

Take Home Message <論点1・小児>

- 小児での臨床試験の実施には様々な制約が想定される中、母集団解析を活用した開発の重要性が増している。
- 解析対象医薬品の薬物動態プロファイルを十分に把握した上で、プロファイルや臨床での使用方法等を考慮した適切なモデルを構築することが重要である。
- 申請資料として提出する母集団解析報告書では、薬物動態プロファイルや解析の目的を踏まえ、どのような経緯でモデルを構築し、最終モデルに至ったのか、そのプロセスを明確にすることが重要である。

PMDAより:平成26年度厚生労働科学研究費(医薬品等規制調和・評価研究事業)「小児医薬品及び難病等アンメットニーズ医薬品を含む臨床開発等におけるモデリングとシミュレーションの活用に関連する指針等の作成に関する研究」(H26-医薬B-一般-014)より今後出てくる成果も参考にしていきたい。

Take Home Message <論点2・QC/QA>

- 申請資料として提出する母集団解析報告書は、「信頼性の基準」に従って作成する必要がある。
- 開発段階や承認審査で、母集団解析結果に基づく客観的かつ科学的な判断を行うためには、解析に用いるデータの質の管理を適切に行うことが必須となる。
 - 母集団解析に用いるデータセット作成に関する標準業務手順(SOP)を定め、そのSOPに基づいて作業を行う
 - 母集団解析に用いるデータセット作成が、SOPに基づき適正に行われていることの確認(QC/QA)を行う
 - 母集団解析を行う部門は、社内のデータマネジメント部門、統計解析部門や社外の開発業務受託機関(CRO)等と緊密な連携のもと、業務を行う

Take Home Message <論点2・QC/QA>

- 昨今、臨床研究や基礎研究データの信頼性を揺るがす事件が続き、研究の信頼性確保が社会的に強く要請されている点は母集団解析においても例外ではない。
- たとえ大規模で複雑な解析を完了した後であっても、もし元データの誤りを発見したならば、訂正後の正しいデータに基づいて主要な全ての解析をやり直すべきである。