

## MIGA コラム「新・世界診断」

ヘルスイノベーションセミナー：「いま改めてレギュラトリーサイエンスを考える」  
(3回シリーズの第一回及び第二回についてのレポート)

大西 昭郎

武蔵野大学国際総合研究所客員研究員  
神奈川県立保健福祉大学  
ヘルスイノベーション研究科教授

ヘルスケア分野のイノベーション、技術評価や規制、保険などについての制度や政策が専門。東京大学工学部、ペンシルバニア大学ウォートンスクール（MBA）卒。通商産業省、マッキンゼー・アンド・カンパニー、経済協力開発機構（OECD）、通信・ITベンチャーの経営等を経て、2003年から日本メトロニック株式会社にて取締役副社長（～2012）。2011年から東京大学公共政策大学院特任教授、2016年からは客員教授（現任）。2012年から2013年にかけて内閣官房医療イノベーション推進室次長。2013年5月から株式会社ソラストの常務執行役員。2016年から2019年までは日本アビオメッド社の副社長として同社製品の承認取得、保険収載などの業務を担当。2019年からは神奈川県立保健福祉大学ヘルスイノベーション研究科教授（現任）として活動中。厚生労働省国立研究開発法人審議会委員ほか各種審議会委員。（独）科学技術振興機構センターオブイノベーションビジョナリーチチームメンバー、（一財）医薬品・医療機器レギュラトリーサイエンス財団評議員、なども務める。

## 開催概要

COVID-19の感染拡大とその流行制御をめぐっては、医療提供体制のあり方やワクチンの安定供給・接種体制の確立といった課題に直面したばかりでなく、正体の明らかではない未知の感染症という脅威に対して一日も早く有効な対処法を確立しなければならないというレギュラトリーサイエンス上の問いにあらためて直面することになりました。

レギュラトリーサイエンスとは、一般に薬事申請・承認、販売等に関する評価や規制のあり方をめぐる概念としてとらえられています。しかしながら、レギュラトリーサイエンスという概念は、必ずしも薬や医療機器・再生医療等製品に関する審査・承認に限定されるものではなく、未病やヘルスケアはもちろん、健康・医療とは全く異なる領域を含めて、製品やサービスに対する科学的な評価を要するあらゆる技術領域に適用可能な非常に広義の概念です。

神奈川県立保健福祉大学ヘルスイノベーション研究科（SHI）では、こうした広義のレギュラトリーサイエンスの概念についての理解を深めることを目的としたセミナーシリーズを公開講座として開催する運びとなりました。レギュラトリーサイエンスとは何か、いまなぜレギュラトリーサイエンスなのかという問いを出発点に、全4回のセミナーを通じてレギュラトリーサイエンスのエッセンスを俯瞰的に学修する機会を提供します。各回のセミナーでは、いまだ評価方法が確立していない萌芽的技術に基づく製品やサービスに対する評価や危機管理下のような

有効性・安全性の評価を十分に行うことが困難な状況下における承認のあり方、そして財政的なコントロール手段としての評価のあり方などをテーマとして取り扱います。

本セミナーシリーズを通じて、レギュラトリーサイエンスに関する多角的な理解を深めていただくことはもちろん、コロナ禍であらためて問われつつある科学的評価の意義とその重要性について再考する機会になれば幸いです。開催日程とシリーズ構成は下記のようになっている。

#### 開催日程：

第1回：2021年11月22日

第2回：2022年2月1日

第3回：2022年3月22日（予定）

#### シリーズ構成：

回次	テーマ
第1回	① RS とは ② 今なぜRSか、RSとELSIなど
第2回	危機管理下における評価としてのRS： 有効性・安全性の評価を十分に行うことが困難な状況下における承認のあり方
第3回	財政的なコントロールとしてのRS：（予定）

ここでは、まず第一回と第二回の議論の様子をレポートしたい。

#### I. 第一回の議事概要

まず、第一回のプログラムは下記の通りとなっている。以下ではプログラムに従って、レポートをまとめることとしたい

#### プログラム構成（第1回目）：

17:00～17:05 (5min)	<b>Opening Remarks</b> 鄭 雄一 神奈川県立保健福祉大学 副学長兼ヘルスイノベーション研究科長
17:05～17:35 (30min)	<b>Keynote 1</b> 岸本 充生 大阪大学社会技術共創研究センター長、同データビリティフロンティア機構教授
17:35～18:05 (30min)	<b>Keynote 2</b> 加納 信吾 東京大学大学院新領域創成科学研究科 教授

18:05～18:35 (30min)	<b>panel discussion</b> テーマ：「いま、あらためてRSを考える」(仮) モデレータ：大西 昭郎 神奈川県立保健福祉大学 ヘルスイノベーション研究科・教授 パネリスト：岸本 充生 加納 信吾 八代 嘉美 神奈川県立保健福祉大学 ヘルスイノベーション研究科・教授
18:35～18:40 (5min)	<b>Closing Remarks</b> 昌子 久仁子

## 1. 開会挨拶

まず、Opening Remarks では、鄭 雄一(神奈川県立保健福祉大学 副学長兼ヘルスイノベーション研究科長)から「このレギュラトリーサイエンスの発展に尽力した中心人物として、**Medical Excellence Japan** 理事長、前 PMDA 理事長の、近藤達也先生を挙げないわけにはまいりません。

近藤先生は、医学部卒業後、脳神経外科医の研鑽を積まれ、国立国際医療センター病院長などを経て、2008年にPMDA理事長に就任なさいました。そして、1987年に前国立衛生試験所長内山充博士が概念を提唱したレギュラトリーサイエンスを推進、実践してこられました。

特に、RSのRを、「規制でなく調和と認識すべき」と強調され、基礎科学・応用科学の思考を軸に、行政科学・評価科学を調和させてしていく科学と捉えられました。」と昨年急逝された近藤先生の業績に触れられ、「先生が、急逝されましたことは残念でありませんが、先生の掲げた理念を継承発展させて、将来に向けて邁進したいと存じます。」と結ばれて、議論が始まることとなった。

## 2. Keynote 1 岸本 充生 大阪大学社会技術共創研究センター長、同データビリティフロンティア機構教授のご報告

大阪大学データビリティフロンティア機構の岸本充生教授であり、リスク学や社会経済分析を専門とされている。なぜレギュラトリーサイエンスが必要になり、これからのレギュラトリーサイエンスはどのような位置づけであるべきか——、映画『シン・ゴジラ』やコロナ対策を例に挙げつつ、わかりやすく話してくださった。

### (1) 「映画『シン・ゴジラ』に見る科学と政策の相性の悪さ」

「新規技術は社会課題を解決するために社会実装されるわけですが、その過程では、安全性の問題やセキュリティの問題、そしてELSI(エルシー：倫理的・法的・社会的な課題)と、さまざまな問題に直面します。そこでルール(政策)が必要となりますが、政策は科学だけで決まることはほぼないこ

と。そして、むしろ、『**新しいものに対応するときには科学と政策は非常に相性が悪い**』と岸本先生は指摘された。』。

そのわかりやすい例として紹介したのが、映画『シン・ゴジラ』でのある場面だったわけである。東京湾に表れた巨大生物について対策を練るために緊急会議が開かれた際、「あの映像だけでは判別できません」「新種の生物としか言えない」などと言わない学者たちに対して、「役に立たない」と政治家側があきれるといふもの。

それに対し、岸本先生は「科学はわからないときには『わからない』と言い、政策は不確実な下でも何らかの意思決定を迫られる。その**間をつなぐ人、つなぎ方を研究する人が必要**」と言い、その「つなぎ方の研究」の中心となるのがレギュラトリーサイエンスだ」と説明された。

(2) 「日本のコロナ対策で欠如していたレギュラトリーサイエンスの考え方とは」

「『**政策によって問われた問いに、時間的・予算的制約の下で何らかの答えを出すために必要なエビデンスを生み出す、新しい科学的活動**』と、レギュラトリーサイエンスについて定義をした上で、「科学と政策の間を科学の側からできる限りうめていく活動」であり、「**答えを出すというより、意思決定のための必要なエビデンスを揃える**」ことがメイン」と話された。

そして、新型コロナ対策においても、「『**もっとレギュラトリーサイエンスが強調されるべきだった**』と、次のように訴えられた。

「日本では『**何もしなかったらどうなるのか**』という狭い意味でのリスク評価しかされませんでした。本来必要なのは、ロックダウン、緊急事態宣言、一斉休校などさまざまなリスク管理オプションを列挙し、それぞれごとにどんな影響があるのかを、感染への影響だけではなく、経済面、文化面、精神面、教育面と多面的に評価すること。そして、それをもとに政治家がリスク管理措置を決め、国民に根拠を説明し、かつ、影響が妥当だったかを評価することです。こうしたレギュラトリーサイエンスの考え方自体が社会全体に広がるべきなのです」と。説得力ある提言だった。

(3) 次の話題は「“取扱説明書”も含めて技術開発である」というテーマ。

講演の後半では、「(レギュラトリーサイエンスは) 生きた学問なのに、一旦できるとマニュアル化して使われてしまう」と、問題点を指摘。コロナ対策においても、「2メートル」というソーシャルディスタンスなど、さまざまな基準が見直されることなく使われてきました。

マニュアル化され、それが業務になり、別な課題に対しても適応されると、「**実際の課題とレギュラトリーサイエンスが合わなくなり、イノベーションを阻害するものになってしまうという問題を提起された。イノベーションを促進するには、レギュラトリーサイエンスが生きた学問として課題の解決になっているのか**」を常に問う必要があります」と、岸本先生の議論は続く。

また、新規技術を社会実装するにあたって、「その技術について一番知っているのは開発者自身であるので、社会でルールが決まるのを待っていたら実用化が遅くなってしまいます。これからの技術開発

は、その“取扱説明書＝レギュラトリーサイエンス”も含めてなされるべきです」と強調し、議論を締めくくられた。

### 3、Keynote 2 東京大学大学院新領域創成科学研究科 教授のご報告「ルール組成のイニシアティブ競争と日本の課第

続いて登壇したのが、東京大学大学院新領域創生科学研究科の加納信吾先生教授。加納先生は、ルール作りのプロセスを「外部環境要因＝コントロールできないもの」と捉えるのではなく、「企業のマネジメントの対象」と主張され、そのためにはまず「ルール組成において日本はどんなステータスをめざすのか」という目標設定を共有することからはじめるべきではないか、と問いかけられた。

(1)、まず掲げられた話題は「果たしてルールは“外部環境”か？」という問い。

加納先生は講演の冒頭、「レギュレーションを民主化しなければいけない」と提案され、ビジネススクールなどで「ルールは外部環境要因であって、変動できないファクター」とされていることに対して「果たしてそうなのか？」と疑問を投げかけられた。

そして、ルールをつくりながら事業開発を行っている一つの例として「再生医療イノベーションフォーラム」を提示。**ルールとビジネスを同時に作ることで社会が変わると、「（ルール作りも）企業のマネジメントの対象なんだと理解してほしい」と強調された。**

ただ、そこで問題になるのがルール作りに携われる人材の育成と、強調された。「規制がわかって、標準がわかって、全体が見えている人は業界で数人しかいない」と、加納先生。その人材育成を行うにあたって、まずは「先端技術に対するルール作りにおいて、『日本がどういう国をめざすのか』、目標を共有することからスタートすべきではないか」と指摘された。

(2)、次に掲げられたのは「目標設定で考えるべき3要素」というテーマ。

その目標設定において、加納先生は、“三大不確定パラメーター”として「ポジション」「アンブレラ」「インセンティブ」の3つを挙げられた。ポジションとは、先端技術に対するルール整備の相対的ポジションのことで、つまりはどこの国がいち早くルールを作ってくれるのかということ。アンブレラは、作ったルールに対してフォロワーがどのくらいいるのか、そしてインセンティブは、サービスの価格設定になるとのこと。

当然、イニシアティブがあって同調マーケットも大きく、価格もアメリカのように高く設定できるのが一番美しいマーケットであり、逆に、もっとも避けたいのは、後出しでルールをつくり、しかもローカルルールで、インセンティブもないというものです。「その間ぐらいを日本は目指してはどうか？」と、加納先生は提案された。

つまり、「自分たちの得意な技術については最初に自分たちがルールをつくり、それがローカルルールになるのではなくちゃんとフォロワーがいて、価格設定もある程度想定できる」ことを目標設定として掲げてはどうか、と提案します。

(3)、次のテーマは「なぜ世界に対してイニシアティブを発揮できないのか」という話題

では、そうした目標に対し、日本が“欠けている部分”とはどういうところなのか。加納先生は、「レギュラトリーサイエンスを『技術動向を予測してルールを作って、運用して、ルールを改定するところまでのトータルプロセス』と定義した上で、『一つには初動のデザインが重たい』と指摘され、そして、先端技術ができるときにどの段階でレギュレーターが関わるのか、そしてそこにメーカーがどう関与するのかが大事である。」と指摘された。

さらに、「ルール組成においてイニシアティブを発揮できない理由として、コミュニケーションの手段としての英語スキルに加えて挙げるのが、『イマジネーション』と『成功体験』であるが、**その技術が実現した先に広がっている世界をイメージできるか、そして、ルール組成にかかわることで自分たちのアドバンテージが変わったという成功体験をもてるか。**

こうしたことをクリアして『“イニシアティブ不全症候群”を解消できるか』どうかと、『目標設定をどうするのか（日本の独自性を発揮するのか、受け身なのか）』の2つによって日本の未来は変わると説明し、『得意技術におけるルール組成はイニシアティブを発揮する』というゴール設定についてまずは議論をしませんか、と改めて参加者に問いかけを行った。

#### 4、パネルディスカッション 「いま、あらためてレギュラトリーサイエンスを考える」

セミナーの最後に、ヘルスイノベーション研究科教授の大西昭郎の進行のもと、岸本先生、加納先生、そしてヘルスイノベーション研究科教授の八代嘉美の3名によるパネルディスカッションが行われた。その一部をご紹介します。

**(1) 今後のレギュラトリーサイエンスの課題についてお聞きしたい。世の中にとってより良い方向にもっていくためには何が必要だと思われませんか？**

岸本先生：学部生など、早い段階から「ルールは与えられるものではなく作るものだ」という体験を行うことを伝えることでしょうか。私は学生たちに、「ルールを作ってみましょう」というグループワークを行うことがあります。たとえば「何歳から飲酒していいか」をゼロベースで考えてもらう。ルールを作るにはどんなデータを集めるべきかというところから始めて、最終的にどうやって基準値が作られているのかを種明かしするのですが、多くの場合、学生のほうがいいアイデアを出します。ルールを疑うというか、こうやって作られるのかと腑に落ちるといった経験をもつことが大事なかなと思うことがしばしばである。

八代先生：規制がどうできているのか、安心と安全はどう違うのかをちゃんと言語化できる人材が大事だろう。今、レギュラトリーサイエンスを体系的に学べる場所は少なく、薬学部ぐらいではないか。工学部などにも広げ、育てる環境を作っていかなければいけないのではないかと思う。

加納先生：メーカーにいる方は入社して5年はラーニングの時期に相当する。一通り仕事ができるようになり、研究開発も経てルールメイキングに関わる立場になるときに大学院がトレーニングする機会を与えてくれるといいと思う。リカレント教育の一環でルールメイキングのトレーニングを積んだ人が、ISOの会に出たり、開発ガイドラインのワーキンググループに参加したりする。企業の中では育てられないので、大学に期待している。

## **(2) 参加者からの質問です。コロナ禍で露呈した、日本における研究で、レギュラトリーサイエンスの利点と欠点はどんなところがあるのでしょうか？**

八代先生：一般の方は薬事のルールを知らないんだなと痛感した。非合理的な形で非承認薬に対する信仰を生んでしまったな、と思う。レギュラトリーサイエンスというよりは社会科学的な問題かもしれないが、科学をベースとしたものの考え方の重要性をもっと一般の人たちにも語っていくべきかな、と感じた。

加納先生：アメリカでは、Pandemic and All-Hazards Preparedness Act というものがあり、これが全権を掌握するというルールがある。SARS以降、危機管理をすべて仕切り直した。一方で日本は、危機管理のフレームがないからリスク管理ができない状態にある。ロックダウンなどができないのは、危機管理のフレームワークがないから。下位概念でリスク管理だけを語るのはナンセンスだと思う。

岸本先生：危機管理の体制は、東日本大震災後に議論されたものの、何も変わりませんでした。そうしたつけがきたと言えるのではないのでしょうか。ワクチンの承認なども含め、今回のコロナは、レギュラトリーサイエンスの欠如がさまざまな点で露呈した問題だったなと思いました。

このコロナ禍の対応については、2月に予定している第2回の公開講座でも取り扱います。次回は、「危機管理下における評価としてのレギュラトリーサイエンス 有効性・安全性の評価を十分に行うことが困難な状況下における承認のあり方」をテーマに開催する予定。

## **5. 参加者の情報など**

ヘルスイノベーションに関心のある製薬、医療機器、再生医療関連企業、ヘルスケア企業、ライフサイエンスベンチャー、行政機関、大学や研究機関における研究者等に各種メディアを通じて参加を呼び掛けたところ、約70名の参加を得た。外部の参加はオンラインを通じて行われている。

次回の会合は、2022年2月1日に行われているが、本会合のクロージングでは改めてのアナウンスが行われる旨の連絡が伝えられている。

## II 第二回の議事概要

続いてここでは第二回の議論の様子をレポートする。第二回のプログラムは下記の通りとなっている。第一回同様、以下ではプログラムに従って、レポートをまとめることとする。

### 1, 開会挨拶 (省略)

### 2、第2回概要 開催日時 2月1日(火) 17:30~19:10

第2回のテーマは「危機管理下における評価としてのレギュラトリーサイエンスのあり方」であった。COVID-19の流行当初には、日本発の国産治療薬として期待が寄せられたアビガンの承認のあり方をめぐり様々な論争が交わされたほか、その後のワクチンの国内供給にあたっては既に国外で承認されているワクチンについてあらためて国内臨床試験(第III相試験)まで行う必要があるのかがひとつの争点となりました。

これらに共通するのは、危機管理下という有事においてどこまで科学的エビデンスのレベルを引き下げることが許容されるのか、あるいは許容されないのかという問いです。第2回の公開講座では、スピーカーによる基調講演を踏まえつつ、パネルディスカッションを通じて有効性・安全性の評価を十分に行うことが困難な状況下における承認のあり方について掘り下げていきます。

プログラム構成(第2回目) 17:30~17:35 (5min)	<b>Opening Remarks</b> 昌子 久仁子 神奈川県立保健福祉大学ヘルスイノベーション研究科 副研究科長 教授
17:35~18:05 (30min)	<b>Keynote 1</b> 一般社団法人 CSR プロジェクト代表理事 社会福祉士・精神保健福祉士・技術士 桜井 なおみさん 「患者の観点から危機管理下の承認を考える」
18:05~18:35 (30min)	<b>Keynote 2</b> 江崎 禎英 社会政策課題研究所 所長、岐阜大学 学長特別参与 客員教授、藤田医科大学 教授(イノベーション支援担当) 「迅速な承認に向けた制度設計とその課題」
18:35~19:05 (30min)	<b>panel discussion</b> テーマ:「危機管理下における評価としてのRSのあり方」(仮)



	<p>モデレータ：黒河 昭雄 神奈川県立保健福祉大学イノベーション政策研究センター研究員（シニアマネージャー）</p> <p>パネリスト：桜井 なおみ 江崎 禎英 加納 信吾 東京大学大学院新領域創成科学研究科 教授</p> <p><b>Q&amp;A</b></p>
19:05～19:10 (5min)	<p><b>Closing Remarks</b></p> <p>大西 昭郎 神奈川県立保健福祉大学ヘルスイノベーション研究科 教授</p>

## 1. 議事概要

2月1日、第2回目となるレギュラトリーサイエンス公開講座「いま、あらためてレギュラトリーサイエンスを考える」をオンラインで行われた。今回のテーマは、「危機管理下における評価としてのレギュラトリーサイエンスのあり方」である。

今回のコロナ禍では、医療体制の整備や、治療薬やワクチンの承認などを巡って、危機発生時のレギュラトリーサイエンスのあり方が改めて問われることとなった。

危機管理下という有事において、どこまでエビデンスを求め、何を譲り、何を譲らないのか——。以下では、2つの講演とパネルディスカッションの内容をお届けする。

## 2. Keynote 1

「患者の観点から危機管理下の承認を考える」

一般社団法人 CSR プロジェクト代表理事

社会福祉士・精神保健福祉士・技術士

桜井なおみさん

医薬品医療機器総合機構（PMDA）理事長としてレギュラトリーサイエンスを推進してきた故・近藤達也氏とともに、PPI（Patient and Public Involvement = 患者・市民参画）JAPAN を立ち上げた桜井なおみさん。乳がんのサバイバーであり、がん患者の就労問題に取り組む CSR プロジェクトの代表理事を務める桜井さんは、創薬のプロセスに対して、がん患者、患者会がどのような目線で捉えているのか、海外の動向も交えながら紹介してくださった。

(1)、まず触れられた話題は「がん対策基本法成立を後押しした“患者の視点”」。

がん対策基本法が成立したのが2006年6月のこと。そして桜井さん自身ががんの診断を受けたのが、その少し前の2004年だったとのこと。もともと町づくりに携わっていた桜井さんは、ピシッと

た法律体系に基づいて仕事を行うのが当たり前だったため、「2人に1人ががんになるのに、マスタープランがないんだ!？」と驚いたと話された。

当時、問題となっていたのは医療の均てん化や、ドラッグラグ、がん難民など。こうした課題を解決するために法律をつくり、予算を設けることがめざされていたなか、最終的に成立に向けて後押ししたのが、自身もがん患者であり、がん対策基本法成立の翌年に亡くなった山本孝史参院議員の「救える命を救うのが政治家の役割だ」との演説だった、と桜井さんは振り返る。

一方、創薬のプロセスに患者の声、国民の声が反映されるようになった最初のきっかけはというと、「がんではなく、HIV」だった。HIVの薬が登場した頃、「ACT UP (AIDS Coalition to Unleash Power)」という団体が、命を救う薬をいかに必要な人に届けるか、薬の値段をどうするかといった議論を真剣に行った、それが初めてだったと紹介された。

(2)、次の話題は「創薬に患者の声を取り入れている欧米、遅れている日本」

現在、アメリカのFDAでは、「がんから難病から希少疾患からいろいろなグループが入って、『どんな創薬が必要なのか』というところから話し合いに参加し、『患者の声はなるべく早い段階から入れて、どんな治療薬が必要なのか、一緒に考えていくべきだ』というガイドラインもできている」と、桜井さんは説いた。また、「アメリカの学会に参加すると、『FDAと語り合おう』というセッションがあり、薬の承認の制度や特定の薬の承認プロセスが本当に適切だったかをディスカッションする場がある」とのお話があった。

また、「イギリスでは、1999年に医薬品や医療機器などの費用対効果を評価する『NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence、国立保健医療研究所)』という評価機関が設立されてから、『デザインの段階、承認の段階から、患者の声をしっかり入れていこうというプロセスができていく』とのこと。そして、「その場で患者は、患者でありタックス・ペイヤーであり、医療消費者なんだという位置づけで発言しています」と、桜井さん。「さらに最近では、『ケアギバー (介護者)』の声を取り入れる動きもはじまっている」とのこと。

一方、日本はというと、「臨床試験の被験者として、または市販後管理の部分での参加が主流」な状態で、「欧米と違ってまだまだ進んでいない」と指摘された。

そのなかで、AMED (国立研究開発法人日本医療研究開発機構)では「『患者・市民参画 (PPI) ガイドブック』ができ、PMDAでも患者参画検討ワーキンググループができて、患者参画ガイダンスが出された」とのこと。桜井さんは、「ようやく仕組みができ、患者さんに対して透明性をもって語られる環境が少しずつ整いつつある」と期待を寄せられた。

(3)、続いての話題は「新型コロナを、『創薬とは何か』との観点から社会全体で考え直すきっかけに」

「患者は、薬の痛みも良さも両方知っている」と話す桜井さんは、「新しい薬はほしい。けれど、益と害を天秤にかけて自分たちでチョイスしたい」と患者さんの心理を述べ、さらに、桜井さんも参加した日本乳癌学会の班研究で1,558人にアンケートを行った結果を紹介された。

アンケートでは、「あなたは治療を受ける際に、『治療効果』『副作用』『費用・利便性』、3つ以外について、全体を『10』としたときにどのくらいの重みづけをして、その治療を受けるか否かを判断しますか」と質問。「患者さんの答えの平均は、治療効果が6.34、副作用が2.17、費用／利便性が1.27、その他が0.35という結果だった」とのこと。つまり、治療効果のみではなく、患者さんは冷静に物事を見ているのであると話された。

ただ一方で、今回のコロナ禍のような“急性期”のときには、「藁にもすがるような気持ちになって、害のほうが見えなくなるときもある」とも語られ、「今回の新型コロナは、『創薬とは何か』を議論する良い題材と話され、改めて、承認の仕組みも含めてフラットな場所で議論ができれば」と結論され、お話を締めくくられた。

## 2, Keynote 2

「迅速な承認に向けた制度設計——再生医療関連法制のケースから」  
社会政策課題研究所所長 岐阜大学 学長特別参与 客員教授、藤田医科大学 教授（イノベーション支援担当）江崎禎英（えざき・よしひで）先生

続いて登壇したのは、経済産業省時代に再生医療の法整備に尽力した、社会政策課題研究所所長の江崎禎英先生です。江崎先生は、「患者さんにとっては常に“危機”であり、危機の最中には害が見えなくなってしまいやすい」と指摘される。そうしたことを踏まえつつ、どのようにルールを作り、議論を行っていくべきか、再生医療の実用化に向けた法整備の経験をもとに、話してくださった。

(1)、まずは、「日本製ワクチンの承認の遅れも根っこは同じ」という話題。

再生医療の登場は、当然、大きな期待とともに迎えられたが、一方で、当時、問題だったのが「薬事法のなかで、ときに医薬品、ときに医療機器として扱われ、全体としての整合性に欠けていた」とこと、江崎さんは振り返られた。

また、欧米や韓国では、より迅速に対応するために、「条件付き承認」という形で、再生医療の性質を踏まえた取り組みが始まっていた一方、日本では一切そうしたことはなく、遅れを取っていました。「残念ですが、日本製のワクチンがなかなか承認されないことも、根っこは変わりません」と、指摘された。

2012年4月に経産省生物化学産業課長に就任し、再生医療の法整備を託された江崎さんは、「再生医療という性質の違うものに、違うルールを適用すること自体がおかしい。再生医療を実用化するには、根本的な見直しが必要だ」と訴えました。そうして、「医療イノベーション5か年戦略」が策定され、その先に薬機法が生まれたのです。

(2) 続いてのテーマは「有効性と安全性はセットではない」との件

再生医療の実用化に向けた議論で江崎さんらが重視したのが、「まずは『医薬品とは異なる、再生医療の特性を踏まえた規制の仕組みにする』こと。そのうえで『安全性を十分に配慮しつつ、必要な仕組みを考えよう』」と話し合ったとのこと。つまり、「安全性は譲らない」ことを第一に置いたとのことであった。

そして、既存の治療行為や制度との相関のなかで「『再生医療とはどういう位置づけにあるのか』を明確にしたうえで、できたルールが、従来の承認のプロセスにはなかった『条件・期限付きの承認制度』だった。つまり、フェーズ3をスキップし、市販後のフェーズ4にその役割を委ねることになった」とのことだ。

「ポイントは、有効性は推定で、その代わり安全性は確認するとしたこと。よく有効性と安全性はセットで議論されますが、そうではない」と江崎さんは話された。

(3)、続いては、「レギュラトリーサイエンスとは、『見直し続けるもの』である」とのテーマ

当時、医療機関では「自由診療として細胞の培養・加工が行われていたにもかかわらず、医療機関外では薬事法の規制の対象となっていました。『レギュラトリーサイエンスと言いながら、同じことに違うルールが適応されていた』」と、江崎さんは指摘する。「その状況を見直し、レギュラトリーサイエンスをもう一回考え直していった結果、薬事法を改めることになったわけですが、当然、容易な議論ではない」と話される。

最終的に拠り所となったのは「安全性は譲らないことと、いかに患者さんに早く届けるかという思い」だったそうである。

結果として、「薬事法から薬機法に変わり、医薬品、医療機器とは別に『再生医療等製品』という新たな枠組みができた。しかし、これで完成しているわけではありません」と江崎さんは言います。

そして、「柔軟に見直し続けることの必要性」を次のように指摘しました。

「レギュラトリーサイエンスはカチッとしたものというイメージがありますが、いろいろな状況、疾患の性質に応じて柔軟に見直さなければいけません。一つのことを評価の対象としていいのか、さまざまなファクターが絡むときにどう見るのか。薬が持っている効果と、患者自身の対応によっても求められる安全性その他は変わるでしょう。あるべきレギュラトリーサイエンスの形について、これからも議論を深めていく必要があると思います」と締めくくられた。

#### 4. パネルディスカッション

「危機管理下における評価としてのレギュラトリーサイエンスのあり方」

今回の新型コロナウイルス感染症の流行では、治療薬やワクチンの承認を巡ってさまざまな意見が出ました。今まさに危機が迫っているなかで、どこまで有効性・安全性のエビデンスを求めるべきなのか――。

セミナー最後のパネルディスカッションでは、神奈川県立保健福祉大学イノベーション政策研究センター・黒河昭雄研究員の進行のもと、桜井さんと江崎さん、そして前回のセミナーで講演を行った東京大学大学院新領域創成科学研究科の加納信吾教授がパネリストとして登壇し、パネルディスカッションが行われました。ここでは、その一部をご紹介します。

**――科学的エビデンスが明らかではない状況下においても、早期の治療やワクチン接種の実現に向けて特例的に早期の承認を行うべきでしょうか？ そして、有効性・安全性をめぐる科学的エビデンスの基準を下げるべきでしょうか？**

**桜井さん** 「『エンドポイントは何なのか』を考える必要があると思います。たとえば、（10年生存率が指標とされる）乳がんでは、20年前の治療結果がいまだに学会で報告されます。そこで、ICTを使って走りながら見ていくようなことが必要ではないでしょうか。PRO（Patient Reported Outcome、患者報告アウトカム）も含め、総合的に評価していく必要があると思います」と話された。

**江崎さん** 「問いでは有効性と安全性が並列になっていますが、それは違います。まず安全性を譲らないこと。その上で『有効性をどこまで証明するか』を考えるべきです。今回のコロナ禍で注目されたアビガンの場合、動物実験で催奇形性があるとわかっているので、やっぱり若い人には使えません」とのこと。

「そのように、まずは安全性と有効性を分けて、さらに安全性についても『どういう人が安全で、どういう人が安全ではないのか』を明らかにしたうえで、使う・使わないという議論をしていく必要があります」と話された。

**加納さん** 「評価方法を更新することにちゃんとお金と関心を払いましょう、それが私の意見です。ワクチンもアメリカはいち早く承認しましたが、それは、アメリカが2004年からずっとワクチンの安全性・有効性の評価方法を更新し続け、準備してきたから。少数のサンプルで評価するときにはどうするかなど、評価方法を更新することに対する政策誘導をしっかりやってきたわけです。今ある評価方法で勝負するのではなく、常に評価方法を新しくしていくこと、それは厚労省の問題でしょう」とのご指摘。

**――危機管理下における迅速な承認のあり方は、平時の考え方とは違うのでしょうか？ 違うとすると、どういう違いがあるとお考えですか？**

**桜井さん** 「今回のコロナ禍でも、安定供給という面から滞ってしまっている薬剤が複数あります。これも大きなリスクだと思います。こうしたリスク管理の目線からも薬の供給や承認を考え、急事の際のシナリオを事前に用意しておくべきではないでしょうか」と問いかけられた。

**江崎さん** 「日本には医師法と薬機法という異なる法律が併存しています。医師法は『最後の責任は医者が取りなさい』という法体系で、薬機法は薬と製薬企業が全責任を取る法体系です。本当に緊急事態の場合には、お医者さんに判断してもらえばいいでしょう。ただ、今日の議論は、『薬機法のなかでレギュラトリーサイエンスをどこまで柔軟に対応できるのか』です」と話され、医師法についてもスコープに入れることを指摘された。

「一つ大事なことは、評価方法を常に見直すことができるかどうか。常に見直し、常に変えていく柔軟性を取り入れられるかどうか、レギュラトリーサイエンスが本格化するかどうかにつながると考えています」と締めくくられた。

**加納さん** 「緊急承認するにはいくつかの型があり、アメリカのFDAでは、『Accelerated Approval（迅速承認）』『Fast Track（ファスト・トラック）』『Breakthrough Therapy（ブレイクスルー・セラピー）』『Priority Review（優先審査）』の4種類があります。承認を早くする方法も類型化し、そのなかの選択肢としてこの手段を使いますという形にしておけば、PMDAの担当者も動きやすいでしょう」と指摘された。

「つまり、医療における危機管理法制の一つとして、薬機法内で早く承認する方法を予め類型化し、どういう場合に何をしたいのかを決めておくといいのではないのでしょうか」との問いかけで締めくくられた。

——今後、今ある評価技術では評価できない新しい製品、あるいは、既存の製品群のなかにならなくなってきた全く違う性能や効果をもつものが登場したときに、どういうふうに評価していけばいいのでしょうか。

**桜井さん** 「『Value Flower』について、一つひとつしっかり議論し、花を咲かせていく。そして、どのValueをとるのか、しっかり議論することが大切だと思います」と答えられた。

**江崎さん** 「リスクを下げる方法を同時並行的に考える必要があると思います。たとえば、同じ薬でも患者側の体調の管理でリスクは変わってきます。どんな人にも共通一定の統計的優位性を求めると厳しくなり、『この人には、こうすれば有効』というものがあっても薬機法がはじいてしまうことがあります。ですから、複雑系になってくるので、AIなどの活用が重要になると思います」と話された。

**加納さん** 「新しい製品ができたときに薬機法だけで勝負すると、ほんの少しでもプロトコルを変えるとやり直しになるので厳しいでしょう。最適化するまでは医師法の世界で進めて、ある程度まで完成したら薬機法に移す。改善していいパスとフィックスしなければいけないパスをうまく使い分けることが大事だと思います」と括られた。

## 5, Closing Remarks

締めくくりとして、大西昭郎 神奈川県立保健福祉大学ヘルスイノベーション研究科 教授の挨拶があった。

「第三回となる次回は、3月22日に開催する予定であること、そして、テーマとしては、レギュレーションの視点と財政的なコントロールをどうするかという視点から、レギュラトリーサイエンスを議論することを考えていること」、との概要が紹介された。具体的な日程や登壇者については、「調整などを経てお伝えすることになる」、とのコメントがあった。