

特殊集団及び希少疾患における医薬品市販後安全対策に関する研究

東北大学大学院 弘田紗瑛子

背景

医薬品開発段階における有効性及び安全性評価には、次に挙げる限界があることが知られている；症例数が少ない、投薬期間が短い、投薬方法が単純、小児・高齢者が除外される、特殊な患者が除外される (Rogers. AS. 1987)。

上記の開発段階における評価の限界を補完するため、2004年11月、日米欧の3極により製造販売後の安全性監視に関するICH-E2Eガイドラインが合意された。当該ガイドラインの合意から約9年後の2013年4月、本邦においても医薬品リスク管理計画に関する通知が施行され、製造販売後の安全性監視及びリスク最小化計画を承認申請時に策定、提出することが義務付けられた。しかし、通知の施行より4年が経過した現在も、本邦における市販後安全性監視は比較対照群を持たない使用成績調査や市販直後調査等の画一的な研究デザインに強く依存しており、科学的根拠に基づく安全性・有効性のエビデンス構築に繋がっていない点が課題である。

近年、医療情報のIT化に伴い、疾患レジストリや医療データベースの市販後安全対策への応用について産官学で活発な議論が行われている。しかし、その多くは患者数が十分に存在する医薬品を想定したものであり、対象患者が少なく、かつ倫理面や個人情報保護の観点で特段の配慮が求められる特殊集団/希少疾患領域における医薬品市販後安全対策については、欧米等の諸外国を含めてほとんど議論されていない現状がある。

目的

特殊集団及び希少疾患に対する諸外国における医薬品市販後安全対策の実施状況を調査・整理し、本邦において実施可能な方策と方法論の検討を行う。

発表内容

1. 希少疾病用医薬品の日欧比較
2. 本邦における小児用医薬品の承認状況