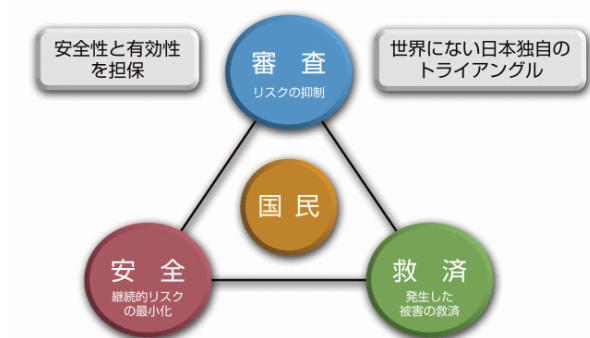


臨床統計家に望むこと ～医薬品審査の観点から～

医薬品医療機器総合機構
スペシャリスト(生物統計担当)
安藤 友紀

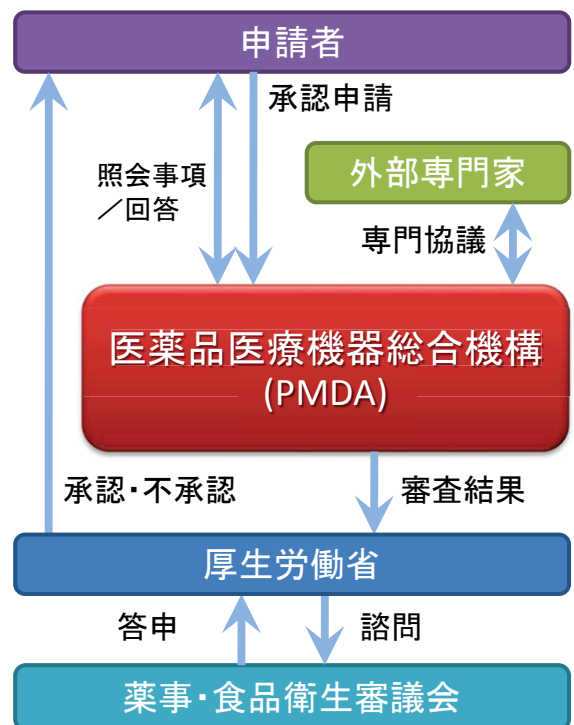
医薬品医療機器総合機構(PMDA)

- 2004年4月1日に
 - 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
 - 医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構
 - 財団法人医療機器センターの一部の業務を統合して設立
- 医薬品等の承認審査、安全対策、健康被害救済、の3つの役割を一体として行う
- 医薬品、医療機器開発に関して、承認申請前の治験相談、承認審査を同一機関で実施
 - 開発段階の助言から審査までの一貫性の担保
 - 臨床試験のデザインの評価から結果の評価までを一貫して実施可能



承認審査とそのプロセス

- 承認申請時に提出される申請資料、新医薬品については臨床試験の電子データに基づき審査を行う
- 申請された医薬品等について、以下の点を検討する
 - 十分な科学的データが得られているか
 - 厳密な薬効評価が行われているか
 - 適切な使用対象(効能・効果)と使用方法(用法・用量等)が決められるか
 - 疾病の治療や診断への貢献が確認されているか
- 審査結果の厚生労働省への送付まで、複数回の(主に文書による)照会事項、回答のやりとりを経て審査を進める



2017/03/03

京都大学臨床統計家育成コースキックオフシンポジウム

3

「臨床試験のための統計的原則」(1998年)

- ICH (International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use – 医薬品規制調和国際会議) によりまとめられた、国際的ガイドラインの一つ (E9)
 - 日本では「臨床試験のための統計的原則」(1998年11月30日、医薬審第1047号)として通知
 - 臨床開発全体を通して、試験計画～実施～解析における留意点がまとめられている
 - 焦点は「統計的原則」
 - 個々の統計的な手続き又は手法の使い方を扱うものではない
- 試験統計家の重要性が記載されている
 - 「試験統計家の役割と責任は、医薬品開発を支える臨床試験に統計的原則が適切に適用されていることを、他の臨床試験専門家と共同して保証することである。」

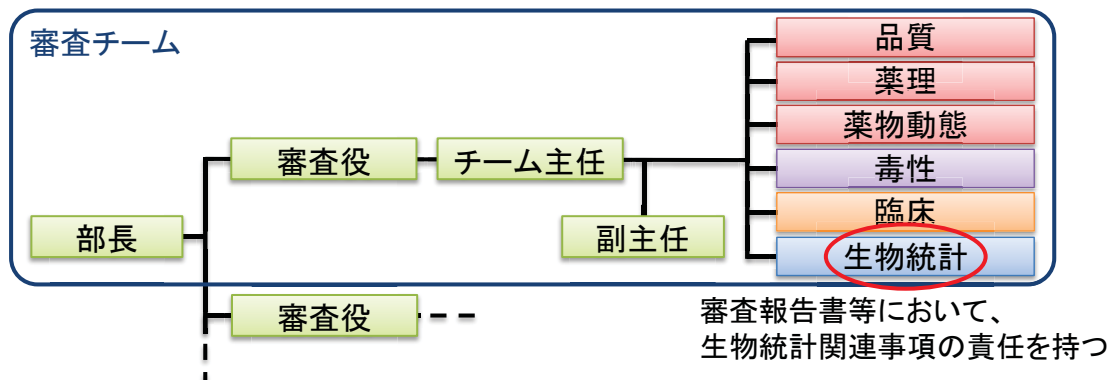
2017/03/03

京都大学臨床統計家育成コースキックオフシンポジウム

4

PMDAにおける生物統計担当の役割

- 新薬各部における承認審査、治験相談業務
 - 疾患領域ごとに各分野の専門家からなる審査チームを構成して対応
 - 資料の確認、審査の重要な論点に関する他分野の専門家との議論、必要な解析の実施、照会事項及び審査報告書の記述・記述支援



- 各種ガイドライン作成や国際的活動等の個々の品目に関わらない業務
- 内部研修講師
 - 臨床試験デザイン、統計関連トピック、ソフトウェア使用等
- 外部向け・外部と共催のシンポジウム開催等

2017/03/03

京都大学臨床統計家育成コースキックオフシンポジウム

5

臨床統計家に望むこと

- 各開発品目／臨床試験について
 - 臨床的な課題から統計的な課題への変換
 - 試験の目的～試験で何を推定すべきか～適切な解析方法
 - 統計的原則の適切な適用
 - 個々の疾患領域、薬剤の特徴を踏まえての、臨床試験デザインや計画、解析手法に関する、実施可能な最良の提案、助言
- 他分野(臨床医学、臨床薬理学等)、外部(協力機関や規制当局)とのコミュニケーション
 - 統計的原則が適切に適用されていることを協力して保証
 - 各分野の専門的内容に関する相互の理解
 - 統計的内容を理解可能な形で他分野の専門家に説明
 - 統計的内容に関する外部専門家との議論
 - 試験デザインや解析手法に対する個々の判断の明確な根拠の提示
- より広い視野で
 - 開発の様々な側面に関わる統計的課題への積極的な関与

2017/03/03

京都大学臨床統計家育成コースキックオフシンポジウム

6

臨床統計の今後の展望

- 新たな概念の導入、臨床試験デザインや統計解析手法のさらなる開発
 - Estimandの考え方と欠測データの解析
 - Adaptive designやmultiple endpointの利用
 - Bayes流の手法の利用
 - Biomarkerを利用した試験デザイン
- 他の領域との協力による開発への貢献
 - 臨床薬理データを含むモデリング&シミュレーション
- 新たなデータの利用
 - 医薬品開発におけるレジストリデータの利用
 - 診療データの利用

臨床統計領域の専門的事項、及びそれを超えて、開発に関わる他分野との協力関係と、さらに広い視野が重要となる