



Critical Path Opportunities Report & List

米国保健社会福祉省
米国食品医薬品局 (FDA)
2006 年 3 月

平成 18 年 7 月

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

(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/FDAOppReport.pdf>

要約－公衆衛生における 6 つの優先的課題

FDA は 2004 年のクリティカル・パス報告書¹で、医薬品・医療機器の「パイプライン問題」²の背景にある科学的課題についての調査結果を明らかにし、その改善に向けた道のりとして、まず公共・民間部門の関係者から広く意見を求める必要があるとした。FDA が製品開発研究の停滞を明確に指摘したことに対しては共感が得られ、関係者は FDA の調査結果を確認して、医薬品・医療機器の開発を改革できるような研究投資の例を提供した。

FDA の目標は、医薬品・医療機器の開発研究を改革するために必要な具体的業務に対して明確に焦点を絞るための、クリティカル・パスに関連する項目のリスト（医薬品・医療機器の研究開発のためのヒント集）を作成することであった。この報告書では、これまでの作業で学んだことについて述べ、具体的な項目をヒント集としてリストに示す。

このリストには、それを追求すれば新しい医薬品・医療機器の開発における効率、予測性、生産性が高まると FDA が考える、ターゲットを絞った研究テーマを挙げている。

¹ 2004 年 3 月発行のクリティカル・パス報告書は、<http://www.fda.gov/oc/initiatives/criticalpath> に掲載している。

² 革新的治療法が患者に到達するのが最近遅れている状況。

このリストにある項目はそれぞれ、製品開発を短期的、中期的に向上させるために特にターゲットを絞りこんだ研究プロジェクトを示している。大項目 (Topic) は、FDA が広く意見を求めた結果関係者から挙げられた事項や、製品開発に関する業界全体の障害についての FDA の科学専門家の見解に基づき選択した。優先度が高い大項目の選択に際しては、FDA の公衆衛生に関するミッションと、規制上重要な科学的事項について FDA に助言を行う外部諮問委員会の意見も参考にした。それぞれの項目は、6つの Topic にまとめている。

項目の番号は便宜上付しているものであり、重要性に関する特定の順序を示唆するものではない。

外部に広く意見を求めた結果、医薬品・医療機器の開発を向上させるために最も重要な分野がバイオマーカーの開発 (Topic 1) と臨床試験の効率化 (Topic 2) の2つであるという点で、非常に意見が一致していた。ほとんどの方面の関係者が、予測性が高い新世代のバイオマーカーがあれば製品開発の効率が劇的に改善され、製品を上市する前（あるいは、さらにヒトを対象とした試験を行う前）に安全性の問題を把握する上で役立ち、よりよいデータを現状より迅速に得ることができる新しいタイプの臨床試験の開発が促されるという見方で一致した。同様に、いずれの方面の関係者からも、臨床試験のプロセス（試験のデザインと実施方法の両方）を改革すれば、製品開発の効率が劇的に向上するであろうという点が指摘された。

第三の課題となる分野は、生物学に関する情報に対し数学、統計学、コンピュータ解析を応用すること（生物情報科学 (Bioinformatics)、Topic 3）である。この点については、ヒトや動物を対象とした試験の規模と範囲を縮小しつつ、開発効率と結果の予測性を上げることが期待できる。例えば、モデルに基づいた医薬品開発という概念には、医薬品と医療機器を一層効率的かつ効果的に開発する助けになるという非常に大きな可能性がある。この作業を支える仕組みとして、データを集積するための共同体を設置し、個人情報や独占的情報を保護する方法を策定することが必要になってくるであろう。このような作業に対する投資は十分に成果を挙げることになるであろうという点では、広く意見の一致をみている。

高品質の製品を十分な信頼性を確保しつつ商業的規模で製造できるかどうかは、クリティカル・パスにおいて障害の原因になることが多い。製品の重要な特性が何かを明らかにし解析するための手法は、製造 (Topic 4) 段階で効率と品質の両方を向上させるという点で有望である。

また、新興感染症やバイオテロに対する新しい抗生物質やその他の対策（Topic 5）も、緊急に必要なものである。感染性病原体を迅速に特定する方法があれば、新しい治療を開発したり、緊急事態に対応したりする能力が向上するであろう。ヒトを対象とした試験が倫理に反する状況下で新しい治療法について検討するために、適格性を満たしたモデルが必要である。

小児および思春期の患者のための治療法の開発（Topic 6）は、他とは異なる性質の課題である。小児や青少年において各種の治療が有効であるかどうかを予測できるようなよい方法を開発するためには、ひとつには小児患者を対象とした既存の試験のデータを合わせ、解析するという方法がある。また、思春期うつ病の診断と治療をよりよくするには、新しいゲノム技術が有望である。さらに、新生児における感染症は公衆衛生上重大な問題であり、開発上も困難な課題を伴うが、動物モデルの質の改善により克服できるのではないかとも思われる。

最後に、クリティカル・パスの研究を支援し、継続的に向上させるために、全米レベルの基盤を構築することが必要不可欠と考える。クリティカル・パスを改革する取り組みを持続させるためには、この報告書に挙げられている個々の項目を超えて、取り組みを拡大しなければならない。例えば、実験医学に関する大学のプログラムや、研究室だけでなく動物実験やヒトを対象とした試験でも効率的に職務を遂行できる臨床研究者が必要である。このような学際的環境での仕事を希望する研究者のための明確なキャリア・パスを作る必要もある³。製品開発における科学上の障害や、あるいは特定の疾患に対処するような共同的な計画策定するための新しい協力関係と、そのような協力関係を促進するためにデータ共有・保護する新しいモデルが必要である。政府、学界、産業界、そして患者や専門家のグループが協力し、クリティカル・パス研究の発展を継続的にサポートしていけるよう、共にはたらきかけなければならない。

関係者からは、開発研究のみを改革するのでは十分ではないと指摘されているため、この発展する科学に合わせるように FDA の指針や基準も改正していかなければならない。FDA はこの分析に賛同し、規制も科学の進歩に歩調を合わせて新しくなっていくように作業を進める予定である。

³ 米国国立衛生研究所（NIH）は、NIH ロードマップ（<http://nihroadmap.nih.gov>）の一環として、このようなプログラムに対するサポートを拡大している。

各リスト項目については、まず次の項以降で幅広く考察し、次にヒント集の中で具体的に列挙するが、これは、産業界や学界が引き受け、また患者団体、財団あるいは政府機関が後援することが可能と考えられる、ターゲットを絞った研究テーマを記したものである。

FDA は今後数ヶ月かけて、この報告書に挙げたクリティカル・パスの中の重要事項のいくつかを推進する力がどの程度あるかを、今利用できる資源に基づいて評価する予定である。また、FDA が来年着手する予定のクリティカル・パスのプロジェクトを発表することも計画している。FDA は、関係者がこの報告書を利用し、クリティカル・パスの科学を改革する全国的な取り組みの中でそれぞれの活動の計画に着手することを期待している。

本報告書は二部構成となっている。第一部では、2004年3月にクリティカル・パス報告書を公表して以来、関係者やFDAの科学専門家から研究開発上の機会項目や課題について学んだことに関し、特に、リストに挙げている6つのTopicに関して詳細に考察している。本報告書の第二部は、また別に単独で入手できるようになっているが、個々のリスト項目を具体的に示している。