

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 分野打合せ (2018年1月24日)

東北大学大学院 弘田紗瑛子

背景

希少疾病は患者数が少なく病態解明が困難、収益性に乏しい等の理由から医薬品開発が困難な領域と認識されている。オーファン指定制度の創設により、日米欧における希少疾病用医薬品承認件数は増加傾向にあり、開発促進の取り組みに一定の成果が認められてきた。一方、通常の医薬品に比べて希少疾病用医薬品の臨床試験は、少ない被験者数で単純なデザイン（非盲検、非対照、非ランダム化）の下に実施される傾向があり、承認申請段階での有効性・安全性評価は限定的である。承認後の継続的な情報収集と安全対策の重要性が複数の先行研究により言及されている。

医薬品市販後安全対策に関する重要な動きとして、2004年11月のICH-E2Eガイドラインの合意が挙げられる。この中で安全性検討事項及び安全性監視計画の策定手順について指針が示されたことを受け、欧州では2005年、日本では2013年よりリスク管理計画（RMP）を承認申請時に策定・提出することが義務付けられた。

近年、医療情報の電子化に伴い、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. 進捗報告（希少疾病用医薬品の日欧比較）
2. 次年度以降の研究の方向性について（小児を対象とした安全性シグナル検出）