PMDA の活動と方向性

近藤 達也

要約：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency）は「健康被害救済」・「審査」・「安全対策」の3つの業務を行っている。これは、医薬品や医療機器などの開発から使用までの全般に関わるセイフティ・トライアングルという日本独自の素晴らしい仕組みである。この仕組みの下、より有効でより安全な医薬品等を待ち望む患者のために、PMDA は、その使命を対外的に伝えるとともに、職員が心を一つにして目標に向かって日々邁進する誓いとして理念を定め、日々その業務に取り組んでいる。また、科学的な判断を基調として業務を推進するため、PMDA ではレギュラトリーサイエンスの推進にも取り組んでいる。レギュラトリーサイエンスとは社会の調和のための学問であり、アカデミックサイエンスを実社会に適応させることで、社会に貢献する学問でもある。本稿では、PMDA の現状と今後の方向性、レギュラトリーサイエンスの推進について概説する。

1. PMDA の三大業務と理念

PMDA は、医薬品の副作用・感染等による健康被害の救済、医薬品・医療機器の承認審査、医薬品・医療機器の安全対策の3つの業務を行っている。「健康被害救済」・「審査」・「安全対策」というこれらの仕事の中心に「国民」を置き、3つの機能を運営する仕組みをPMDAではセイフティ・トライアングルと呼んでいる。これは、世界に誇れる日本独自の素晴らしい仕組みである（図1、<http://www.pmda.go.jp/guide/outline.html>）。

次に、厚生労働省（MHLW: Ministry of Health, Labour and Welfare）とPMDAの役割分担について説明する。厚生労働省とPMDAの業務は重複している

図1 PMDA のセイフティ・トライアングル

のではないという意見もあるが、業務分担は明確である。厚生労働省は、「行政措置の実施」を行う一方、PMDA は、「科学的な判断」を担っている。PMDA が医薬品や医療機器の安全性、有効性等を科学的に判断し、その判断を基に厚生労働省が行政措置を決定するという流れである。両者の判断は相補的であり、密接な連携のもと医薬品、医療機器の審査や安全対策に当たっており、車の両輪といって然るべきである。また、そのパイプは強力に結ばれていなければならない、人材の交流も重要と考える。

PMDA は平成 16 年に発足した組織である。それ以前は、医薬品、医療機器の安全対策業務は主に厚生労働省で行っており、審査業務は国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センターおよび財団法人医療機器センター、救済業務については医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構で行っていた。こうした複数の行政機関の業務を一元化し、効率的に行うことを目的に設立されたのが PMDA である。

キーワード：医薬品医療機器総合機構（PMDA）、セイフティ・トライアングル、レギュラトリーサイエンス
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）（〒100-0013 東京都千代田区霞が関 3-3-2 新霞が関ビル）
E-mail: kondo-tatsuya@pmda.go.jp 原稿受領日：2012 年 1 月 12 日、依頼原稿

Title: Activities and future directions of PMDA (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency). Author: Tatsuya Kondo

平成 20 年 4 月に PMDA の理事長として着任し、最初に着手したのは組織の理念作りであった。当時、PMDA の職員は各自の目標に向かって業務を遂行していたが、組織としての目的意識は十分に共有できていなかったことから、職員がひとつにまとまっていくために Mission Statement が必要と考えた。理念の作成に当たっては、その当時の全ての PMDA 職員から意見を募り、何度もすり合わせを重ね、半年がかりでまとめあげた。PMDA の理念として、私が真っ先に掲げたのは次のような文言である。「国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します」。これは、古代ギリシャのヒポクラテスの誓いの中でも特に重要な部分で、医療は患者のためのものであり、決して患者の不利となるものであってはならないというものである。職員全員で策定した PMDA の理念は、組織の重心として全員の統一的な行動基準となっている。海外からも高い評価を頂いており、職員もこの理念に基づき、心を一つにして日々の業務に取り組んでいる（図 2、<http://www.pmda.go.jp/guide/philosophy.html>）。

2. レギュラトリーサイエンスと社会への貢献

社会貢献のための事業運営であるという原点に立ち戻り、レギュラトリーサイエンス（Regulatory Science）の概念に目を向け、その推進に注力している。最近では少しずつ広まりつつある言葉であるが、レギュラトリーサイエンスとは昭和 62 年に国立医薬品食品衛生研究所副所長（当時）の内山充氏が初めて提唱した言葉で、「科学技術の所産を人間との調和の上で、最も望ましい姿に調整する科学」と定義される、我が国発祥の言葉である（1, 2）。PMDA の役割に対応して考

えれば、レギュラトリーサイエンスとは「医学、薬学に代表される生命科学、または先端科学における最新の医学知識に基づきながら、社会的にも妥当な行政政策や規制を行うことを目的とする学問」と考えられる。具体的には、科学的な基準により「医薬品、医療機器等に関する問題を未然に防ぐ」とともに「問題が発生した場合には速やかな対策を講ずる」などの公衆衛生の向上を図ることが考えられる（図 3）。PMDA では審査その他の業務において、常にレギュラトリーサイエンスを前提に置いているため、PMDA はまさにレギュラトリーサイエンスの実践の場であり、我々は率先してこの業務の重要性をアピールしているところである（3）。

FDA の様々な歴史を紐解くと、“Regulation（規制）”とは経済的用語ではなく、「国民の生活・安全を公平に保つための手段であり、性悪説から国民を保護するものである（調和の科学）」と理解される。このように米国などの諸外国では、Academic Science の成果を社会に適応させるにあたり、レギュラトリーサイエンスの概念を通じて行っている。

図3 レギュラトリーサイエンスの3つの柱
科学技術進歩のメリットとデメリットを、予測・評価する方法を研究し、調和する。

わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- ❑ 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- ❑ より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- ❑ 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点で的確な判断を行います。
- ❑ 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- ❑ 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

図2 PMDA の理念（平成 20 年 9 月）

国民が「薬を正しく使う」「法律を守る」だけでなく、逆に政府が「国民の要望や希望をどの程度受け入れているか」もコンプライアンスに含まれると考えられる。政府の役目、または Regulatory Agency の役目とは、「国民の声、患者の声をどれだけ正しく反映させるか」ではないだろうか。レギュラトリーサイエンスという言葉は、薬学の分野で始まった言葉ではあるが、全ての分野の行政業務に活用できる概念であると思われる。基礎研究から臨床研究への発展において、「どのようにして資材、人材を投入するか」また一方で「規制当局がいかに早くスマートにこれを判断するか」の様々な面からも、レギュラトリーサイエンス推進の必要性が理解される。

レギュラトリーサイエンス推進のためには、大学、医療現場、産業界などと幅広く連携して人材交流を進める必要がある。その一環として、PMDAで連携大学院の拡充も進めている。医薬品、医療機器の研究開発を進めていくには、治験やその後の承認審査の知識を持った人間が研究機関に必要であるが、大学や研究機関等には薬事を十分に理解した人材が少ないのが実情である。連携大学院制度を利用してPMDAに来た個々の学生が、PMDAの業務に携わりながら、その経験を活かして学位に相当する研究成果を上げることにできれば、大学・PMDAの双方とも大変有益である。今後も、大学や研究所、国際機関とも連携し、積極的に人材育成に力を入れたいと考える。PMDAは日常的にレギュラトリーサイエンスを実践する優秀な人材を育成しながら、我が国の社会に貢献していきたい。

PMDA国際戦略の策定(2009.2.6.)

◆第二期中期計画期間中の国際活動の基本方針

1. 欧米アジア諸国、諸国際機関との連携の強化・協力関係の構築
2. 国際調和活動への主体的な参画と、より一層の貢献
3. 海外への情報発信の充実・強化

PMDAに国際部を設置(2009.4.1.)

- ◆ 国際機関との連携強化／国際調和活動に対する取り組みの強化
- ◆ 人的交流の促進／国際感覚・コミュニケーションスキルを備えた人材の育成・強化
→国際業務調整役を欧州(2009.11)、米国(2010.2)へそれぞれ長期派遣
- ◆ 国際広報／情報発信の充実・強化

PMDA国際ビジョンの策定(2011.11.9.)

◆今後5～10年の間に目指す「姿」

1. 世界トップレベルの実力の確保
2. アジア諸国との緊密なパートナーシップ
3. 基準等の国際調和への貢献

図4 世界のPMDAへ

3. 世界のPMDAへーPMDA国際ビジョン

医薬品、医療機器業界は益々グローバル化しており、PMDAの業務も国際的な協調が必要とされている。PMDAでは、平成21年に策定した「PMDA国際戦略」に基づき国際部を設置し、積極的な国際活動を進めてきたが、その後の国際情勢の変化等を踏まえ、平成23年には、今後5～10年の間に目指す姿としての「PMDA国際ビジョン」を制定し、さらなる国際活動の推進に取り組んでいる(図4)。

PMDAは、日米EU医薬品規制調和会議(ICH: International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use)や、医療機器規制国際整合化会議(GHTF: Global Harmonization Task Force)等を通じた国際調和活動へ参画・貢献しており、欧米と対等な三極の一つとして積極的に課題を提案し、議論においても主導的役割を担うことを目指している。

会議等への参加だけでなく、人的交流の促進も進めている。国際学会への参加はもちろんのこと、国際シンポジウムの主催、海外規制当局への人的派遣、海外研修生の派遣・受入等を通じて欧米アジア諸国との緊密な協力体制の構築に努めている。

さらに、国際広報および海外への情報発信も強化しており、日米欧三極を形成するトップレベルの規制当局としての国際的地位の確立を目指している。

4. 産・官・学・国民(医療人、患者)の義務と責任ある連携

我が国が国際的に新医薬品や新医療機器でイニシアチブを取るために、また世界で日本の医薬品や医療機器が受け入れられるためには、産・官・学・国民の連携が重要な鍵となる。よく産・官・学の連携といわれるが、これには「国民」という視点も必要である。

図5 産官学・国民の義務と責任ある連携

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な試験・治験に関する指導・助言を実施するものとして、平成23年7月1日より開始。

○相談区分

- ・ 医薬品戦略相談
- ・ 医療機器戦略相談

○相談対象

- ・ 開発初期からPOC試験程度までの承認申請に向けて必要な試験について、有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とする。
- ・ また、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」において、平成11年より導入された再生・細胞医療製品に係る確認申請制度は廃止し、薬事戦略相談に代替することが適当であるとされたことから、従来、確認申請制度で対応してきた人又は動物由来の細胞・組織を加工した治験薬又は治験機器については、それらに係る開発初期段階からの品質及び安全性に係る相談も、薬事戦略相談において受け付ける。

○相談手数料

- ・ 一定の要件に該当する大学・研究機関・ベンチャー企業は、低額の手数料を適用。

図6 医薬品・医療機器薬事戦略相談

PMDA の理念でも述べたように、「国民の安全と健康」が第一であり、国民を顧みないで産・官・学のそれぞれが一人歩きしては、飛躍的な発展は期待できない。

よって、私は産・官・学に加えて、「国民」という言葉を明示する。ここで「国民」とは、医療従事者であり、患者である。この4者がそれぞれの義務と責任をもたなければならない。つまり、産が医薬品や医療機器を作り、官が確認し、学がサポートするだけでは不十分である。医療従事者には、医薬品や医療機器のコストベネフィットやリスクをよく考えて使用すること、患者には、医療従事者の説明をよく聞き、医薬品や医療機器を適正に使用することが求められる。

現状の医薬品・医療機器業界では、産と官が一方的に義務と責任を担わされているように感じている。アカデミア、医療従事者、そして患者もそれぞれの義務と責任を担い、バランスのとれた体制を目指すべきである。そうでなければ、新医薬品・新医療機器の開発能力の向上は望めない。我が国が世界一の医薬品や医療機器開発を目指すためには、産・官・学・国民の連携に対する国民全体の理解が不可欠であろう（図5）。

5. 新たな取組み—薬事戦略相談

医療上必要な医薬品等を患者へ迅速に提供するために、日本発のシーズを実用化につなげていくことも、産・官・学・国民が協力して取り組むべき課題と考えている。国内において有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業のなかには、基礎研究段階の

科学的知見はあるものの、製品化の有望性を高めるための戦略的な開発、承認申請の実務に不慣れな者も多く存在しており、実用化に向けての橋渡しが円滑に進められていないといった現状がある。PMDA では、平成23年度から、大学・研究機関、ベンチャー企業で研究開発を進めている革新的新薬等のシーズについて、その開発初期段階から必要な試験等の相談を行う「薬事戦略相談」という新たな事業に取り組み始めた（図6）。これは、研究段階の疑問に答え、有用なシーズが承認申請に結びつけられるようにするための相談業務である。本相談事業の活用によって、医療現場やアカデミアに眠る有望なシーズが続々と出てくることを期待している。新たなシーズによる医薬品・医療機器の開発をお手伝いすることは、医薬品・医療機器産業の発展だけでなく、それを使用する国民の健康への貢献にも繋がると確信している。

おわりに

PMDA は、レギュラトリーサイエンス、国際協調や新規相談業務等を通じ、薬事における健康被害救済、審査、安全対策の業務を行う国内唯一の組織として、今後さらに国民の健康・安全の向上に積極的に貢献していきたいと考えている。

文 献

- 1) 内山充. 衛試支部ニュース. 1987;272:1.
- 2) 財団法人ヒューマンサイエンス振興財団. HS レポート. 2004;47.
- 3) Tominaga T, et al. Clin Pharmacol Ther. 2011;90:29-31.