

要 旨

1. 作成の背景

新たに出現してくる革新的な医療製品の有効性、安全性、品質を評価する場合には、評価方法自体を更新していく必要がある。しかしながら、「21 世紀の製品を 20 世紀の評価方法で評価している」[1]と非難されることがあるように、評価方法の更新は科学技術の進展に対し遅れがちである。新しい評価方法で医療製品を評価する場合には、まず「評価方法自体を評価する」ことが求められる。評価技術の適用範囲を決めた上で妥当性をデータとともに検証した後に、適用範囲内で適切に使用するための評価方法のガイダンスを整備し、非臨床試験もしくは臨床試験において評価方法として使用できるようにすることは「評価技術の適格性認定 (Development Tool Qualification)」と呼ばれている。日本では個別の評価技術のガイダンスは整備されていても、評価技術の適格性認定手続きを明示的にルール化しておらず、このための施策については、内容、方法ともに十分に議論されてこなかった。そこで、本提言では評価技術の適格性認定手続きとして、「評価方法のガイダンスを作成するガイダンス」の整備と関連する施策を提案する。

2. 現状及び問題点

米国では医薬品向け (Drug Development Tool Qualification Program)、医療機器向け (Medical Device Development Tool Program)、欧州では医薬品向け (Qualification of novel methodologies for drug development: guidance to applicants) の政策として、既に医療製品に対する評価技術の適格性認定システムを整備し、「評価方法のガイダンスを作成するガイダンス」としてルール・オブ・ルール型 (ルールを作成するルール) の政策が立案・運用されている。米国ではこのシステムを利用して、医薬品のためのバイオマーカーや医療機器における患者の主訴に基づく臨床効果評価 (Clinical Outcome Assessment) を中心に 200 件を超える申請があり、ツールの適格性認定が進展している。

一方で、日本ではプロセスを明示的に定義したルール・オブ・ルール型のシステムを整備しておらず、運用するための政策的リソースも不足している。このため、評価技術の保有者、利用者、規制当局の間で、ツールの適格性認定が体系的に進展しておらず、欧米発の評価技術のデファクト化が進展する中で、日本は新しい医療製品技術の評価方法を追認するだけとなるだけでなく、日本発の革新的な医療製品の国内及び海外への普及に障害が出るリスクが生じている。

3. 提言の内容

新技術を利用した医療製品をいち早く患者に届けていくためには、医療製品の評価技術の迅速な適格性認定が不可欠であり、そのために各ステークホルダーが関与していくための施策として、以下の 5 点を提言する。

(1) ルール・オブ・ルール型のガイダンスを整備する

医療製品を評価するための個別の評価方法に対する適格性認定を行う手続きを定めるガイダンスを「ルール・オブ・ルール型のガイダンス」として整備することを提案する。

これにより、1) 評価方法の適格性を認定し利用方法を定めるツール・ガイダンスを作成するプロセスが定義され、評価技術の保有者と規制当局を含む関連するステークホルダー間にプロセスと手続きが周知・共有されること、2) ガイダンス作成の検討作業の開始を評価技術の保有者が自発的に申請する手続きが明確になること、3) 次のプロセスへ移行する手続きが明確になること、4) プロセス移行時にプロセス移行を開示することにより、透明性と効率性を確保できる、などの利点が期待できる。

将来的には、製品全体を対象として、医療製品の有効性、安全性、品質に関連するガイダンスの整備方法を定めたガイダンスを策定するガイダンス (Good Guidance Practice) を整備し、ルール整備と改定の透明性と効率性を向上させる必要がある。

(2) 必要な人的資源・資金を確保する

評価方法の適格性認定を実施するための施策を作動させるためには、審査体制の拡充のための人的資源の確保、適格性を検証するためのデータ取得費用を補助する助成金制度の整備等、レギュラトリーサイエンスの政策資源を拡大する方策が求められる。また、教育・研究・産学連携のための中核的な研究組織を特定の複数大学に設置するとともに、社会人リカレント教育を充実させて先端医療のガバナンス形成のための人材育成機関とする。

(3) 柔軟な人事制度を構築する

医療製品の評価に関与する人材の人数を拡充していくためには、産官学間の人事交流が必須となるが、現状の硬直的な国家公務員の人事制度により人事交流するほど処遇が悪化する状況となっている。多様な経験を必要とする規制設計のための人材の育成には、人事交流が処遇上も不利にならない人事制度とそれに立脚したキャリアパス形成を支援する仕組みを用意する必要がある。

(4) 評価技術保有者に適格性認定のメリットがわかるようにする

ルール・オブ・ルール型の適格性認定システムを整備するだけでは認定事例の増加には不十分であり、大学の研究者や企業などの評価技術の保有者が評価方法の適格性認定を受けて、評価技術が臨床開発に利用されるように動くための動機付けや仕組みを用意しておく必要がある。このためには、制度の利用例の周知、適格性認定支援の研究助成の充実、企業の事業化支援等、評価技術が利用されるためのエコシステムの整備が求められる。

(5) 日本発の評価技術の国際的な認知と利用を促進する

欧米が評価方法の適格性認定システムを整備したことにより、認定される評価方法の数は今後増加してくることが想定される。日本でも評価方法の適格性認定を進めると同時に、日本発の評価方法が欧米でも認定されるための手続き、支援策を整備していくことが求められる。国際技術標準等のルートその他、欧米で適格性認定された評価方法を相互に認証する手続きなど、複数の実施方法を開拓する必要がある。