

# 開発薬事に立脚した次世代治療・診断技術の研究開発

医薬品、医療機器、再生医療等製品の製造販売をしようとする者は、品目ごとにその製造販売についての厚生労働大臣の承認を受けなければならない(薬機法第14条, 23条の2の5, 23条の25)、

- (A)効能、効果又は性能が無い、
- (B)効能、効果又は性能に比して有害作用が大きい、
- (C)製造管理または品質管理の方法が基準に適合していない、

といった承認拒否要件に該当するときは承認が得られない。承認が得られないと事業ができないので特許も無意味になる。

承認取得への第一歩は品目を定めることである。応用範囲の広い技術でも承認は1品目ごとにしか得られないので、応用範囲は絞りこむ。品目を定めようとする研究開発は社会実装に向かわない。“品目を定める”とは「適応となる患者と疾患名、使用する状況、期待する結果、必要に応じて効能又は効果」を、100～200文字のconceptとして正確に規定する作業である。効能や効果(有効性)は、「ヒト」で100%達成とする公約である。公約をどのように実証するのか、的確な論理構成の戦略も考える。品目を正確に規定すると、自然と有効性と安全性の評価項目の範囲が定まる。このとき評価や試験の方法は学術研究のように研究者が勝手に決めてはいけない。通知やガイドライン等の公的文書に則って行う。なお評価とは必ずしも試験を行うことではない。技術の新規性が高いため、適当な公的文書がない場合は、産総研研究員自らが公的文書の作成・発出に努力しないといけない。

次に(A)に関して、研究者は通常新しい機能や効能、あるいは高い性能の追求に専心する。しかし、社会実装あるいはそこに近づくには(C)の研究開発が大切である。(C)の研究開発は、簡単にいえば製品の有効性と安全性を100%担保するための製品規格、製造法、品質管理法の三つを文書として確立することである。医薬品ならGMP文書、医療機器ならQMS文書、再生医療等製品ならGCPT文書の核心部になる。論文なら5回くらい再現性があれば十分だが、「100%担保」とは100億個、1兆個製造しても全て有効性と安全性が再現されるというレベルの再現性である。このレベルの再現性を達成する製造法と品質管理の論理構成、プロトコル及びバリデーション法が研究開発の対象になる。また、薬事における規格設定とは、組成、寸法、不純物、電気特性等の製品の“仕様”の(i)試験方法、(ii)その試験に用いる分析方法に関する事項、(iii)ならびに規定した方法で試験したときの適否の判定基準からなるリスト(文書)である。判定基準は多くの場合範囲付きである。論文なら1点の仕様で有効性や安全性を示せば十分だが、規格設定するには、どこまでの範囲の組成や純度等で有効性と安全性を発揮するかを調べる必要がある。正式なGMP文書やQMS文書は、研究機関では原理的に作成できないが、核心部分になる規格設定、製造と品質管理のプロトコル及びバリデーション法は研究者自らが構築できるし、新規性の高い製品では研究者が構築するほうがむしろ効率的で技術移転や臨床橋渡しに役立つ。

## 開発薬事に立脚した研究開発

