

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

医薬品の安全性の将来  
—公衆の健康の増進及び保護—

米国の医薬品安全性に関する制度の評価に関する委員会  
米国科学アカデミー医学研究所  
2006年9月

要旨 (仮訳)

FDAは、公衆衛生を守り向上させるというミッションのもと、日々、医薬品の迅速なアクセスと安全性への懸念とのバランスを取るために活動している。その職務は、患者、患者の医薬品に対する反応及び治療時の状態の非常な多様化、そして、患者が使用する医薬品やサプリメントの猛威により、一層複雑なものとなっている。FDAの医薬品評価研究センター(CDER)の審査官たちは、医薬品のリスクとベネフィットに関する入手可能な情報を比較・検討し、科学的不確実性の中で決定を下し、医薬品の発見からその有用な寿命の尽きるまでのライフサイクルを通じての、医薬品のリスク・ベネフィット・プロファイルに係わる情報を統合しなければならない。こうしたプロセスは、個々の患者の生死を分けかねないものであり、広く使用されている医薬品の場合は、国民全体のあらゆる層に影響し得るものである。この「個人」と「国民全体(公衆)」の対比は重要である。なぜなら、ある医薬品が特定の患者の命を救う反面、公衆衛生上著しく高いリスクを与え得る場合に、FDAが下さなければならない複雑な決断を、この対比が反映するからである。診療室においては、患者と医療提供者(医師)が、その患者に与えられる医薬品のリスク・ベネフィットに関して決定を行う一方、FDAは、その医薬品が公衆に与える影響という観点から、リスク・ベネフィットを評価しなくてはならない。FDAは、「公衆の保健を守り、それを向上させる」というそのミッションで述べられているように、迅速な医薬品承認の必要性と、安全性への十分な配慮とのバランスを取るために、多大な努力を払ってきた。

21世紀の最初の数年、処方せん薬の安全性に関する問題は、新たに一般国民の非常な関心を集めるところとなった。医薬品の回収、医薬品の重大なリスクに関する一般国民への注意喚起の明らかな遅れ、安全性に十分な注意を払わないままの医薬品の承認ラッシュという印象、そしてCDER内部の問題に関するマスコミ報道は、FDAへの国民の信頼の低下に寄与したかもしれない。学界、消費者団体、職能団体そして連邦議会議員は、多くの人々により大きな問題と見なされたものについて、考えられる要因と解決について議論を行った(Glassley C, 2005; Shaw, 2005; Consumers Union, 2005; NCL, 2005; U.S. PIRG, 2006)。そしてFDAと連邦保健福祉省(Department of Health and

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

Human Services: DHHS) は、医学研究所 (Institute of Medicine: IOM) に米国の医薬品安全性システムを評価する委員会を設立し、リスク評価、安全性監視および医薬品安全使用の向上に向けた勧告を行う旨の依頼を含めた、医薬品安全性に関する一連の対応を発表した。

委員会は、本報告書の中で、FDA とその他関係者による医薬品安全性の監視、評価、確保というすべての活動をまとめて、医薬品安全性システムと考えた。

(BOX S-1: 当委員会の任務についての陳述を参照 (末尾に記載)) 委員会の活動の多くは、CDER の審査、安全性監視、その他関連業務に焦点をあてたものではあるが、委員会は、医薬品産業、学術研究事業、連邦議会、医療提供システム、患者そして国民の果たす役割のいくつかの重要な側面をレビューし、また、その潜在的な貢献についても検討を行った。

医薬品の回収 (これは一つの医薬品安全性の潜在的指標に過ぎない) が、薬事規制システムに事実上の不備があることを表すもの、あるいは、新たに発見された特異で重篤な副作用が、その医薬品を承認した誰かの過ちを示すものであると信じる人々もいる。しかし、そうではない。FDA の承認は、安全性と有効性の永久保証を示すものではなく、最新のものが常に最善であるとは限らない。相互に関連するいくつかの理由で、たとえ最高の医薬品安全性システムをもってしても、市販医薬品の副作用を防ぐことはできないであろう。承認の時点でその医薬品の全てを知ることは不可能である。医薬品の作用メカニズムは非常に複雑であり、また承認前の臨床試験は通常、厳密にコントロールされた環境の下、慎重に選定された患者層において実施されるものだからである。そのように選定された患者群は、承認後にその医薬品を使用する幅広い患者層、長期に使用する人がいたり、他の医薬品との併用があったりであるが、それを十分には代表していないかもしれない、したがって、医薬品のリスク・ベネフィット・プロファイルの理解は、必然的に医薬品のライフサイクルを通じて発展していく。新薬承認申請等の薬事申請を審査する CDER のスタッフは、医薬品のリスク・ベネフィットの判定及び、承認前に確実性を高めるための試験を要求することに、医薬品が市場に出て医療提供者や患者の手に渡るのを遅らせるだけの価値があるかどうかという判断を行うに際し、微妙なバランスをとらなければならない。

CDER の安全性の対応に関して、当然の疑問が持ち上がった。安全性シグナルは、時宜に即して認識され、対応されているのか? 国民は、明確に、そして時宜にかなった方法で、安全性問題について知らされているのか? 市販前そして市販後に係わるセンタースタッフによる協力は、医薬品の安全性に関して効果的な活動を促進しているのか? センターは、「公衆の保健を守り、それを向上させる」という、FDA のミッションの一端を遂行するために必要な専門性、技術、科学的能力、権限そして資源を有しているのか? 外部環境の政治

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

的・社会的・経済的側面や他の関係者からの期待は、組織機能に影響を与えているのか？ こうした疑問のいくつかに答えるにあたって、委員会は、医薬品安全性シグナルの監視と評価の向上をはかり、国民からの信頼を回復するために変革することが可能と考えられる医薬品安全性システムの状況を、以下を含めて検討した。

- \* **CDER の組織文化**とその決定要因、そしてその組織的文化が、どのように医薬品ライフサイクルを通じて展開するリスク・ベネフィット理解の評価や活動の蓄積に影響を与えるか
- \* 医薬品の安全性を強化するために必要なレギュラトリー・サイエンス及びプロセスの主な要素（方法、データ資源、専門家のアドバイス、独立性）
- \* 医薬品の安全性を提供するために必要な**規制権限**
- \* 有効な医薬品の安全性システムを支えるために必要な**コミュニケーション**体制
- \* **CDER が FDA ミッションを支えるという、その責務を果たすために必要な資金**

情報収集にあたって、我々は、安全性システムを強化するために複数の提案が過去に行われ、また上述の多くの分野で実行されてきたことに気付いた。この作業の中で、委員会は、上記に挙げたカテゴリーを網羅した安全性プログラムを変革する、整合性のある統合的なアプローチの構築を試みた。そして、以下に述べるいくつかの包括的な所見を得た。第一に、**FDA** および製薬産業の信頼を損ねたという危機の認識があること（**Harris Interactive, 2005; Pricewaterhouse Coopers' Health Research Institute, 2005**）。第二に、ほとんどの関係者（**FDA**、業界、消費者団体、連邦議会、職能団体、医療関係団体）が、現行のシステムに何らかの改善が必要であることに賛同しているように思われることを学んだこと。第三に、現行の医薬品安全性システムは、以下の理由により正常に機能していないことを発見したこと。①深刻なリソースの制限により、医薬品の安全性に関する科学が質・量ともに弱い。②**CDER** の一つの組織文化は、最適に機能していない。③規制当局の、特に規制を順守させる権限が不明確かつ不十分である。そして第四に、**FDA** が公衆衛生に対するミッションの遂行において、医薬品企業が自社製品の使用者（および株主）に対する責任の遂行において、適時効果的な方法で安全性の懸念について伝え合い、説明責任や透明性を着実に、一般国民に対して示していないことを認めたこと。

委員会が考える変革後の医薬品安全性システムは、その中心をライフサイクルを通じての医薬品のリスク・ベネフィットへの取り組みに置いている。これは決して新しいコンセプトではないが、これまではせいぜい限定され、細切れにしか実行されてきていないものである。**FDA** にとってライフサイクルを通し

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

て医薬品のリスク・ベネフィットに注意を払うということは、(当該医薬品の累積情報に応じた)規制措置をとるためにリスク・ベネフィットに関する新しいデータを継続的に入手し、リスク・ベネフィットを継続して積極的に評価することが必要となるであろう。そして承認前にも承認後にも、強い規制権限を持つことが必要となるであろう。また、製薬産業にとってライフサイクルを通じてリスクとベネフィットに配慮することは、医薬品の現われつつある情報の証明・情報提供のプロセスにおいて、FDA に対する透明性を高め、そして医薬品の安全性の強化に向けた各種の変化を受け入れることが求められることになる。重要なことに、FDA の信頼性は、製薬産業のそれと密接に結びついており、より信頼できる医薬品安全性システムは、誰にとっても最善であるということである。医療提供システムにとって、リスク・ベネフィットへのライフサイクルを通じたアプローチとは、つまり医薬品安全性に関して FDA からの情報に注意し、それに従い、承認時には限られた情報しかないということを念頭に置き、医薬品に関する決定(処方集から処方に至るまで)を行う際に適切な注意を払うことを意味している。また、医療提供システムは、処方に関する決定を一貫して科学に基づいて行うことと、実地の医療への製薬業界の影響に関して注意を払うことから利益を得るであろう。医療関係団体や職能団体は、医薬品のリスク・ベネフィット評価の背後で進歩する、科学に対する処方者の理解に貢献することができる。学術研究事業は、医薬品のライフサイクルのすべての時点において、リスク・ベネフィット評価に対するデータの貢献を一層高め、非常に重要である FDA へ助言を与える関係を続け、そして、製薬産業との金銭的関わりに伴う実際の、または認識上の利害の衝突を認識し、完全な透明性という価値を保持していくことができる。他の政府機関は、公的資金を受けた医療機関からのデータの流れが、改善された医薬品安全性システムに寄与することを保証するために、FDA 及び民間部門と協力することで、医薬品のリスク・ベネフィットへのライフサイクル・アプローチに貢献することができる。国民と患者は、自身が使用している医薬品に関して医療提供者とコミュニケーションを取り、彼らの健康上の必要性や特質に照らして医薬品のリスクとベネフィットについて学び、また医療提供者と話し合い、自身が経験した副作用について医療提供者に対して知らせ、そして新薬のリスク・ベネフィットに関してより有用で時宜に即した情報を求めることにより、彼らの役割を果たすことができる。国民やその他関係者はまた、連邦議会が FDA に対して十分な資金を保証し、維持するよう強く求めることもできる。

## 勧告

### 組織文化

長官等の指導部 (Office of the Commissioner) が不安定であることが、FDA、特に CDER にとって深刻な問題であった。大きくて複雑な、科学を基礎とした

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

規制機関は、安定で、有能な指導部と明確で一貫性のある指揮命令なしには、最適のパフォーマンスを発揮できない。

3. 1 委員会は、現在上院の助言と同意を得て大統領により任命されている FDA 長官について、今後 6 年間の任期とするよう FDC 法の改正を勧告する。長官は、科学を基礎とする行政組織を統率する適切な専門性、指導・鼓舞に関する実証された能力、公衆衛生、科学的誠実さ、透明性そしてコミュニケーションに対する証明されたコミットメントを有する人物であるべきである。大統領は長官を、効率の悪さ、職務怠慢又は背任行為といった理由に基づいてのみ、解任することができる。

FDA と CDER の指導部が、組織文化の変革と巨大で複雑な組織を率いた経験に富む人々の、助言や支援から利益を得られるような仕組みが必要である。

3. 2 委員会は、FDA 長官が、CDER の文化を変革するのに必要な変化を実行し、持続させるよう CDER (そして FDA 全体) を率いていくのに助言を与える外部の管理諮問委員会を、保健福祉長官が任命するよう勧告する。それは、志気と専門スタッフの定着を高め、透明性を強化し、信頼を回復し、ライフサイクルを通じたリスク・ベネフィットへの取組みに基づいた、安全の文化の創造により行われる。

3. 3 委員会は、保健福祉長官が、FDA 長官と CDER センター長に対して、管理諮問委員会の助けを得て、FDA を公衆衛生の保護を含むその使命を果たすのに適切な位置に置くような、持続的な組織文化の変革を目的とした包括的な戦略の作成を命ずるよう勧告する。

ODS (Office of Drug Safety : 医薬品安全部)、現在の OSE (Office of Surveillance and Epidemiology : 監視疫学部) は医薬品の規制に関して、公式な役割をもってこなかった。審査過程の関係する側面から学び、またそれに参加する公式の機会も、また、市販後の安全対策を行う権限もなかった。

3. 4 委員会は、CDER が OSE (監視疫学部) 職員を、新薬申請の各審査チームに一名指名し、そして承認後の安全性に関する規制措置について、OND と OSE に共同の権限を与えるよう勧告する。

CDER の財源の半分以上を占める PDUFA の仕組みとユーザー・フィー・プログラムに伴う報告の要件は、承認のスピードを支える方向に過度に向かっており、安全性への注意が不十分である。

3. 5 FDA がもつ二つの目標、すなわち、革新的な新薬を迅速に使えるよ

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

うにすること、そして、製品のライフサイクルを通じて医薬品の安全性を確保すること、この二つのバランスを適切に回復させるため、委員会は、議会在が 2007 年の「処方せん薬ユーザーフィー法 IV」(Prescription Drug User Fee Act IV)の中に、特定の安全性に関する達成目標を導入するよう勧告する。

#### 科学及び専門知識

FDA の Adverse Event Reporting System (AERS : 有害事象報告システム) は時代遅れで非効率的である。そして CDER がそのシステムの技術的検討を始めたが、市販後監視において、その有用性を改善するために、さらなる努力が必要である。

4. 1 委員会は、新たな安全性シグナルと仮説生成を改善するため、CDER に対し、(a) 組織的で科学的な AERS (有害事象報告システム) のレビューを行うこと、(b) より効率的なシステムへと導き得る鍵となる要因を同定し、その変化を実行すること、そして、(c) 新たな安全性シグナルを自動的に生み出すため、規則的・日常的に、統計的調査方法を組織的に実行するよう勧告する。

さらに、CDER の医薬品の安全性仮説の検証能力は、限られたものである。

4. 2 委員会は、医薬品の安全性仮説の形成と検証を促進するため、CDER が、(a) 大規模自動データベースからのデータにアクセスし、研究するセンター内・外のプログラムを増やし、(b) このプログラムに、医薬品の使用パターンと関心のある有害事象の背景発生率に関する研究を含め、そして、(c) 様々な状況の中で必要とされる特定の医薬品や疾患に関する能動的サーベイランスを開発し、実行することを勧告する。

本部告書では、CDER が市販後調査の精密さとデータ要件のレベルを決定するため、言い換えれば、多数の人々に実際に使用される状況とマッチさせるための、より構造化された方法の開発の促進を意図した幾つかの勧告(下に示した 4.3, 4.5, 4.8, 5.4) が述べられている。短期間の承認前での治験は、何年もの間多数の人々に使用される場合の、医薬品のリスクとベネフィットのバランスに関する十分な情報を提供しない。様々な官民の組織は、向上した質のデータ資源と科学的な能力をもっている。そして、それらの資源が、薬の安全対策において、効率的、そして効果的に使用されるよう努力が必要である。

4. 3 委員会は、保健福祉長官が復員軍人援護局長官及び国防長官と共同し、公衆衛生上重要な医薬品の安全性・有効性確認のための試験への財政的支援に優先順位を付け、その支援を計画し、組織化するために、医薬品のス

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

ポンサー、公的・私的な保険者、営利又はNPOの医療提供機関、消費者団体、大規模製薬会社とともに、官民のパートナーシップを策定するよう勧告する。議会は、このパートナーシップに対して公的財源を投入すべきである。

4. 4 委員会は、CDERが、リスクの最小限化行動計画(Risk Maps)について、タイムリーで科学的に有効な評価(CDER内部で行うか又は企業のスポンサーが行うにかかわらず)が行われることを保証するよう勧告する。

リスク・ベネフィット評価は、承認の時点で終了するものではなく、リスクとベネフィットは、それぞれ切り離して考えることができない。

4. 5 委員会は、CDERに、FDA全体が承認前、承認後を通して使用する、リスク・ベネフィット分析への体系的な取組みを作り上げ、継続的に改善するよう勧告する。

委員会は、これらの決定を改善するための医薬品のリスク・ベネフィットに関するデータを拡大する、いくつかの勧告を行った。しかしながら、これらのデータを計画し、使用するためには、適切な専門知識が必要である。この専門知識は、諮問委員会やその他の非政府組織の専門家からと同様、CDERの職員からも得られる。委員会は、この報告書中の勧告に示された新しい責任を担うためには、この専門知識を拡大する必要があると信じる。CDERはさらなる専門スタッフ、いまいる職員のより深い専門知識、そして、さらに別の専門知識を必要とするであろう。

CDERは、この拡大した専門知識とリソースを持ち、重要な研究テーマの明確化や、適切な研究のデザインに積極的に参加することにより、市販後安全性のより効果的な世話役となり、より信頼できる、産業界と学界との科学的なパートナーとなることができる。

4. 6 委員会はCDERが、医薬品の市販後の評価を改善させるため、内部に疫学とインフォマティクスに関する能力を構築するよう勧告する。

CDERのスタッフが科学的に高度な知識を持つことは、他から孤立して起きるべきではない。目標は、良い科学に基づいた規制上の決定をサポートすることであるので、結果として生じる目標は、FDAの研究のインフラを支援することである。拡大された研究の機会が、FDAの規制上のミッションに明確にリンクするべきである。

4. 7 委員会はFDA長官が、以下を行うことにより、FDAの科学研究能力を築くコミットメントを示すよう勧告する。

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

- a) FDA 内部の研究プログラムの監督・調整、質と規制上の焦点を保証する責任を持つ首席科学官を、長官の事務局内に任命する。
- b) 首席科学官に対する外部の諮問委員会として、FDA の科学委員会を指名する。
- c) 研究能力を FDA のミッション中に含める。
- d) 首席科学官に承認された、内部の研究支援のために資源を投じる。
- e) 内部の研究プログラムに必要な資金の確保を、議会に対する FDA の毎年の予算要求書に含める。

速いペースの審査は、CDER の審査官が、市販後の安全性やさらなる研究の必要性などの課題について、適切な FDA 諮問委員会から継続的に必要な意見を求めるのを妨げる。

4. 8 委員会は FDA が、自らの諮問委員会にすべての新規成分 (NMEs) を承認前または直後にレビューしてもらい、医薬品の安全性と有効性を確保し、また、医薬品のリスクを管理する過程に助言をもらうよう勧告する。

4. 9 委員会は、FDA のすべての医薬品諮問委員会、そして、その他の上記に記した CDER により審査された製品の安全性に関するようなピア・レビューの活動に、薬剤疫学者もしくは医薬品の安全性研究について匹敵する公衆衛生の専門知識のある個人が、含められるよう勧告する。

FDA の信頼性は、もっとも大切な財産である。最近の関心事である諮問委員会のメンバー (CDER が規制に関して決定を下す場合に助言を行う) の独立性は、生物医学に関する研究機関における科学的独立性についてのより広い懸念とともに、FDA が受け取った科学的なアドバイスの信頼性に疑問を投げかけた。

4. 10 委員会は FDA に、個々の諮問委員会のメンバーの実質的な過半数が、諮問委の検討によりその利害関係に影響を受ける企業と金銭的な関係がない、との要件を設けるよう勧告する。

委員会は、一般国民と研究者に対して、リスクとベネフィットに関する情報を入手しやすくすることの重要性について、それが特定の研究結果であろうと、又 CDER の職員による懸念事項の分析であろうと、強い信念を持つ。国立医学図書館 (NLM) は治験の登録のためのウェブサイトを持っているが、少数の例外をのぞき、これは自主的なものである。2002年、PhRMA のメンバーである製薬会社は、市販薬と治験薬に関する仮説検証のための治験結果を、自発的に公開する約束をした。そして、2004年には、PhRMA は本目的のため、ウェブサイトを立ち上げた (ClinicalStudyResults.org)。調べてみると、サイトにアクセスのしやすさ、情報の完全さといった点で大きなばらつきがみら

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

れる。

4. 1 1 治験登録を義務化し、それが体系的に標準化され、完全であることを確保し、そして、登録サイトが治験結果の報告を掲載できるよう、委員会は、議会に対し、業界のスポンサーに、治験がどのような場所で行われようと、また治験データが NDA, sNDA の一環として FDA に申請される意図か、市販後の調査の約束を遂行する為であるかに拘らず、タイムリーに、少なくとも Phase II から IV の間のすべての治験を、clinicaltrials.gov に登録をすることを要求するよう勧告する。委員会はさらにこの要求事項が、試験の有効性・安全性に関する、構造化されたフィールド概要を掲載することを含めるよう、勧告する。

4. 1 2 委員会は FDA にすべての新薬申請レビューパッケージ (NDA review package) を、そのホームページに掲載するよう勧告する。

4. 1 3 委員会は CDER の審査チームが定期的・体系的に、すべての市販後調査結果を分析し、リスクとベネフィット情報の統合に関してその結果の重要性に関する評価を公表するよう勧告する。

## 規制

FDA はスポンサーが規制当局の要求事項を遵守するために必要な、明確で確かな権限を欠いており、代わりに業界との生産的な交渉の期待に頼っている。当局は、歴史的にその「公職の権威」を利用してスポンサーに規制を遵守させてきたにもかかわらず、このようなプロセスでは、時として重要な規制行動について、主観的で変動の大きい個人や FDA の影響行使という過程や、変わり行く規制政策や規制への態度の移り変わりの影響を受けやすくしてしまう。よって FDA は、必要で適切な時、素早く決定的な行動をとれるよう、自らの権限を明確にし、強化しなくてはならない。

5. 1 委員会は、議会に FDA に、医薬品の安全な使用をモニターし、確保すべく、市販後のリスク評価、リスク管理プログラムを要求する力をもたせるよう勧告する。これらの条件は、新たな禁忌や、有害事象のパターンが発見された場合と同様、薬が承認される前後、新しい適応症、新しい投薬量が承認された時にも必要であるかも知れない。課される制限は、医薬品による特定の安全性への懸念と医薬品が示す利益にマッチするべきである。リスク評価とリスク管理プログラムには以下の事項が含まれる。

- a) 薬剤ラベルの、当局主導による変更に合わせて合致することを条件とする医薬品の流通

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

- b) すべての販売促進物（消費者への直接広告（DTC 広告）の放送を含む）に特定の警告を記すことを条件とする流通
- c) 消費者への直接広告の一時停止を条件とする流通
- d) 特別の訓練を受け、又経験を積んだ、一定の施設、薬剤師、医師のみへの流通販売
- e) 特定の医療処置を条件とする流通
- f) 特別の更なる治験又は他の試験を条件とする流通
- g) 能動的な有害事象監視システムの維持管理を条件とする流通

5. 2 委員会は議会が、FDA とスポンサー双方が上記に掲げた条項を遵守することを監督し、必要な法令を制定することを勧告する。FDA には、強化された法施行権限と医薬品のスポンサーに対するより良い法施行のためのツールが必要であり、そのツールには罰金、禁止命令、医薬品製品の回収が含まれるべきである。

FDA が要求された市販後の安全性のレビューをタイムリーに行うことは、"Prescription Drug User Fee Act, (処方せん薬ユーザーフィー法(PDUFA))" に伴うゴールの一つとして挙げることができ、議会へのゴールに関する書簡の中で報告されている。(第三章参照)

5. 3 委員会は議会に対し、Food, Drug and Cosmetic Act (連邦食品・医薬品・化粧品法) を改正し、新薬、新配合剤、既存薬の新投与経路に関する製品のラベルに、イギリスで用いられているような黒い三角、又はそれと同じようなシンボルマークをつける事を要求するよう勧告する。FDA は、特別なシンボルマークがついている間は、消費者に直接広告を行うことを制限するべきである。

FDA がケースバイケースで、期間を短くしたり長くしたりしないかぎり、2 年間はシンボルマークを薬のラベル及び関係する資料につけておくべきである。

5. 4 委員会はFDA が新有効成分 (new molecular entity) に関するすべての新規データについて、承認後5年の間、評価するよう勧告する。スポンサーは、ピア・レビューの雑誌に発表された追加データすべてを含む、薬の安全性と有効性に関する蓄積されたデータ報告書を提出し、また、申請時、又はその後求められた、医薬品の流通に関して課されたすべての関係する条件についての状況を報告するであろう。

#### コミュニケーション

国民は、FDA の承認前、どのように薬が試験されるのか、医薬品のリスクと

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

ベネフィットが評価されるのか、そして FDA の審査が何を伴うかに関するより多くの情報から、利益をうけるだろう。患者はまた、現れつつある安全性への懸念あるいは薬の効能に関するタイムリーな情報を必要としている。そのような情報は、患者が、その医療サービス提供者と協力して、よりよい決定をするのを助けるだろう。FDA は、コミュニケーションに関して、特定の、科学的な、患者や消費者からのアドバイスを求めたり、受け取ったりする適切な仕組みを持っていない。

6.1 委員会は議会に、患者と消費者とのコミュニケーションに関する FDA の諮問委員会を設立するための法令を、制定するよう勧告する。諮問委員会は、消費者、患者の見解や組織を代表するメンバーからなるであろう。諮問委員会は、医薬品やその他の医療用製品のライフサイクルにおける有効性、安全性そして使用に関するコミュニケーション関連事項について、CDER 及び他のセンターにアドバイスを行うであろう。また、” 国民が、健康増進のために、医薬品や食品を用いるのに必要な、正確で科学に基づく情報を得るのを助ける “とのミッション掲げる各センターを支援するであろう。

6.2 委員会は、新しい Office of Drug Safety Policy and Communication (医薬品安全性政策コミュニケーション部) が、一体性のあるリスクコミュニケーション計画を策定するよう勧告する。この計画は、少なくとも、すべてのセンターのリスク・コミュニケーション活動のレビュー、コミュニケーション・ツールの明確性、一貫性の観点からの評価及び改定、資源の効果的活用を確保するための優先順位設定といった内容が含まれる。

## 資源 (Resources)

CDER の組織文化の改善、有能なスタッフの確保、技術的能力の向上、データへのアクセスと革新的なパートナーシップの獲得及びそれからの利益獲得等、本報告書においてここまで述べた一連の提案は、全て十分な資源に依存するものである。公衆の衛生を守り、それを向上させるという重要なミッションを持つ機関は、業務を遂行するための資金の調達に奔走するような事態に陥るべきではない。また、ひも付きの PDUFA 財源への CDER の過剰な依存が CDER の活動に及ぼす影響は、FDA の信頼性をも傷つけ、FDA 自身の有効性にも影響しかねない。

7.1 医薬品のライフサイクルを通じての安全性・有効性に関する活動の改善を支えるために、委員会は、政府は FDA に対する大幅な財源及び人的資源の増加を求め、連邦議会はこれを承認するよう勧告する。

我々は、本報告書に提案した新たな医薬品安全性に関する責務の全てを支え

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

るためには、ユーザーフィーよりも政府歳出予算として財源を確保することが望ましいと考える。この考えは、CDER が、タイムリーに継続して医薬品を審査、承認するという期待と、そして、高まる安全性への考慮は、有効性に関する審査をなおざりにして行うものではなく、むしろそれは、医薬品のライフサイクルアプローチのために有効性の審査を補完するという期待に基づいたものである。通常の税収を財源に連邦議会が定めた政府歳出予算は、つまり、国民が直接的に、公正に、かつ有効に FDA の市販後安全活動に対して投資できるという仕組みである。しかしながら、もし歳出予算がこうした活動をサポートするのに十分でなくユーザーフィーが必要となるなら、連邦議会は、CDER の PDUFA 財源の使途に関する制限を、大幅に減らすべきである。

2006 年は、FDA の歴史において非常に重要な節目となる年である。国民の医薬品の安全性への関心が高まり、2007 年 9 月の PDUFA 改正に向けた事前交渉が開始され、メディケアパート D は何百万人もの高齢者を、医薬品の使用経験に関する有用なデータを生み出す可能性あるシステムに登録し、そして連邦議会の医薬品の安全性問題への関心も非常に高まっている。今こそ、CDER の組織文化、権限、科学的能力、医療関係者や国民とのコミュニケーション能力を刷新し、改革すべき時なのである。委員会は、本報告書に述べた提案が十分な資源の下に相伴って実行に移されれば、センター（及び FDA）に、患者と公衆の健康の増進及び保護において、現在においては、より効果的に機能させ、そして、より一層困難な将来に対しては、良い態勢で取り組むことを可能にするであろうと信じる。

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

### BOX S-1：任務の陳述 (The Statement of Task)

承認された医薬品による健康リスクへの人々の懸念が広がる中で、FDA は IOM (医学研究所) に対して、臨時の専門家委員会を設立し、現在の市販後医薬品の安全性の評価・確保のシステムを独立に評価し、医薬品のリスク評価・監視・安全使用の向上に向けた勧告を行うよう求めた。その IOM 専門家委員会の活動内容には、以下が含まれる：

- \* 米国の医療提供システムの一部としての、医薬品の安全性の確保における FDA の現在の役割と他の関係者の役割 (医療従事者、病院、患者、その他公的機関) の検討
- \* FDA、製薬産業、医学界、公衆衛生関係機関において現在実施中の市販医薬品に関する安全性評価の検討
- \* FDA が、医薬品安全性問題を特定し、対応するために使用している分析ツール及び手法のツールの評価と強化策の勧告
- \* FDA の医薬品安全性に関する内部組織体制及びその業務の評価 (継続中の市販後リスク・ベネフィット評価を含む)
- \* 医薬品安全性問題を特定し、対応する上での FDA の法的権限及び市販後安全性活動に現在振り分けられている資源 (金銭的及び人的) についての検討
- \* 現在のシステムの長所、短所及び限界の特定
- \* 医薬品のリスク評価・監視・安全性使用の改善に向けた、組織、法律の制定、規制、資源の面からの勧告

(医薬品医療機器総合機構仮訳)

参考文献一覧

- Consumers Union. NEWS-- IOM Panel Urged to Immediately Recommend that Congress Toughen Drug Safety Laws to Save Lives: Consumers Union testifies today that obvious safety problems need action now, 2005.
- Grassley C.A Bill to amend the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act with respect to drug safety, and for other purposes. S.930 :2005: 109<sup>th</sup> Congress, 1<sup>st</sup> Session, Senate.
- Harris Interactive. The Public Has Doubts About the Pharmaceutical Industry's Willingness to Publish Safety Information about Their Drugs in a Timely Manner. January 18, 2005; accessed March 10, 2006. Web Page. Available at: <http://www.harrisinteractive.com/news/printerfriend/index.asp?NewsID=882>.
- NCL, Comments of The National Consumers League to DKT. No. 2005N-0394, Communication of Drug Safety Information. 2005; accessed September 16, 2006. Web Page. Available at: [http://www.nclnet.org/advocacy/health/letter\\_drugsafety\\_01062006.htm](http://www.nclnet.org/advocacy/health/letter_drugsafety_01062006.htm)
- PricewaterhouseCoopers' Health Research Institute. Recapturing the vision: Integrity driven performance in the pharmaceutical industry. 2005.
- U.S. PIRG. Drug Safety. 2006; accessed September 16, 2006. Web Page. Available at: <http://uspirg.org/uspirg.asp?id2=17568&id3=US&>.