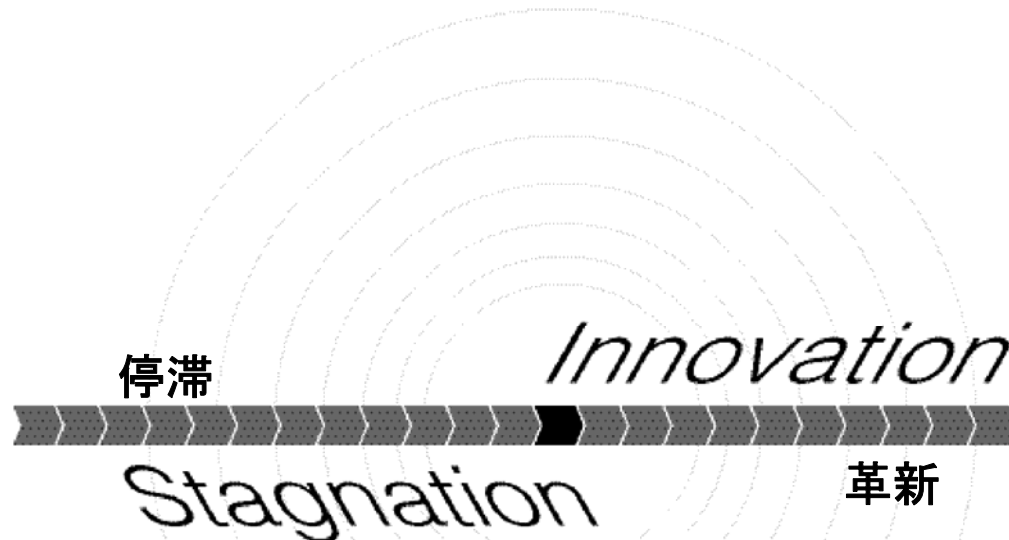


本報告書は 2004 年 3 月 16 日付報告書の改訂版である。BLA および NME の年次データは改訂された図2に記載されており、その他、編集上の多少の修正も加えられている。

This report replaces the version posted on March 16, 2004. It contains a revised Figure 2, which now reflects fiscal year data for both BLAs and NMEs, and minor editorial changes.



新しい医薬品・医療機器のためのクリティカル  
パス上に存在する課題と機会

## Challenge and Opportunity on the Critical Path to New Medical Products

米国保健社会福祉省  
米国食品医薬品局 (FDA)

2004 年 3 月



U.S. Department of Health and Human Services  
Food and Drug Administration

March 2004

平成 17 年 11 月 17 日

(注) 医薬品医療機器総合機構ホームページ上の下記アドレスで、報告書の全文がご覧になれます。

<http://www.pmda.go.jp/pdf/InnovationorStagnation.pdf>

## 概要

本報告書は、パイプラインの問題(患者に届く画期的な医学治療法の分野における、期待される加速とは対照的な近年の停滞)にかかる米国食品医薬品局(FDA)の分析結果を示したものである。

生物医学における今日の革新的状況は、重大な病気の予防、対処、治療に対する期待を高めてきた。しかしながら、近年における新しい基礎研究における発見の多くは、患者にとってより有効で、より安価で、そしてより安全な医薬品・医療機器の実現に早急にはつながらないのではないかとの懸念が広がっている。その理由は、現在の医薬品・医療機器<sup>1</sup>の開発経路(パス)はますます困難で、非効率的であり、費用のかかるものとなっているからである。過去数年間でFDAに提出された新薬および生物製剤の申請件数は大幅に減少しており、革新的医療機器の申請件数も同様に減少している。一方、ここ10年間で製品開発コストは急上昇した。コスト増加のために、開発者は市場で高いリターンを得る可能性が高い商品に活動を集中させることが多くなっている。一般の人々の健康の重要なニーズ(テロリズム対策等)、比較的珍しい疾病、第三世界に蔓延する疾病の予防、予防適応、または個別治療にターゲットを絞った製品開発は、ますます困難になってきている。実際、保健医療費用の上昇により、政府が現在利用可能な治療への支出さえ続けていくことが可能なかどうかという懸念もある。製品開発におけるコストおよび問題が拡大する状況では、革新的活動も停滞または後退が見られるのが常であり、生物医学の革新は健康増進という約束を果たせない可能性がある。

---

<sup>1</sup> 「医療製品」という表現には、医薬品、生物製剤、医療機器を含む。

「クリティカルパスに沿って予測性と有効性を改善するために、新しい製品開発ツールキットが早急に必要とされている。」

何が問題なのだろうか？FDA の見方によれば、医薬品・医療機器の開発に必要な応用科学が、基礎科学の大きな進化のペースについていけないのである。新しい科学は、技術発見プロセスを加速するのと同じ方法で技術開発プロセスを導くためには活用されていない状況である。医療分野における技術については、パフォーマンスは製品の安全性と有効性で測られる。よりスピーディーに、より確実に、そしてより低いコストで新製品の安全性と有効性を実証するにはどうすればいいのかという問いかけに対し、基本的な意味でよりよい答えを出すことのできるような応用科学部門の作業が十分に行なわれてきたとは言いがたい。多くの場合において、開発者は今世紀の候補物質の評価のために、前世紀のツールや概念の使用を余儀なくされている。結果として、臨床試験段階に移行した治験薬の大部分が失敗に終わるのである。膨大な時間やリソースを費やした後で、製品開発プログラムをあきらめなければならない状況はよく見られる。このような失敗率の高さはコストの上昇をもたらし、開発者はますます減少している成功例からの利益を、増え続ける失敗例に補填しなければならないという状況に追い込まれている。最終的には、成功した候補物質についても販売への道のりは長く、費用が高く、非効率なものとなる。この理由の大部分を占めるのが、現在見られる複雑な評価方法への依存である。

研究所におけるコンセプトから、商業化に通ずるクリティカルパスに沿って予測性と有効性を改善するために、新しい製品開発ツールキット(動物やコンピュータを基本とした予測モデル、安全性と有効性の改善を目的としたバイオマーカー、そして新しい臨床評価技術といったパワフルな新しい科学的・技術的メソッド)が早急に必要とされている。これらの課題に対応し、基礎発見を新しくよりよい治療法に確実に結びつけるためには、優れた製品開発科学が必要となる。我々が必要とするのは、医療技術の開発を目的としたよりよいツールを構築するための取り組みである。また、生物医学の領域におけるリサーチだけではなく、患者に届く「パス(経路)」に対する信頼における洞察力に基づいて構築されたナレッジベースも不可欠である。

医薬品・医療機器の開発プロセスは、もはや基礎研究の革新に追いつくことができない。クリティカルパスの近代化を成功させるためには、生物医学における新しい科学的発見を医薬品・医療機器の開発に適用するための、一致団結した取り組みが不可欠である。

学会、政府、そして業界で実績を有する多くの研究者がこの課題に取り組んでおり、近年多くの成功をおさめている。しかしながら、開発作業のペースは基礎的発見における急速な進歩に追いついていないという事実には、依然として変わりがない。結果として発見と製品開発プロセスの間に技術的な不連続が生じる。研究所における新発見を安全かつ有効な治療に移行させる上で確認される段差と言える。

FDA は開発科学を発展させる活動の参加者の一つにすぎないが、重要な役割を担っていると言える。FDA の基準はしばしば開発プログラムの先導役として使用されるため、我々の基準設定プロセスは最も進んだ科学に基づく情報を取り込んでおり、安全かつ有効な新しい治療の効率的な開発を促進するという目標に則ったものであることを、常に確認しなければならないのである。

FDA は医薬品・医療機器の開発における課題の特定をサポートする上で独自の立場にあるため、解決策の開発においてより規模の大きい領域との共同作業が必要とされている。人々の健康の増進と保護を目標とし、政府の監督下にある FDA は、安全かつ有効な新規医薬品・医療機器を患者が入手できることを確実なものとする責任を負う。<sup>2</sup> FDA は規制機関としての役割のひとつとして、製品基準の構築のために、入手可能な科学的知識を活用しなければならない。臨床試験の実施期間中、FDA の研究者は、発生したデータについて安全性、有効性、製品の品質について継続的なレビューを実施する。一方 FDA の審査官は臨床試験の期間中、成功事例とベストプラクティスの全体像を把握するとともに、失敗例、停滞原因、障害、そして製品開発期間中に発生した機会の逸失を確認する。開発プロセスにおいて深刻な問題が発生したり、同じ問題が繰り返し発生する場合、FDA の研究者はそれらに対して科学界の関心を提起したり、関連リサーチを実施したり、または共同作業を行うことにより、問題への対処を試みる。このような活動の例として、FDA はガイダンス文書(開発の領域におけるベストプラクティスをまとめたもの)をしばしば公表し、特定の課題やトピックに関する FDA の見解をシェアしている。開発スポンサーは、ガイダンス文書の公表は治療ニーズに応えるための開発や創意工夫を促し、商品化の最初の段階における成功率の改善につながり、患者に安全かつ有効な治療を届けるために必要な時間の短縮をもたらしていると述べている。しかしながら、改善のためにはさらに数多くの取り組みが実行される必要がある。

---

<http://www.fda.gov/opacom/hpview.html> を参照。

「FDA は、最も差し迫った開発上の問題や、早急な改善の機会が最も大きい領域を特定し、優先順位を設定するための取り組みを策定中である。」

我々が今日直面する製品開発上の問題については、ある程度まで、新しい世代のパフォーマンス基準や予測ツールを構築する積極的かつ他との協力的な取り組みを通して対応することができる。新しいツールは新しい科学的革新とマッチしそれをさらに前進させるものであり、生物情報工学、遺伝学、イメージング技術、物質科学といった科学界における最新の進歩によってもたらされた知識を基盤とするものとなる。

FDAは(1) 最も差し迫った開発上の問題、および(2) 早急な改善および人々の健康に対するベネフィットを実現する機会が最も大きい領域を特定し、優先順位を設定するための取り組みを策定中である。この取り組みはクリティカルパスに沿った 3 つの局面(安全性評価、医学的有用性の評価、製品の工業・製品化)で実行される。この取り組みには、関連するすべてのステークホルダーの参加が不可欠である。我々は、**クリティカルパスの機会リスト**を作成することにより、最も重要な課題を特定するための共同作業を進める予定である。また同時に、FDA は最も重要な問題に対処し主要プロジェクトへのサポートを強化するために、内部での取り組みにも再度フォーカスをあてる。

これらの課題に焦点を絞った科学的研究を通して、我々は患者に新しくよりよい治療を提供するプロセスの改善を実施できると信じている。患者が新しい治療法をよりタイムリーに、より安価に、そして将来の予想がより可能な形で利用することができるようにするためには、医学界における革命的な発見だけでなく、新しい治療を開発する革命的なツールに対する研究の実施が不可欠である。我々は政府内および学界や民間部門との効果的な協力作業を通じて、この目標を達成する自信がある。