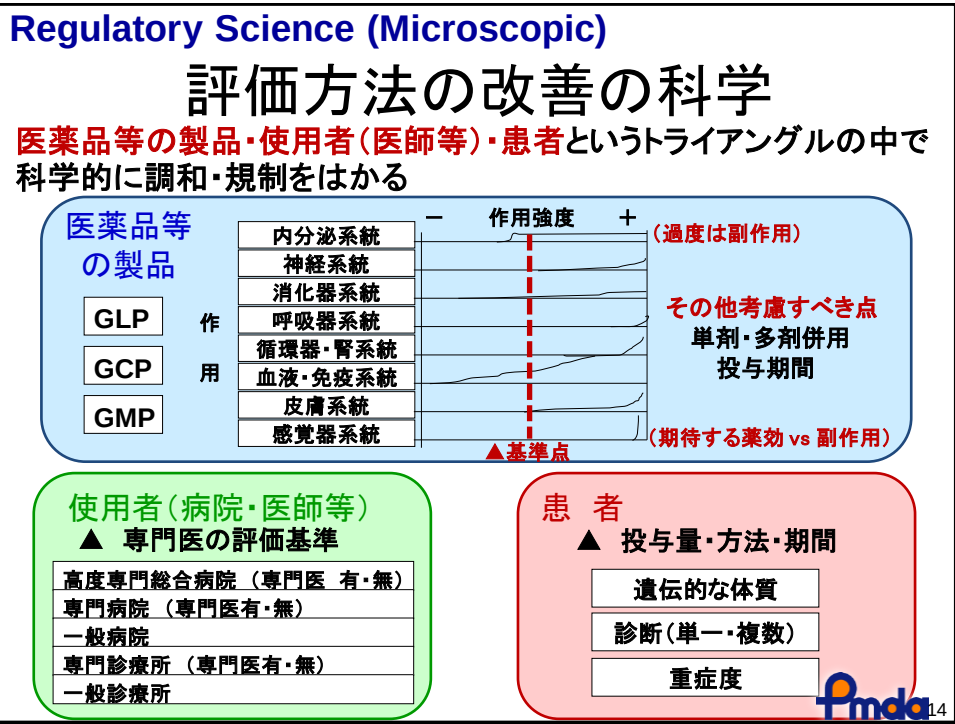
- 賢慮: Phronesisによる評価(内山充博士)
つまり様々な叡智に基づく科学的な評価
- 賢慮とは実践的価値の合理性を基礎とし、個々の異なる脈絡においてどのように行為をするか判断することや、常識や経験や直感の知を志向する実践的知恵(高質の暗黙知)といったものを包含した概念(野中郁次郎 一橋大学教授)
- つまり、賢さを数値化したり、序列化したり解析する Multidisciplinary Evaluation and/or Decisionということができる。これを如何に科学的な構築として組み立てることができるか。ここでは、基本的に倫理観が背景になければならない(近藤達也)

レギュラトリーサイエンスの3つの柱

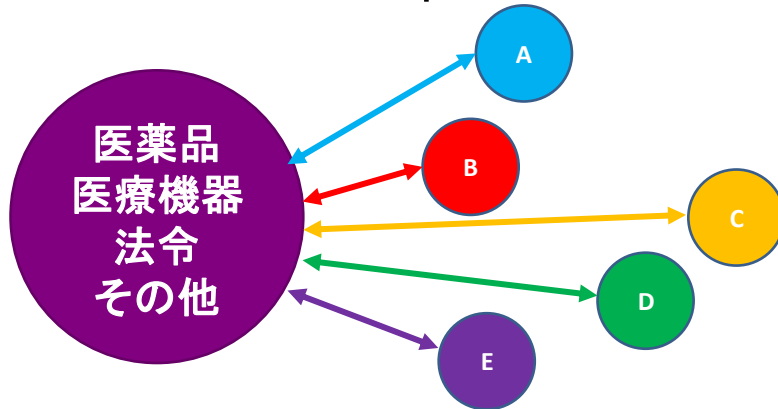
2010年10月 PMDAからの提唱 2013年5月改変

社会・人類のための倫理的な科学





Regulatory Science は Harmonization の科学 その基本は Compliance の科学



多くの次元の要素を満たす科学的判断
Multidisciplinary Science



Regulatory Science (Engineering)

トランスレーショナルリサーチへの 応用の科学

- 近未来の医薬品・医療機器を予測する研究
- トランスレーショナルリサーチに協力する方法の追求



レギュラトリーサイエンスの 社会への普及が重要

- 凡そ倫理観の無い学問や行政はありえないと考える
- 倫理観を背景とするレギュラトリーサイエンスは広く多くの学問並びに行政に根付く必要がある
- 今後、日本が世界に向かって大きな貢献をする基盤となることが期待される

近藤達也



科学する心とレギュラトリーサイエンス

- 社会は日進月歩である。昨日までの常識は今日になると非常識となることの毎日である。私達が、教わったり、当たり前のように言われていたことがそうではなくなり、それも明日は別のこととなっていくことも多い。
- 日常的に、こういうものであると定義されたものには、折に触れ例外があったり、矛盾に感じたり、時には真逆であったりすることがある。我々は神ではないので、その不合理を切り開いていくのは「理(ことわり)」を駆使することであり、それは限りある「知識」と「科学」の展開である。しかし、ここで「情」は様々な形で干渉するが、もしそこに許される条件があるとすれば、「人類への絶対的な愛」であろう。これが逆に「レギュラトリーサイエンス」の条件でもある。

近藤達也

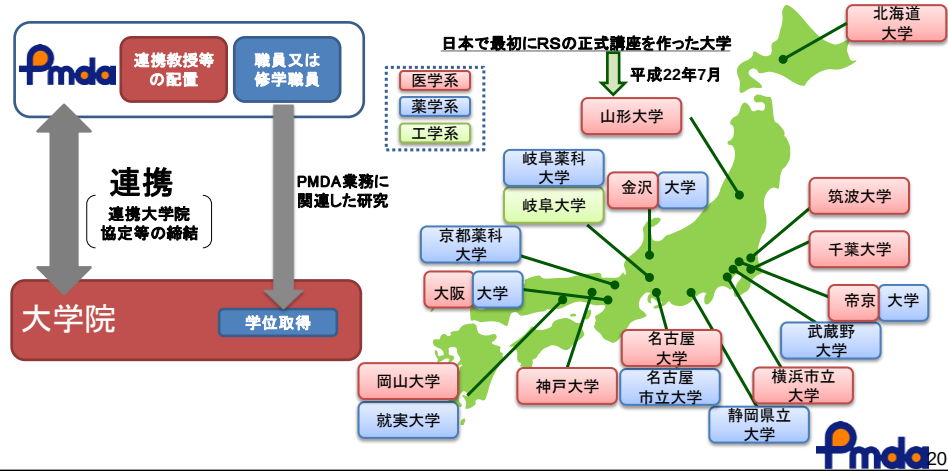


レギュトリーサイエンスの推進

連携大学院制度

PMDAの職員が社会人入学の形で大学院生となる又は大学院生が修学職員となり、PMDAの業務に従事しつつ、PMDA業務に関連した研究を行うことにより、学位取得を目指す制度

【18大学と協定締結（平成25年11月1日現在）】



国際連携の強化

基本方針の明確化

- 国際戦略の策定（2008年）
PMDA全体の国際活動の基本方針を明確化
- 国際ビジョンの策定（2011年）
今後5～10年で目指す「姿」を明確化
- 国際ビジョン・ロードマップの策定（2013年）
ビジョンを達成するために重点的に取り組むべき5つの分野を選定



トップレベルでの信頼関係の構築

薬事サミット：Summit of Heads Medicines Regulatory Agencies

- 主要国の医薬規制当局トップが参加し、年1回開催。PMDAも継続的に参加。
- 日本を含め、FDA（米）EMA（欧）TGA（豪）SFDA（中）MHRA（英）HSA（星）などの主要国規制当局が参加。

➡ 密な情報交換を実現

国際調和の推進

- 医薬品・医療機器の承認審査・安全対策等について、各極の規制当局担当者等と議論を行い、国際調和を推進
 - ICH（日米EU医薬品規制調和国際会議）
 - IGDRP（国際後発薬規制当局パイロット）
 - IMDRF（International Medical Device Regulators Forum）
 - HBD（Harmonization By Doing）
 - APEC LSIF RHSC
（アジア太平洋経済協力、生命科学イノベーション・フォーラム、規制調和運営委員会）等

各国との連携強化・協力体制の構築

米国・欧州・スイス・中国・韓国・シンガポール・インドネシア等

- 協力協定の締結（2004年～）
- リエゾンオフィサーの派遣（2009年～）
- シンポジウム等の共同開催（2010年～）



日本の薬事規制等の情報発信の充実

- PMDAトレーニングセミナーの開催
規制当局対象、日本の薬事規制を紹介
- 審査報告書や緊急安全性情報などの安全対策等について、英語での情報を発信（<http://www.pmda.go.jp/english/index.html>）

～対アジア戦略～

- ・トレーニングセミナー
- ・研修生受け入れ
- ・合同シンポジウム開催
- ・APEC LSIF RHSC 等

これらの活動を通じて、PMDAや日本の薬事規制への理解促進を図っている。

将来的には、審査・安全対策のPMDA方式の導入やPMDAの審査結果の利活用を進めることを目指す



アジアの薬事規制リーダーとしての地位を確立



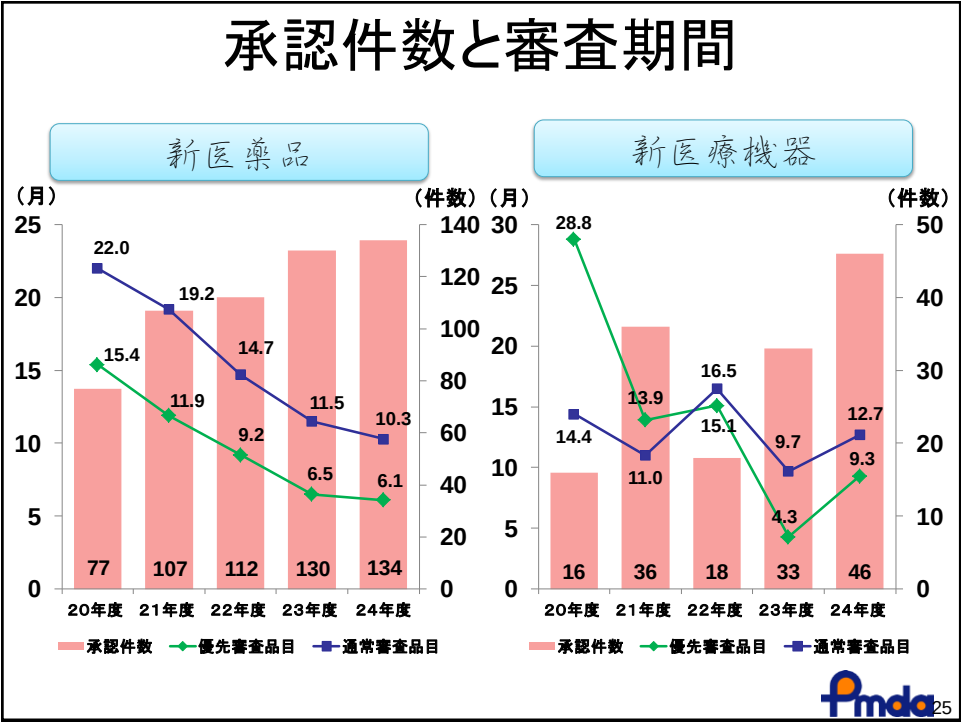
本日のお話

- 1. はじめに
- 2. これまでの課題と解決の基本方針
～レギュトリーサイエンスの推進～
- 3. 革新的な製品の実用化に向けた取組
- 4. これからのPMDA



24

承認件数と審査期間



25

日本の創薬・医療機器能力

創薬能力

- 創薬の歴史が深い
- 品質管理の歴史も深い
- シーズが多い
- 今後は医療の現場からのバイオマーカーの発見が期待できる

創医療機器能力

- 物造りの伝統
- 製造業の歴史が深い
- これからの軸足に医療機器産業が産学官で推進されている

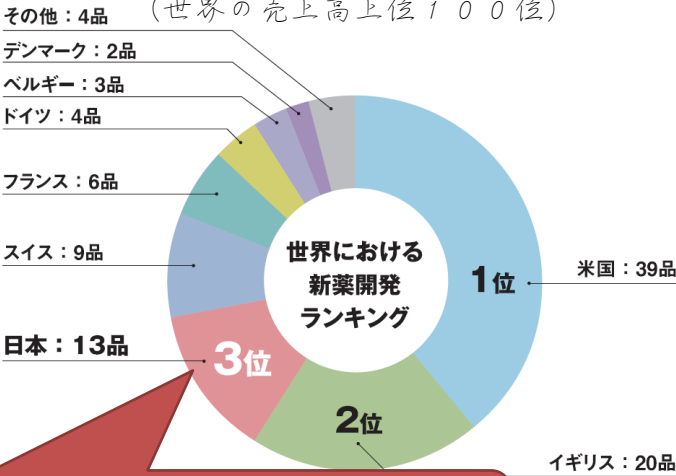
ノーベル賞の受賞の多さ



医薬品の創出

開発した起源国籍別分類

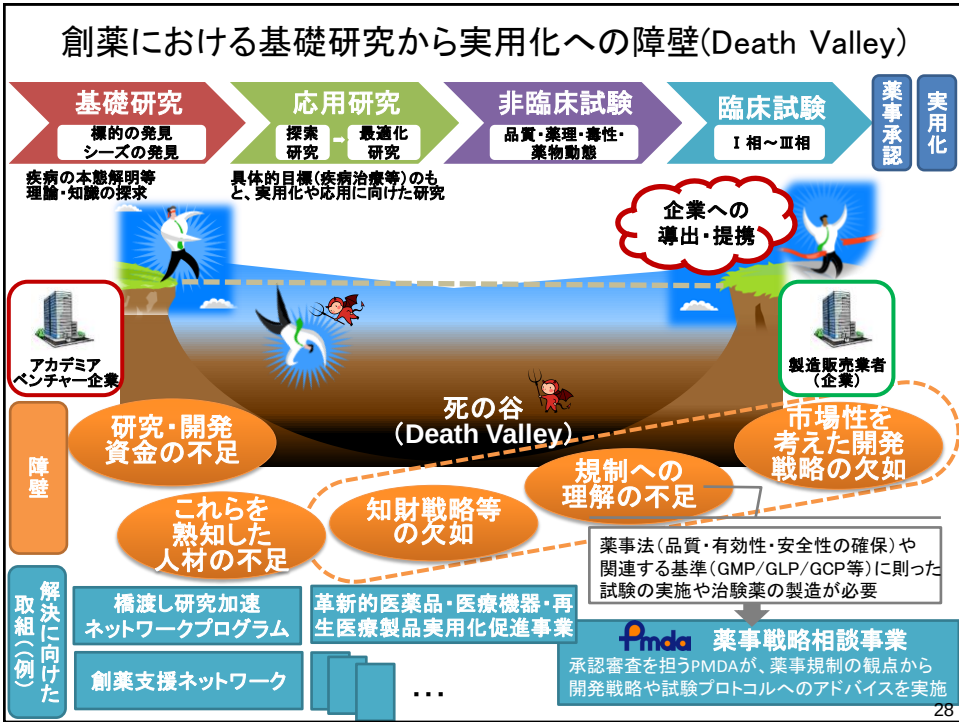
(世界の売上高上位100位)



日本から創出された
医薬品の品目数は世界第3位

出典「製薬協ガイド2010」





創薬における基礎研究から実用化への障壁(Death Valley)

我が国の基礎研究レベルは極めて高いものの、その成果が医薬品の実用化には必ずしもつながっていない。

なぜなら、基礎研究から実用化までの道筋には、現行のシステムでは乗り越えるのが困難な障壁、いわゆる「死の谷(Death Valley)」が存在するためである。以下にその障壁について示す。

- 研究・開発資金の不足

医薬品開発にかかる費用は膨大であり、上市までの費用は数百億円から中には一千億円以上かかるものもある。一方、アカデミア等の研究・開発資金源である公的な研究費(科学研究費補助金等)には限りがあり、また各種ファンド等からのリスクマネーの供給も容易ではない。

- 戦略等の欠如、戦略等を熟知した人材の不足

アカデミア等は資金等の面から独自で医薬品を実用化することは困難であり、研究・開発のいずれかの段階で企業への導出・提携が必要となる。導出・提携のためには、それまでの間、知財戦略や市場性・ニーズを意識した開発戦略を立てた上で、薬事規制にも対応した研究開発を進める必要があるが、その実現は困難である。またアカデミア等には、これらに対応できる人材が不足しており、有望なシーズであっても導出・提携が円滑に進んでいない。

- ✓ 知財戦略の欠如

: 実用化のためには、戦略的な特許取得が必須

- ✓ 市場性を考えた開発戦略の欠如

: シーズの市場価値を高めるためには、市場性・ニーズを意識した開発戦略が必須

- ✓ 規制への理解の不足

: 医薬品の実用化(製造販売)のためには、薬事承認を得る必要がある。そのためには、薬事法の規制に則った「品質・有効性・安全性の確保」の証明と「その信頼性の担保」が必須

Pmda 29

創薬・創医療機器をどう支えていくか

- 研究を担う人材の確保
- ニーズとシーズの橋渡し
- ガイダンス・ガイドラインの整備
- 新しい評価手法等の開発・適用

一般への適用
||
薬事承認による
実用化が必要！！



早期から薬事承認を
意識して研究すべき

※薬事では常に信頼性確認
も求められる



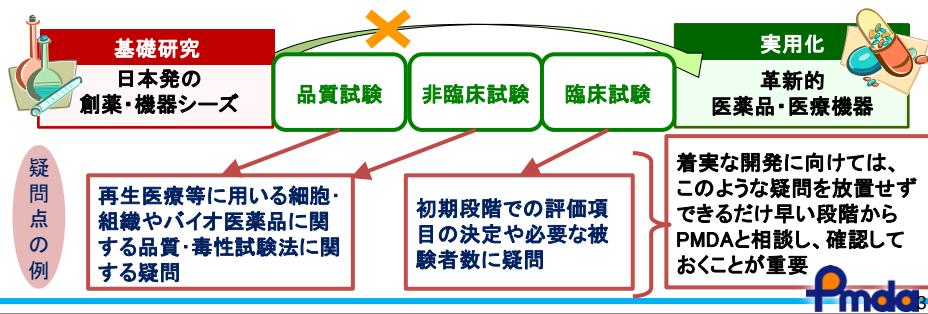
死の谷(Death Valley)へのPMDAの取組

薬事戦略相談

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な試験・治験に関する指導・助言を実施するものとして、H23年7月1日より開始

基礎研究から実用化に向けては様々な課題があり、課題解決に向けた審査当局との早期相談が重要である。

例えば、品質や毒性データ等を適切に収集しておらず、臨床試験が実施できないというケース、革新的な医薬品・医療機器で、品質・安全性・有効性の評価方法が確立しておらず、開発者等で検討した独自の評価方法を用いて臨床試験等を実施しても、品質・安全性・有効性が十分に確保ができたか、評価ができないことから、承認審査が迅速に行えないケースなどがある。



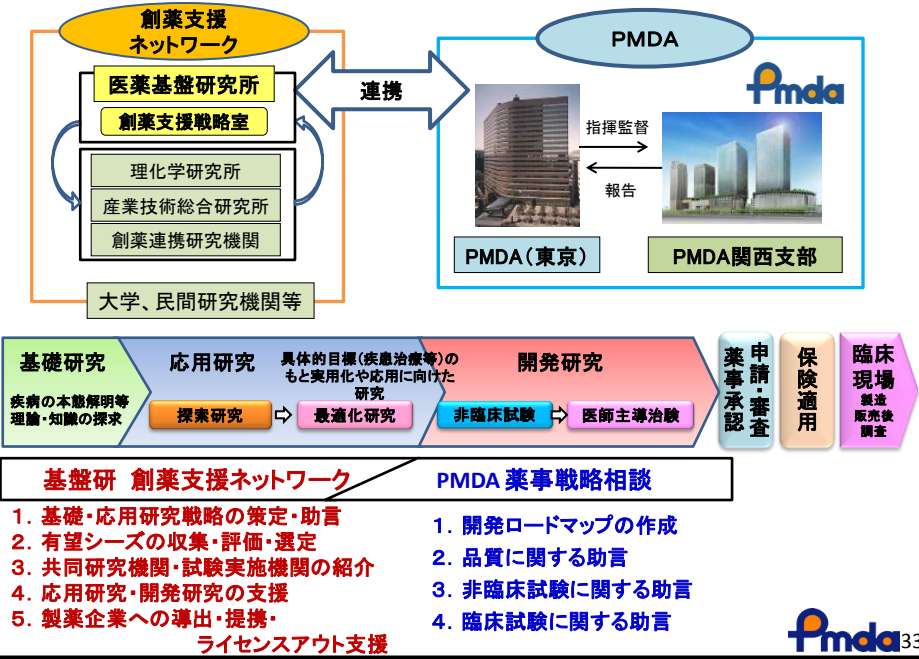
薬事戦略相談対面助言の実施例

相談申込者	被験物の名称及び識別記号	予定される性能、使用目的、効能又は効果
(独)国立精神・神経医療研究センター神経研究所遺伝子疾患研究部 武田伸一	未定 モルフォリノ核酸	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)疾患の治療
東北大学大学院医学系研究科附属創生応用医学研究センター 宮田敏男	PAI-1阻害薬 (TM5509)	臍帯血移植時における造血障害改善
国立大学法人京都大学iPS細胞研究所 山中伸弥	iPS細胞	様々な移植適合型提供者より「再生医療用iPS細胞バンク」を構築し、品質の保証されたiPS細胞及びiPS細胞から作成した移植用細胞を準備しておくことによって樹立に要する時間短縮・コスト削減の課題を解決し、より多くの難治性疾患に対する再生医療を可能とすることを目的とする。
北海道公立大学法人札幌医科大学 本望修	自家骨髄間葉系幹細胞	脳梗塞に伴う神経症候、日常生活動作障害、機能障害の改善
CYBERDYNE(株)	ロボットスーツHAL 医療用(仮称)および、その機能の一部を用いた運動訓練装置	患者に装着させて運動を行う機器であり、使用目的や効能又は効果が異なる複数のモデルを予定。

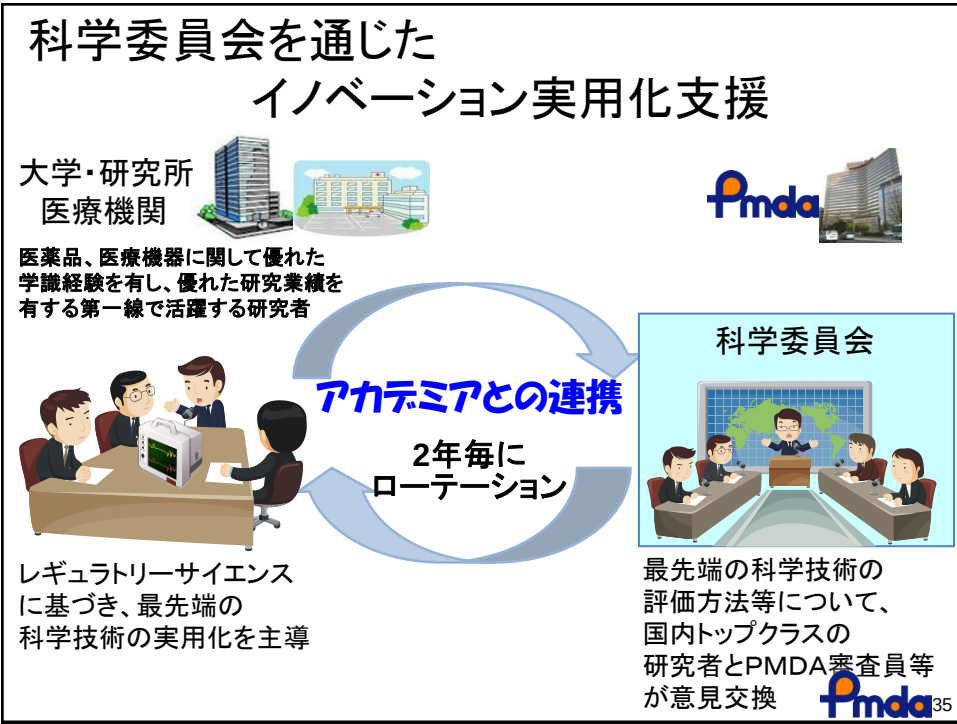
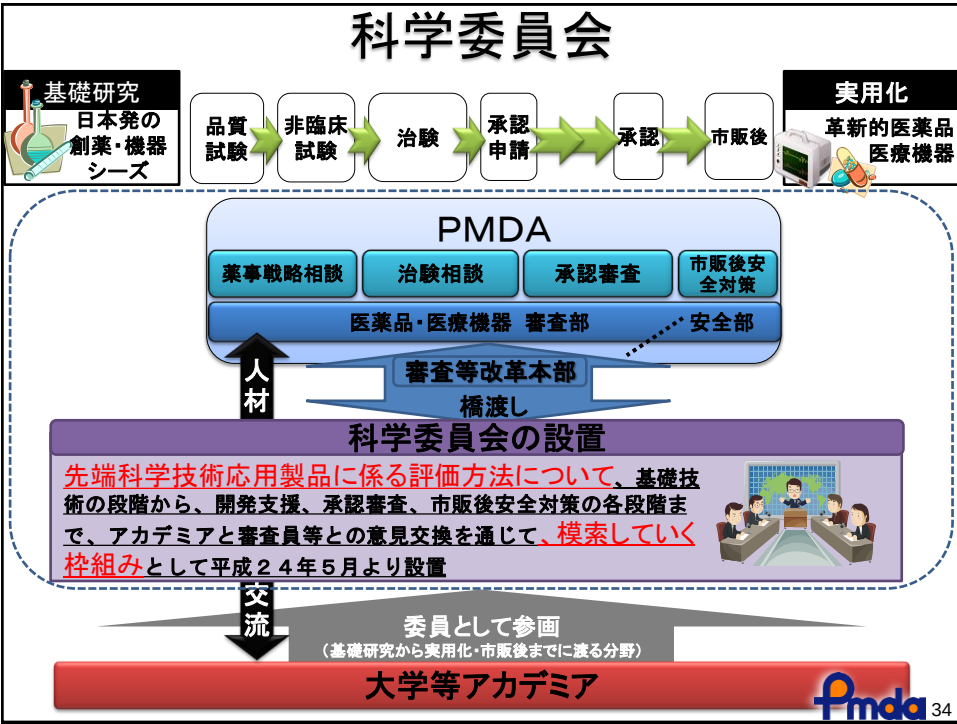


32

PMDAと基盤研 創薬支援ネットワークとの連携



33



本日のお話

1. はじめに
2. これまでの課題と解決の基本方針
～レギュトリーサイエンスの推進～
3. 革新的な製品の実用化に向けた取組
4. これからのPMDA

日本再興戦略 ―JAPAN is BACK―

(平成25年6月14日閣議決定)

国民の「健康寿命」の延伸

<目指す社会像>

必要な世界最先端の医療等が受けられる社会

革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品を世界に先駆けて開発し、迅速な審査を経て導入すること等により、健康長寿産業の育成を目指す。

そのための
施策

―司令塔機能の創設

一元的な研究管理、研究から臨床への橋渡し、国際水準の質の高い臨床研究・治験が確実に実施される仕組みの構築等を行う

―PMDAの体制を質・量の両面で強化

市販後の製品の品質確保や安全対策にも留意しつつ、
更なる審査の迅速化（審査ラグ「0」の実現）と質の向上を図る

