

## 巻頭言

本号では、「デジタル・ヘルス時代の医薬品開発と医療イノベーション」「アカデミア発シーズ開発・臨床研究法の現状と展望」の二つの特集、関連する翻訳資料などを収載した。冒頭座談会は、本誌編集長の提案で同窓生鼎談を企画した。そこでは石井威望先生、高久史麿先生にご協力をいただき、「同窓生対象コホート研究」というアイデアを起点に、ウェアラブルデバイスの生成するリアルワールド・エビデンスが導く健康長寿社会の展望が語られた。続く鎌谷直之先生のインタビューでは、人工知能（AI）の技術革新と医薬品開発産業の直面する課題、発明・発見の原理から個別化医療への実用化など、データサイエンスと医薬品開発の将来展望をお聴きした。

続く4つの論説は、「RWD・デジタルヘルス利活用における医薬品産業の未来」をテーマに本年（2019年）1月「臨床研究リスク管理研究会」が開催したセミナーの、講師・企画者によるものである。これらの企画は、まったく異なる動機付けから、異なる提案者により発案され、実現したものであったが、ここに結集して、この数年急展開している「ビッグデータ」「リアルワールドデータ」を医薬品開発・薬事申請に活用していく戦略をめぐる議論がまとめて収載された。

その背景に、Internet of Things (IoT) などの情報コミュニケーション技術の革新があり、さらに、ICH-E8（臨床試験の一般指針）の改訂作業があり、上記セミナーではこの作業部会メンバーからの報告もあった。同指針案については折しもこの5月に意見募集が開始された（募集期間は9月17日まで）。同指針初版は1998年に作成され、臨床試験の開発相や、各段階における試験の種類ごとの原則的事項、そこから得られる知識について解説したものである。約20年を経て、基本原則は変わらないまま、典型的な試験の種類・段階による開発戦略に限らない、様々なフレキシブルな研究デザイン・開発ステップが現実のものとなってきている。同文書では「クオリティ・バイ・デザイン」の方法により、従来型の事後的にもれなくチェックする方法よりも、エラーを生み出さないシステムの事前整備による品質保証を推奨している。それだけではなく、「開かれた対話を支える文化の形成」として、研究チーム内での対話のみならず、患者の意見を取り入れ、地域住民も含む幅広いステークホルダーの参画を得ることを推奨しており、CIOMS倫理指針2016年改訂（本誌45巻4号に和訳掲載）の示す方向性とも一致する。

ICHは医薬品に関する国際規制調和だが、ウェアラブルデバイスやこれと関連するソフトウェアは医療機器に分類され（該当しないものもある）、医薬品開発に応用することはあっても、それ自体の開発・承認は医療機器の領域の話である。米国食品医薬品局では2017年に医療機器に関する「リアルワールド・エビデンス」の規制の意思決定への活用についてのガイダンスを出しており（本誌に翻訳を収載）、この種の課題について、E8よりさらに詳

細に解説している。

これらの議論全体をみると、そもそも規制の意思決定には、「治験」「臨床研究」「リアルワールド」といった枠組みによって活用の可否、製品の承認可否が決まるものなのではなく、個々の目的に対応した、個々のエビデンスの内容と品質によるのだということがよくわかる。

そして後半の特集では、実際の製品開発動向の分析に始まり、「治験」「臨床研究」それぞれの枠組みの差異、それぞれの中でできること、できないこと、課題とその解決の方向性、について論じられている。基本原理としては、生成されるデータの内容と品質が問題なのであり、規制枠組みが問題ではないはずである。もしそうした原理の実践を阻む、手続き論的な規制的要素があるならば、乗り越えていかなければならない。規制改正には時間がかかるが、定められた枠組みの中での運用改善や発想の転換により対応できることは数多くある。研究現場での運用手順の実装がその一つであり、また、規制当局との相談枠組みを活用することもゴールを確実にするための鍵となる。厚生科学審議会 臨床研究部会における本年3月「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について」中間とりまとめではリアルワールドデータ（RWD）の利活用促進のための対応の方向性が明記された。これを受けてPMDA（医薬品医療機器総合機構）ではRWDの薬事申請に向けた取り組みの一環として、レジストリを活用する相談を開始、ガイドライン作成も着手される。

筆者は本年2月、日本医療機器産業連合会の「2018年度 医療機器の治験・臨床評価等説明会」に招聘され、本誌でも扱った医療機器治験の補償に関する議論（46巻2号、3・4号）を紹介した。この説明会では、厚生労働省から2名、PMDAから4名の講演者が参画し、最近の行政の動向、臨床研究法、信頼性保証全般、そして使用成績評価、レジストリ活用、機器関連の国際調和活動などの講演もあり、機器業界のRWD関連の取り組みと議論の先進性に驚かされた。

医薬品と医療機器とに、製造物としての特性・原理的な違いや対象患者集団の特徴は当然あるが、科学的証明の方法や規制的手順の大枠は共通のはずであり、もしそこに違いがあるとしたら、製造物の特性・原理的な違いや対象集団の特徴に沿ったものでなければならぬはずである。倫理もまた同様であり、科学の進歩と社会の変動に応じて、倫理的水準を妥協するのではなく、逆に水準を高めつつ、柔軟に対応していく必要がある。そして、世界的な趨勢は、確かにそのような流れにある。

本特集が、これらの課題の継続的な検討に資することになれば幸いである。

栗原千絵子  
「臨床評価」編集委員