

講義4 医薬品の審査と承認

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
新薬審査第五部 市川 紗弓

1

自己紹介

- 2011年 医薬品医療機器総合機構 入職
新薬審査第二部配属
- 2018年～現在 新薬審査第五部配属
業務内容
- 医療用医薬品の審査/相談業務等を担当。
- 担当疾患領域は、抗悪性腫瘍剤（主に血液腫瘍）



2

PMDAとは？

- 平成16年4月に設立
- 厚生労働省の関連法人
- 常勤職員数
(令和6年4月)：1063人

- **P**harmaceuticals and **M**edical **D**evelopments **A**gency
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（略称、PMDA、機構）
- 法律に基づき、以下の3つの業務を実施

健康被害救済	医薬品等による健康被害の迅速な救済
承認審査	医薬品等の品質・有効性・安全性について助言、承認審査
安全対策	市販後の安全性情報の収集、分析、提供



PMDAで扱う医薬品等

医療用医薬品	一般用医薬品	医療機器	再生医療等製品	医薬部外品	化粧品
病院で使う又はもらう薬	店頭で選んで買う薬	リスクに応じてクラスI～IVに分類	細胞加工製品 遺伝子治療製品	作用が緩和なものとして認められたもの	清潔・美化等を目的に塗布等するもの

医薬品

本日のお話は医療用医薬品を中心にご説明します。

新しい医薬品ができるまで① ～基礎研究と非臨床試験～

基礎研究（医薬品の本質を探る）

- 治したいターゲットを見つける
- 新しい物質（成分）を見つける
- 化学的に作り出す



非臨床試験（医薬品の本質を研究する）

- 培養細胞や動物を使って、効き目と安全性を研究します
- 医薬品の保管方法なども研究します



2024/8/24

第9回JCOG患者市民セミナー（入門編）

5

5

新しい医薬品ができるまで② ～臨床試験～

臨床試験（治験）（医薬品の本質をヒトで確かめる）

- ヒトにおける治療効果や副作用を確認します。
- ヒトにおける試験を一般に「**臨床試験**」といい、「くすりの候補」を用いて国の承認を得るための成績を集める臨床試験は、特に「**治験**」といいます。

（なお、これに対してヒト以外の**動物・細胞**における試験を「**非臨床試験**」といいます。）



- 有効性（くすりがかどうか）
 - 安全性（どんな副作用があるのか）
 - 薬物動態（体内でのくすりの動き）
- といったデータを収集します。

出典：厚生労働省「治験」ホームページより一部改変
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/chiken.html>

2024/8/24

第9回JCOG患者市民セミナー（入門編）

6

6

治験のルール

治験を行う製薬会社、病院、医師は「**医薬品医療機器等法**」というくすり全般に関する法律と、これに基づいて国が定めた「**GCP**」という規則を守らなければなりません。GCPは欧米諸国をはじめ国際的に認められています。

治験のルール

- 治験の内容をあらかじめ国に届け出ること（治験計画届出）
- 治験審査委員会で治験の内容をあらかじめ審査すること
- 同意が得られた患者さんのみを治験に参加させること（本人が困難な場合には代諾）
- 重大な副作用は国に報告すること
- 製薬会社は、治験が適正に行われていることを確認すること

GCPの二本柱

被験者の人権の保護
安全の保持
福祉の向上

治験の科学的な質
成績の信頼性



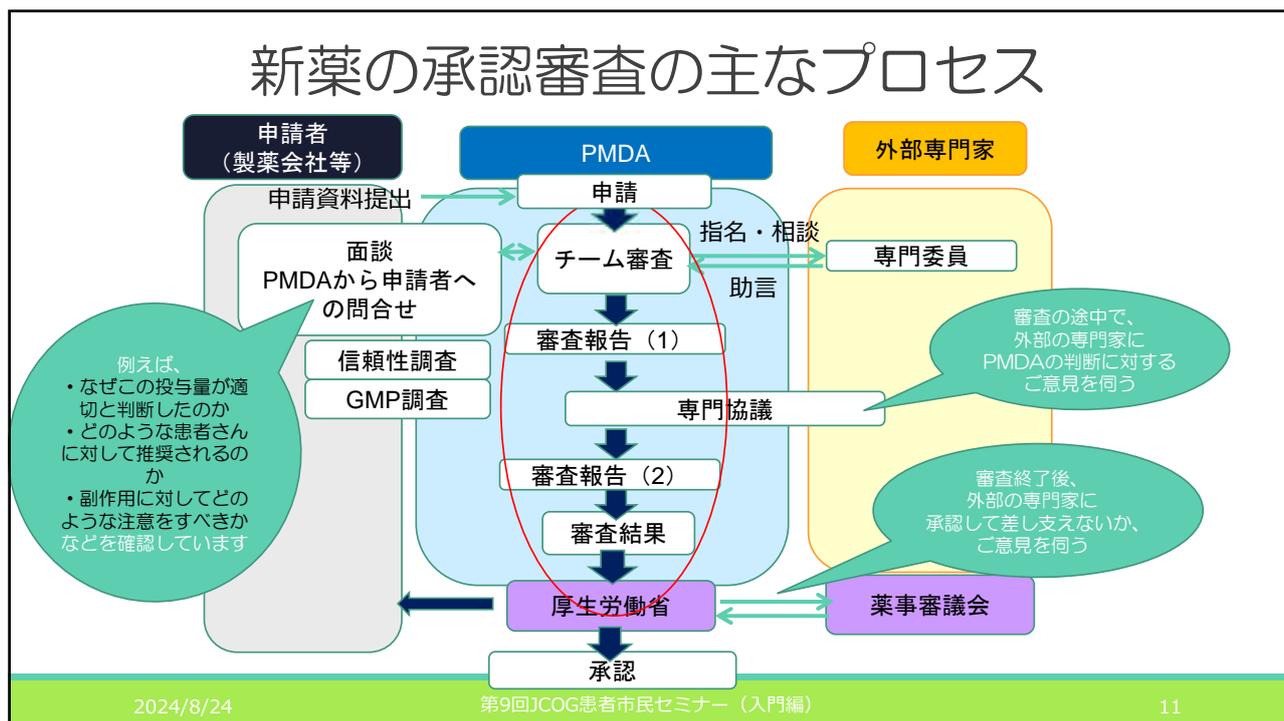
※**医薬品医療機器等法**：医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律
 ※**GCP**：医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（「Good Clinical Practice」の略）

出典：厚生労働省「治験」ホームページより一部改変
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/chiken.html>

新しい医薬品ができるまで③ ～医薬品の申請から承認、販売まで～

- 医薬品は、製薬企業等が様々な試験を実施し、品質、有効性及び安全性について問題がないか確認を行います。
- そして、その試験結果に基づき、厚生労働大臣へ承認申請を行い、品質、有効性及び安全性に問題がなければ承認され、医療現場等で使用できるようになります。





11

申請資料の主な内容

製薬会社等からPMDAに提出される新薬に関する資料

- 品質に関する資料 (くすりの性質、製造方法、品質を担保するための試験に関する資料)
- 非臨床試験 (くすりを動物・細胞に使用したときの結果)
 - ・薬理：くすりがどのように効くのか
 - ・毒性：どのような毒性があるのか
 - ・薬物動態：体内でのくすりの動き
- 臨床試験 (くすりをヒトに使用したときの結果)
 - ・有効性：くすりか効くか
 - ・安全性：許容できない副作用がないか
 - ・薬物動態：体内でのくすりの動き

2024/8/24 第9回JCOG患者市民セミナー (入門編) 12

12

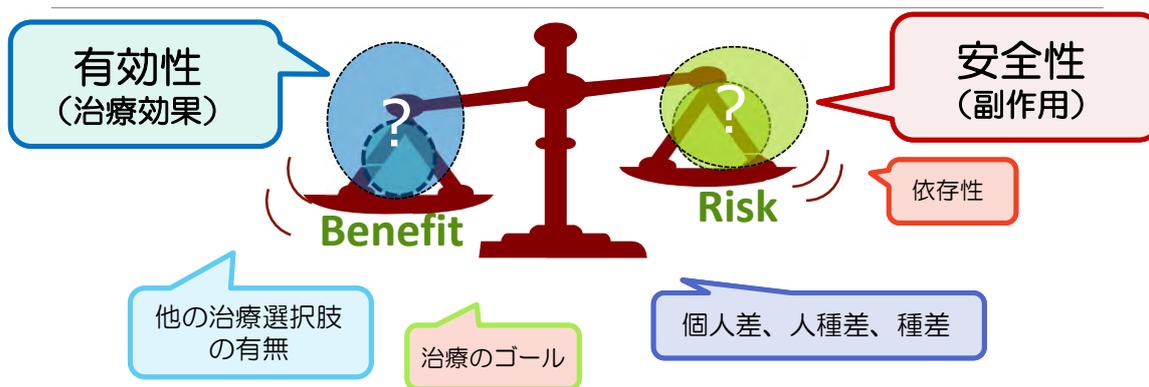
医薬品の審査

PMDAではデータは科学的に証明されているかという視点で

- 医薬品の評価に必要なデータに不足はないか
- 医薬品が効くことをきちんと説明できているか
- 医薬品を使うべき病気の範囲は適切か
- 医薬品の使い方や量は適切か
- 病気の治療薬としての意義があるか
- 期待される有効性が安全性を上回っているか
- 発売後の適正使用に必要な安全対策（添付文書等）は十分か

などを確認しています。

多要素間のバランス



ベネフィット・リスクのバランスが重要！！

信頼性保証業務

GCP実地調査、適合性書面調査とは・・・

提出された申請資料の内容が基準（※）に適合し、倫理的かつ科学的に信頼できるかどうかを調査する

※GCP及び医薬品医療機器法施行規則第43条信頼性の基準

信頼性のないデータだったら？

もし正しいデータが収集されていなかったら・・・



もし有害事象や副作用が適切に収集されていなかったら・・・



ヒトでの有効性及び安全性が評価できない！

GMP調査業務

GMP適合性調査とは・・・

医薬品を製造している製造所に対して、製造設備や製造管理手法がGMP（※）に適合し、適切な品質のものが製造される体制であるかどうかを調査する。

GMPは医薬品を承認するための要件！



※GMP：医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令（「Good Manufacturing Practice」の略）



PMDAウェブサイトでの情報



PMDAのHP のURL : <https://www.pmda.go.jp/>

- くすりの添付文書等の情報の検索の方法（以下①、②のいずれか）：
 - ① PMDAのHP → 「添付文書等検索」をクリック→ 「医療用医薬品」をクリック
 - ② 「<https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>」にアクセス

検索条件

医薬品の添付文書等を探す

一般名/販売名(医薬品の名前): オブジーボ(一般名及び販売名, 部分一致) /

検索結果 検索結果1件 / 全1ページ

表示する文書を変更 表示件数を選ぶ 10件

一般名	販売名	製造販売業者名	添付文書	患者向医薬品ガイド/ ワクナン取組を受ける人へのガイド	インタビューフォーム	RMP	RMP資料	医師従事者向け	患者向け	添付文書/ 添付文書等	添付文書/ 添付文書等
ニボルマブ(遺伝子組換え)	オブジーボ点滴静注20mg/オブジーボ点滴静注100mg/オブジーボ点滴静注120mg/オブジーボ点滴静注240mg	製造販売/小野薬品工業株式会社 プロモーション提携/アリストルマ イヤーズ スタッフ株式会社	PDF/2024年02月09日 / HTML / XML	PDF/2024年02月09日 / HTML / XML	F1. オブジーボ点滴静注20mg/オブジーボ点滴静注100mg/オブジーボ点滴静注120mg/オブジーボ点滴静注240mg	F1. オブジーボ点滴静注20mg/オブジーボ点滴静注100mg/オブジーボ点滴静注120mg/オブジーボ点滴静注240mg	患者向け 医師従事者向け	患者向け 医師従事者向け	オブジーボによる病気を疑う方へ	2023年11月24日医薬品審査1124第3号, 医薬安規1124第1号, 別紙1 2023年08月13日厚生安発0513第1号, 別紙2 2022年10月18日厚生安発1312第1号, 別紙1 2022年03月14日厚生安発0814第1号, 別紙2 2021年06月21日厚生安発0221第1号, 別紙1	審査報告書 審査報告書(2024年02月09日) 申請資料 審査報告書(2023年11月24日) 申請資料 審査報告書(2023年03月27日) 申請資料 審査報告書(2022年03月28日) 申請資料 審査報告書(2022年03月28日) 申請資料

添付文書

患者向医薬品ガイド

患者向け資料

情報提供 ~患者向医薬品ガイド~

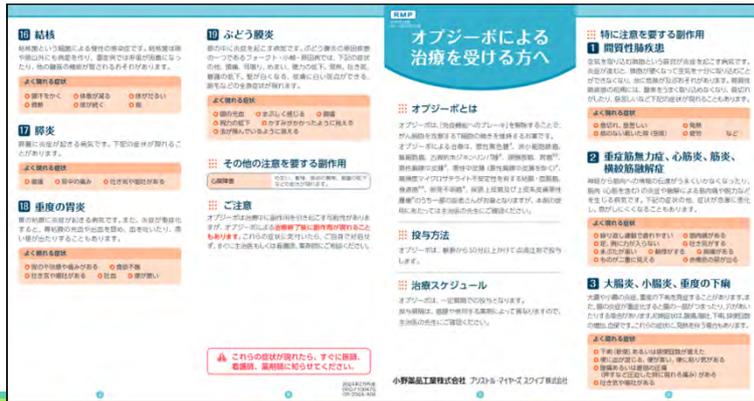
特に重篤な副作用があり、自覚症状で早期発見が期待できる医薬品を中心に、添付文書を基に患者さんやそのご家族向けのわかりやすい説明書を作成。



※作成が必要と判断される場合に製薬企業等が作成する

情報提供 ～患者向け資材～

くすりを使うときに特に注意が必要な内容（副作用等）について、患者さん向けのわかりやすい説明書を作成。



※作成が必要と判断される場合に製薬企業等が作成する

患者参画WG

● 患者参画検討WG発足（令和元年5月）

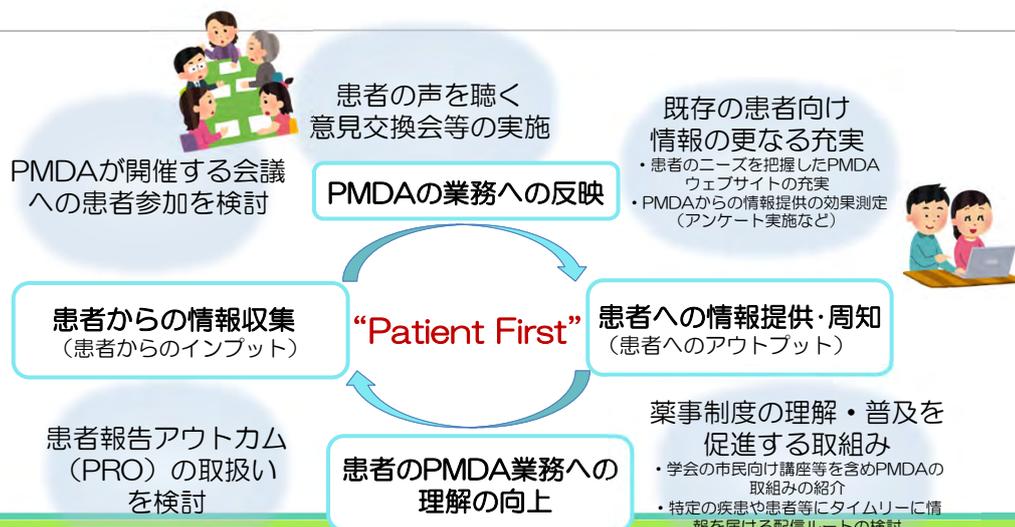
<目的> 医薬品の開発や安全対策について、患者さんの視点による課題をPMDAで共有し、患者とPMDAとで相互にコミュニケーションを図るためのPMDAの取組みを検討すること。

- ✓ 患者団体との意見交換のあり方の検討、意見交換会の実施
- ✓ 患者向け広報のあり方や窓口の設置のあり方の検討
- ✓ 患者参画ガイドランスの作成（令和3年9月）

患者団体との意見交換の一例
認定NPO法人ささえあい医療人権センター（COML）における意見交換



「PMDA患者参画ガイダンス」における取組み



2024/8/24

第9回JCOG患者市民セミナー (入門編)

23/3

23

健やかに生きる世界を、ともに、明日へつなぐ

私たち PMDA は、科学と情報を駆使する「知」の技術と、世界と未来を見据え、寄り添い、調和させる「人」の力、審査・安全・救済の「セイフティ・トライアングル」で、誰もが安心でき、一人ひとりが健やかに生き生きと輝く、そんな日常を支える“ライフ・プラットフォーム”として、ともに、「明日のあたりまえ」をつくり続けていきます。

PMDAのパーパス～私たちの存在意義～

2024/8/24

第9回JCOG患者市民セミナー (入門編)

24

24

ご清聴ありがとうございました。

