

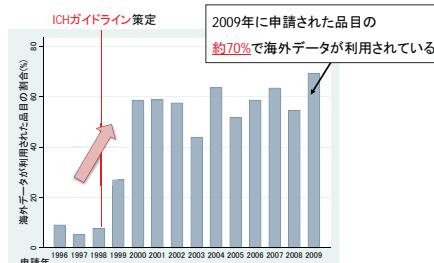
新薬承認申請資料における臨床データパッケージ構築メカニズムの考察

○樋爪太郎 草間真紀子 松木則夫 小野俊介 東京大学大学院薬学系研究科医薬品評価科学講座



BACKGROUND

- ICH-E5ガイドライン策定後、新薬承認申請資料内臨床試験データパッケージにおける海外臨床試験データ利用の高まり
- 参考資料の提出条件・評価方法に関する明確な規定・ルールの不備



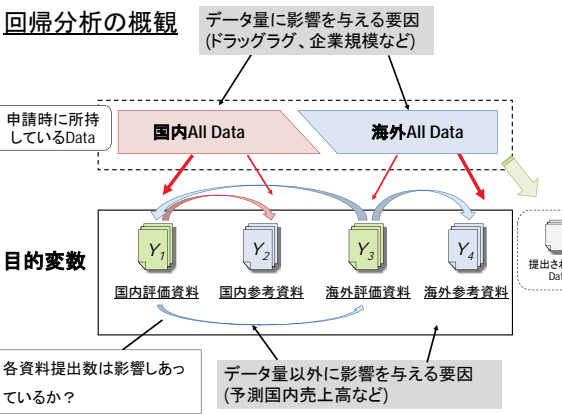
新薬承認申請における海外データ利用のトレンド

OBJECTIVES

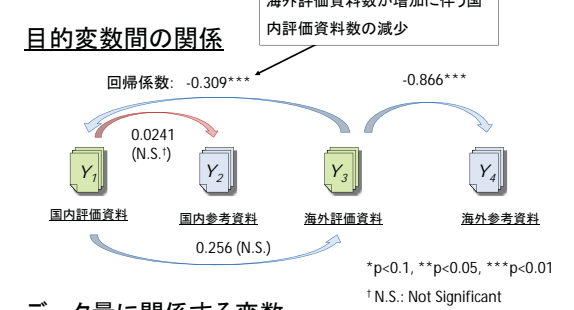
- 臨床データパッケージの構成がどのような要因をもとに決定されるのか、そのメカニズムを明らかにする
- その上で、臨床データパッケージを中心とした承認申請の枠組みを再考する

METHODS

- 分析対象
 - 2001-10年に承認された新規有効成分含有医薬品250品目のうち解析に必要な変数が入手できた209品目 (83.6%)
- 回帰分析 (同時方程式モデル)
 - 各資料提出数 (国内評価/国内参考/海外評価/海外参考) を目的変数とした回帰分析
 - 3段階最小二乗法 (3 Stage Least Squares, 3SLS) による推定



RESULTS



データ量に関する変数

予測国内患者数	1.98***	国内評価資料数	Y1
企業規模 (16-30位)	0.97*	国内参考資料数	Y2
予測国内患者数	4.6***	海外参考資料数	Y4
ドラッグラグ (0-4年)	15.2***	海外参考資料数	

ベースライン 31位以下
ベースライン ラグなし

データ量に関係しない変数

優先審査品目	-3.15**	国内評価資料数	Y1
開発失敗あり	4.24***	国内参考資料数	Y2
ブリッジングあり	12.4***	海外評価資料数	Y3
予測国内売上高	-2.62**	海外参考資料数	Y4

DISCUSSION

- 申請時に所持するデータ量の増加は提出資料数を増加させる一方、海外評価資料数には影響がなかった
 - 海外評価資料は国内評価資料提出数を減少させる
→ 国内データを補完するのではなく、国内データにとって代わる代替的な資料としての役割を果たしている
 - 時間的に先行する海外データが国内データ創出量を決定する軸として働いている
- 補完と代替: 経済学の概念の一つであり、第一財の需要が増加した時に第二財の需要が増加する場合、第一財を第二財の「補完財」と呼ぶ。一方、第一財の需要が増加した時に第二財の需要が減少する場合、第一財を第二財の「代替財」と呼ぶ

CONCLUSION

分析結果より企業は時間的に先行する海外データを軸に国内データ創出量を決定していること、海外データは国内のデータの代替として規制当局に受け入れられていることが示唆された。これらのことから、時間的に先行して創出され、国内開発時には所与とみなされる海外データを、企業は国内開発において戦略的に活用しているといえる。

DISCLOSURE

Authors of this presentation have the following to disclose concerning possible financial or personal relationships with commercial entities that may have a direct or indirect interest in the subject matter of this presentation:

Taro Hizume: Nothing to disclose
Norio Matsuki: Nothing to disclose
Makiko Kusama: Nothing to disclose
Shunsuke Ono: Nothing to disclose