

# 日本発の画期的な医薬品や医療機器を 実用化につなげていくために

第1回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会  
2011年5月20日

日本製薬工業協会医薬品評価委員会  
副委員長 稲垣 治

本資料は2010年12月の臨床薬理学会(シンポジウム22)での発表スライドの一部を改変したものです



## 新成長戦略での医薬品評価委員会の提言 (抜粋)JPMA

- 早期臨床試験実施体制の整備・強化
- 早期臨床試験の実施品目に対する促進策

早期臨床  
試験に注目

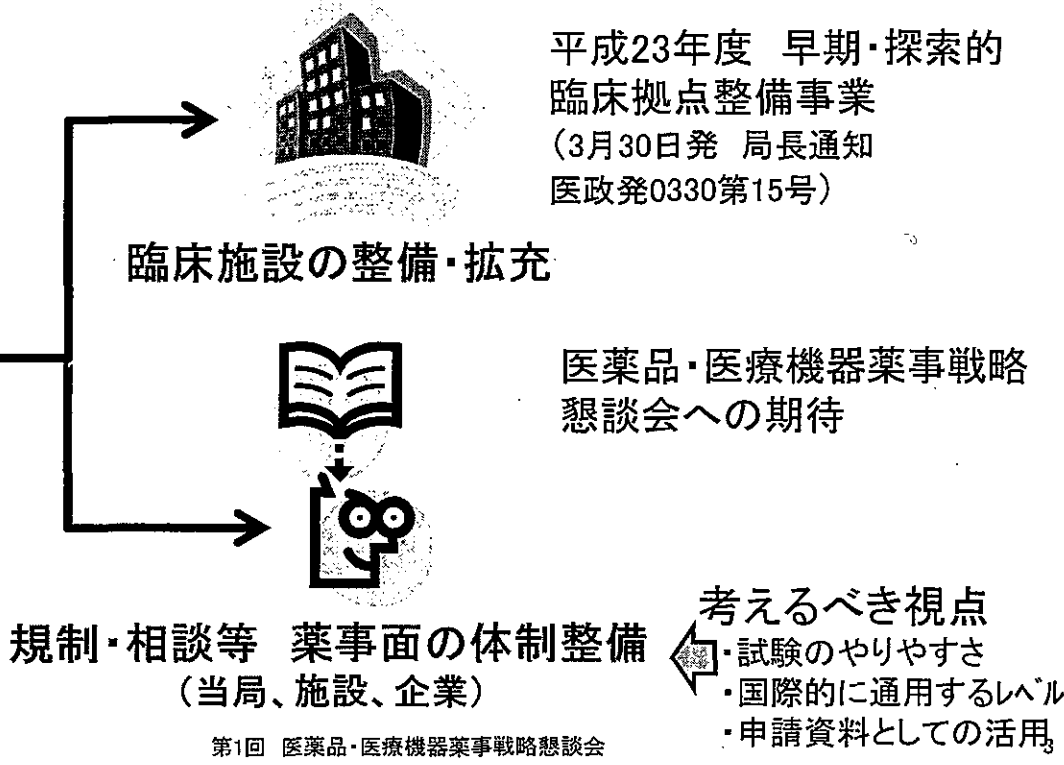
### 日本の現状

- もっぱら海外先行で臨床試験が実施される。
- その結果、ドラッグラグが発生。

### 医薬品評価委員会のポジション

- 早期(探索的)臨床試験が盛んになれば、自ずと国内での後期(検証的)臨床試験や国際共同試験の数は増加する。  
⇒日本での画期的新薬創出のチャンスが増える。
- 日本は、大規模国際共同試験の症例獲得の場ではなく、アジアのサイエンスセンターとして最先端の地位を目指す。

日本の早期臨床試験活性化



2011/05/20

第1回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会

今、なぜ早期臨床試験に注目するのか

## 早期臨床試験の役割・目的

- 限られた情報に基づく、様々な開発シナリオの検討
  - ◆ 柔軟な開発計画・タイムリーな計画変更による可能性の追求
  - ◆ 開発継続の可否判断(機会損失の回避)
- 後期臨床試験計画立案のための情報入手
  - ◆ 日本の早期臨床試験結果から、グローバルP3試験立案に
    - 海外当局にも受け入れ可能な計画と品質のレベル
  - ◆ 早期臨床データを含めた開発段階から市販後への Pharmacovigilanceにつなげる
    - より深い薬剤特性への理解を、市販後の適正使用にも活用
- 申請資料
  - ◆ グローバルに通用する規制(ICH-GCP)の順守

改善に向けた努力は続いているが、  
日本独自の「やりにくさ」はまだ存在する

## ■ P0~P1試験

- ◆ 薬剤/疾患特性を踏まえた試験デザインへの柔軟な対応
  - P1実施中の最高用量の追加は“目的の変更”か？
  - 高用量群への移行時のPKプロファイルの必要性 (Step-upの基準)
  - 単回投与と反復投与の進め方 (併行実施の可能性)

## ■ POC/探索試験

- ◆ 試験計画立案とその後の変更に対する柔軟な対応の可否
  - 陽性対照の可否や侵襲性の高い試験の実施可能性
  - 次相検証試験のデザインも考慮した効率的な戦略相談医療機関
  - 計画変更時の施設申し入れ→施設IRB→試験変更のスピードは？

## ■ 言語 (日本語/英語間の翻訳)

- ◆ 治験届の添付資料 (プロトコル, IB) は日本語
- ◆ 医療機関IRB資料も日本語

## ■ 因果関係の定義: “否定できない” = 副作用 → 合理的な関連性の有無で評価するグローバル データとの整合性

## ■ 早期臨床に使用した製剤の処方変更に伴う対応 → 溶出試験の基準が海外より厳しい → BE試験が必要に

- ◆ 粉末/溶解液, その後1st処方, 2nd処方・・・, 最終処方へ

## 関係当局への要望(1)



- 薬剤/疾患特性に応じた試験デザインへの柔軟な対応
  - ◆ 治験届通知の「目的の変更は新規の届け出」に対する考え方の整理
    - P1の単回/連投, P1/2も以前は“目的の変更”
    - 上限用量の追加は「忍容性確認」の範囲では？
  - ◆ 安全性の重視と効率的な開発のバランス
    - グローバルの試験デザインに対するFDA, EMAとの理解形成
    - リスクの高い試験を実施可能な医療機関の育成
  - ◆ 戦略的な治験相談へのより積極的な取り組み
    - 増員された審査員の教育, 経験の蓄積により改善を期待

## 関係当局への要望(2)



- 既存の規制要件の柔軟な見直し
  - ◆ 治験届の添付資料
    - グローバル開発の推進を目指すなら, 英語資料の受け入れを
  - ◆ 副作用の因果関係の定義
    - グローバルと同じ目線で安全性の評価を  
→ 合理的な関連性を示すevidenceに基づいて“副作用”
  - ◆ 開発中の製剤処方変更
    - 特に早期臨床開発ではプロトタイプの処方で進めるため,  
処方変更のつなぎに必要な以上の要件を課すことは適さない

- 早期臨床試験が盛んになれば、自ずと後期試験や国際共同試験の数は増加する
- その結果、日本の新薬創出力は向上する

### そのためには

- 早期臨床試験実施環境の整備
  - ◆ 早期(探索的)臨床試験の体制整備  
(平成23年度の「早期臨床試験拠点整備事業」に期待)
  - ◆ 実施しやすさ、および、海外展開を考慮した規制面の体制整備
    - 日本の開発のみでなく、全世界での開発につなげる規制と相談体制
    - グローバルレベルでの規制(ICH-GCP)の遵守
- さらに、海外への優位性確立 ← 海外から試験依頼の受注をめざす