

日時：9月6日（金）14時30分～16時

セッション名：“市販前市販後のリバランス”は有効に機能しているのか

【講演1】

演題名：審査における市販前市販後リバランスの考え方

内容：医療ニーズは高いが開発困難な医療機器について、医療現場への早期導入を目指し、市販前の負担を軽減し、市販後の調査をより充実させることで早期承認を行う制度が整備されてきた。条件付き早期承認制度では、有効な治療法等がない重篤な疾病の医療機器で、一定の臨床データがあるが新たな治験の実施が困難なものについて、市販後のリスク計画を適切に設計・実行することで早期承認を目指す。審査のあり方としてはレギュラトリーサイエンスに基づくリスクベネフィットバランスの最適化であり、リバランスでもその考え方は変わらない。限られた臨床データで市販後の安全性・有効性を確保するには、関連学会等が定める適正使用指針の設定が有用であるが、市販前のデータが少ない中で事前に市販後の最適化を計画することは困難であり、産学官連携や継続的な議論が重要となる。データを確認しながら、臨床現場における最適化に向けてチューニングすることが必要である。

【講演2】

演題名：企業の視点

内容：医療機器開発促進にあたっては様々な制度が整備されてきた。リバランスでは、市販前・市販後での一貫した安全性・有効性の確保を前提としている。市販後データ収集計画を早期に策定し、PMDAともディスカッションすることが重要である。リバランスは開発促進の有力なツールであるが、医療機器開発を俯瞰的に考える上で適正使用指針の再考など薬事戦略としてのリバランスの在り方とともに、保険上の評価の在り方とも連携して考えていく必要がある。

【講演3】

演題名：臨床現場の視点

内容：リバランスとは市販前と市販後に必要となる臨床成績の最適化である。医療機器についてFDAではTotal product life cycleが提唱されているが、米国と日本の仕組みは異なるため、日本の現場にあった仕組みを整備すべきである。実用化された医療機器等について臨床現場が感じていることを開発へフィードバックし、それを基に新たな医療機器を開発するサイクルをうまく回す必要があるが、市販前市販後のリバランスはこの改善サイクルを産官学で回すための大きな力となっていると考えられる。

【講演 4】

演題名：適正使用指針の現状調査報告

内容：本調査は令和 5 年厚生労働科学研究費補助金の医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業「医療機器の適正使用指針作成及び見直しの最適化に関する研究」において、事例が増えつつある適正使用指針の制定や活用の実態を可視化することで、今後の革新的な医療機器を速やかかつ安全に医療現場に導入するための考え方を整理する目的で実施された。これまでの調査では、適正使用指針の全体像を可視化するにあたり、公開資料から可能な限り多くの指針が含まれるようアプローチ方法を検討し、適正使用指針 96 件のリストを対象として記載項目を整理した。

【パネルディスカッション】

- ・ 早期承認制度について、PMDA 側は否定的ではなく、治験を継続的に実施して開発することが難しく、リアルワールドでデータを蓄積する方が様々なデータを収集できる場合もあるため、早期に一旦上市できる点で企業側としても非常に活用できる制度である。一方で、承認取り下げや不承認となった事例があり、正しく理解されていないためか一般では否定的な意見もあった。本制度によりいち早く患者様に製品を届けることができた点は良かったが、途中で制度を見直すタイミングがあるとより良かったのではと考えられる。制度をどう変えればうまくいくのか、検討していく必要がある。
- ・ 市販前市販後のリバランスを考えて開発された製品について臨床側としては、アンメットニーズはあるもののチャレンジングな治療であるという捉え方をされる患者様もおり、同意が得られなかったケースもある。安全性には問題ないが、有効性については疑問がある場合もあり、治験ではない中で、アカデミア側が協力していかに正確なデータを収集していくかという点に課題がある。
- ・ リバランス通知を活用した新規測定項目について、臨床現場からするといつ使えるかは不明なデータを収集しなければいけない状況となる。病院や患者様の持ち出しがあれば難しいが、一定の手間を要するだけであれば、医師のモチベーションがあれば乗り越えられ、学会とどのように共同できるかが重要となる。
- ・ 適正使用指針の作成について、以前は臨床現場が非協力的であったが、保険を連動させることができた一つの良い前例により考え方が変わっていった。限定したものをどのように広げていくか、適正使用指針を見直ししていく仕組み作りが必要である。
- ・ 外資系企業の場合、開発を進めるにはグローバルの了承を得る必要がある、その点に最も苦労する。治験は目的や仮説が明らかなため説明しやすいが、市販後調査は何を目的としているかを明確にグローバルへ説明しなければ理解してもらえないため、わかりやすく魅力的に説明できれば、日本への導入が期待できる。
- ・ 市販前市販後のリバランスは行政・アカデミア・企業の信頼関係の基に成立するため、どのように信頼関係を構築するかが重要である。米国と日本では様々な違いがあり、
- ・ 日本だからこそ可能な制度とも言え、日本ならではの強みとなり得るのではないかと。

以上