

## トピックス

### ガイドライン最新情報とトピックス(14)

レギュラトリーサイエンス研究所

秦 武久

#### トピックス

米国では、バイオマーカーが70医薬品の添付文書に記載され、医薬品の最適治療の情報として活用されている。昨年の2010年1月から2011年1月までの1年間で、添付文書に記載されたバイオマーカー数は25から75に増加し、バイオマーカーの研究が確実に発展している。(Table of Pharmacogenomic Biomarkers in Drug: Labels <http://www.fda.gov/Drugs/ScienceResearch/ResearchAreas/Pharmacogenetics/ucm083378.htm>, January, 2011).

USFDAは、医薬品開発ツール (Drug Development Tools)に関する下記のドラフトガイドラインを2010年10月に発表した。

- 開発ツールの適格性認定の手続き(米国) Qualification Process for Drug Development Tools (PDF-190KB) Clinical/Medical Draft 10/22/2010 (Clinical/Medical, 全22ページ), <http://www.rsihata.com/updateguidance/2010/UCM230597.pdf>

本ドラフトの構成は下記の通りで、医薬品開発における医薬品開発ツール (drug development tool, DDT) の定義、意義、適格性 (qualification) 認定のプロセスについて解説している。USFDAは、DDTとしてバイオマーカーと患者から報告成績 (Patient Reported Outcome) の2つを取り上げており、CYP2C19, CYP2C9, CYP2D6などの代謝酵素も重要なバイオマーカーであることは言うまでもない。

DDTの適格性が認定されると、臨床試験における医薬品の安全性や有効性の評価、解釈への裏付け、最適な用法用量の調節、患者へのリスク警告等に活用することができる。

これからの医薬品開発においては、DDTの開発、評価は必須と考えてもよいだろう。

#### 目次 Content of Table

I. 序 INTRODUCTION

II. 背景 BACKGROUND

III. 医薬品開発ツール

DRUG DEVELOPMENT TOOLS

A. バイオマーカー Biomarkers

B. 患者から報告成績 Patient Reported Outcome (PRO) and Other Types of Rating Scale Instruments

IV. 適格性とは何か WHAT IS QUALIFICATION?

V. 適格性のプロセス

PROCESS FOR QUALIFICATION

A. ステージ1 相談と助言

Stage 1: Consultation and Advice

B. ステージ2 適格性決定の審査

Stage 2: Review for Qualification Decision

VI. 助言の手続き PROCEDURES FOR MAKING RECOMMENDATIONS AVAILABLE

VII. DDT対応とドキュメント ADDRESSES FOR DDT CORRESPONDENCE AND DOCUMENTS

APPENDIX 1 BIOMARKERS: ADDITIONAL CONSIDERATIONS

APPENDIX 2 LETTER OF INTENT TO PROPOSE BIOMARKER

APPENDIX 3 LETTER OF INTENT TO PROPOSE PRO OR OTHER RATING SCALE QUALIFICATION

APPENDIX 4 STRUCTURE OF BIOMARKER QUALIFICATION BRIEFING DOCUMENT

APPENDIX 5 BRIEFING DOCUMENT TO PROPOSE RATING SCALE (PRO OR OTHER RATING SACES) QUALIFICATION

ガイドライン最新情報(2011年1月~2月度)

下記のウェブサイトから見る事が出来ます。

ウェブサイト : <http://www.rsihata.com/>

ガイドライン最新情報

<http://www.rsihata.com/updateguidance.php>

▼DRUGS (低分子医薬品)

MHLW(厚生労働省)

- 2011/1/20 医薬品、他医薬品またはバイオテクノロジー応用医薬品の開発におけるバイオマーカー：適格性確認のための資料における用法の記載要領、資料の構成及び様式, [http://www.rsihata.com/updateguidance/e16\\_11\\_1\\_20.pdf](http://www.rsihata.com/updateguidance/e16_11_1_20.pdf) : 医薬品またはバイオテクノロジー応用医薬品の開発におけるバイオマーカーの適格性確認のための提出資料の作成、記載要領、資料の構成及び様式について(全16ページ).

USFDA(米国食品医薬品庁)

- 2011/1/18 Size of Beads in Drug Products Labeled for Sprinkle Chemistry, Manufacturing, and Controls

(CMC) Draft, <http://www.fda.gov/downloads/Drugs/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/UCM240243.pdf> (全7ページ) : スプリンクル製剤(粒が充填されたカプセル製剤等)の粒径, BA/BE について議論(全7ページ)

#### EMA (欧州医薬品庁)

- 2011/2/10 Regulatory and procedural guideline: Qualification opinion of Alzheimer's disease novel methodologies/biomarkers for BMS-708163, draft: consultation open, [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Regulatory\\_and\\_procedural\\_guideline/2011/02/WC500102018.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Regulatory_and_procedural_guideline/2011/02/WC500102018.pdf) : アルツハイマー病のバイオマーカーの適格性, 評価の方法論について議論され, low A $\beta$ 1-4 と high tau は軽度な認知障害の進行を予測するバイオマーカーとして適格性がある

(全10ページ)

#### ▼BIOLOGICS (生物学的製剤)

##### EMA (欧州医薬品庁)

- 2011/2/3 Scientific guideline: Reflection paper on stem cell-based medicinal products, adopted, [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Scientific\\_guideline/2011/02/WC500101692.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2011/02/WC500101692.pdf) : 幹細胞由来医薬品の開発研究, 幹細胞の定義, 特性, 品質試験(出発物質, 製造法), 非臨床試験及び臨床試験について議論(全14ページ)

平成23年2月28日

有限会社 レギュラトリーサイエンス研究所

電話・ファックス番号 : 075-958-5300

ウェブサイト : <http://www.rsihata.com/>