

製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方及びリアルワールドデータの活用のあり方について

第9回 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会

令和6年3月21日

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

1/12 検討会における主なご意見（製販後関係）

■ 使用成績調査のあり方について

- 自発報告を補うために導入された使用成績調査の制度だが、現在は、導入当時と比べ自発報告の数が増加するなど市販後の安全性監視を取り巻く環境は変化しており、使用成績調査の役割は相対的に低下している。
- 使用成績調査の実施施設や症例選定に際してのバイアス発生の懸念を指摘されていることに加え、調査デザインが対照群のない前向きコホート研究であり、得られる情報にも制約があり、活用も限定的である。
- 使用成績調査のようなデザインの調査においては、小児や高齢者など、特定の患者集団の情報収集には有用な場合がある。
- 市販直後調査を6か月間行った後に、その時点で得られたデータを吟味して、改めて製造販売後調査の計画を立てる、2段階のやり方もあるのではないか。
- リサーチクエスチョンの設定や対応する調査について、日本と欧米の差を具体的に整理し類型化することや、欧米における設定の考え方を明確化した上で検討することが必要。

■ 全例調査について

- 全例調査は、医療現場にも相当は負荷がかかるものであり、対象となる品目数が増えれば医療現場の緊張感も薄れていく。いざというときに期待される効果が発揮できるよう、今後の運用の在り方は議論する必要がある。

■ データベース調査について

- データベース調査については、将来的には期待できる手法であるが、現状日本では環境が整っていない。

■ その他

- 使用成績調査の手法の議論にとどまるのではなく、市販後安全対策の大きな枠組みについての議論を、法改正も視野に入れて行うべき。
- 全例調査を含む使用成績調査の過程で収集される小児に係る使用成績を集計・評価し情報提供することは、医療現場における小児の医薬品使用に資するものである。

対応の方向性（案）

■ リサーチクエスションの設定と適切な対処方法の検討について

- リサーチクエスションの設定の在り方及び製造販売後調査等の計画検討時期については、引き続き製薬業界・行政間での議論を継続することとしてはどうか。
- 少なくとも、単に治験の症例数が少ないことや一部の患者集団における情報が不足していることのみがリサーチクエスションである場合には、使用成績調査を実施する根拠となるものではないこと、これらを背景として単に特定された重大なリスクに相当する副作用の頻度調査のみを行うために使用成績調査を実施することが適切な対処方法とはならないことを明確化する。
- 少なくとも、製造販売後調査等を実施することが再審査期間の付与の前提となるものではないことを明確化する。
- 使用成績調査は、重要な特定されたリスクについて、その頻度調査を目的として行うことの意義は限られており、基本的には、重要な潜在的なリスク、重要な不足情報に関する調査を目的として行うことが想定されるものであることを明確化する。

■ 製造販売後調査等の計画検討時期について

- 製造販売後調査等の実施計画については、承認時に具体的なリサーチクエスションがある場合には、承認前に検討することとし、それ以外の場合には、承認前ではなく、市販後の適切な時期（例えば、市販直後調査のデータが得られた時点や、新たな安全性情報が得られた時点で新たなリサーチクエスションが見いだされた場合）に、その要否を含め、検討するものとする。

対応の方向性（案）

■ 全例調査の対象について

- 単に日本人の治験の症例数が少ないことのみを理由とした全例調査は、原則として行わないこととする。例えば、次のような場合には、一律には全例調査を実施しないことを考慮してよいのではないかと。
 - ① 日本人を対象とした治験の症例数は限られているものの、海外での治験を含め相応の安全性情報があり、安全性にかかる国内外の民族差の懸念がないもの。
 - ② 作用機序が同様の類薬での使用実績から一定の安全性情報があり、一定の評価を受けているもの。
 - ③ 適応追加に係る申請に基づく調査であり、製剤としての使用実績から一定の安全性に係る情報があり、既存の適応症との安全性プロファイルに差異について懸念がないもの。
- また、リスク最小化を目的とした全例調査は、行わないこととする。なお、リスク最小化には、従前どおり市販直後調査や医療機関や医師の要件の設定等を活用することとする。
- 具体的なリサーチクエスチョンがあり、全例調査が必要と認められる場合には、全例調査を行うことが否定されるものではない。

■ データベース等のRWDの活用について

- 製造販売後調査として使用成績調査による積極的な情報収集を行わない場合であっても、製造販売後の安全監視活動においてデータベース等のRWDを用いて幅広く情報を収集することは有用であり、（引き続き事例の紹介等を含め、）RWDの利活用を推進する。
- 併せて、製造販売後調査に資するデータベースの整備等の基盤構築に取り組む。

市販直後調査

制度概要

- 「市販直後調査」は、新医薬品の販売開始後（効能・効果の追加時等は承認後）6ヶ月間、診療において当該医薬品の適正使用を促し、必要な副作用等に関する情報を迅速に把握するために、医薬品リスク管理として製造販売業者が実施するものであり、「医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器の製造販売後安全管理の基準に関する省令（平成16年厚生労働省令第135号）」にて定められた調査。新医薬品の承認審査の過程において市販直後調査が必要であると判断された場合、個々の医薬品の承認の条件として付される。
- 市販直後調査は、使用成績調査、製造販売後臨床試験等のように、症例の登録を行い予め決められた事項について実施する調査ではなく、適正使用情報の収集・提供等の活動の一環として行われる。

