

計量生物学の進展と規制の役割

加藤 凌輔 (医薬品医療機器総合機構)

私がこの業界に足を踏み入れたのは、生物統計学の研究室に配属された 10 年程前の話になります。学問としての最初の出会いは学部生時代の講義であり、特徴的な例えと独特のユーモアがいくつも展開されるような恩師のマニアックな講義でした。以前から数字で何かを訴えるような理論的根拠を踏まえた上で物事を説明することに興味はあったため、統計学という学問には自ずと惹かれていたのだと感じています。一方で医療や健康科学の分野に接する機会はありませんでしたが、そのような分野にも適応できることに魅力を感じたことが理由で、選択肢の 1 つであった生物統計学の研究室を志望したのだと思います。修士課程終了後、現在まで医薬品医療機器総合機構 (PMDA) の生物統計担当として主に治験相談・承認審査業務に従事しております。

今回、「計量生物学の未来に向けて」というお題をいただきましたので、日頃の業務内容や規制当局から見た計量生物学を振り返りました。計量生物学の進展と規制の役割について、若輩者ながら本稿を通じて考えをお伝えできればと思います。なお、本稿で触れた内容はあくまで個人的な見解であることにはご留意ください。

実際の生物統計担当の業務としては、規制当局に限らないものばかりです。主な役割としては、生物統計学的な観点から、科学的かつ客観的に、臨床試験の計画、実施、結果及びその解釈の適切性を評価することにあります。これらに関係者が理解しやすいように情報伝達をする、架け橋的な役割が特に重要と考えます。誤解されがちなこととして、過程が重要であることを差し置いて、結果を解釈する際の統計学的判断にのみフォーカスした意見を委ねられることが多々あります。もちろん結果を解釈するための統計学的方法論は重要でありますし、生物統計担当としてはその知識を所有していることは大前提です。しかしながら、私は結果が出るまでの過程にも重きを置くべきであると考えているため、日々その理解に努めています。計画の過程としても、単に症例数や解析方法が間違っていないかを検討する役割ではありませんし、何故その症例数となるのか、何故その解析方法であるべきかについて、臨床評価の知識も踏まえて説明することが求められます。これには、領域特有の考え方、専門的な知識と経験が求められますが、時に生物統計担当としての限界を感じながらも、臨床担当あるいは他の担当との協力を通じて意思決定に繋げていく、まさに先述したような架け橋になるべき立ち位置であると理解しています。

臨床試験の立案に直接携わっているわけではありませんが、臨床試験において考慮すべき事項や治験実施計画書で意図されている内容を、他の担当が理解しやすいように翻訳して伝えることで、様々なバックグラウンドである担当者間でのコミュニケーションを活発化させることも、重要な責務であると考えます。昨年、本邦でも ICH E9 (R1) が公開されたこともあり、臨床試験で検証すべき治療効果に関する議論はより活発になったように感じています。生物統計学はこれらの議論を先導する役割として重要と考えており、引き続き架け橋としての役割を担っていく所存です。

規制当局ならではの役割としては、計量生物学の進展を促進させることが挙げられると考えます。医薬品開発の効率化や意思決定の精度を向上させるために新たな技術、方法論の提案が生まれることに対し、規制当局はそれを引き止める存在となるべきではなく、これらの技術や方法を科学的に評価し、かつ適切

に活用するための指針を示す必要があります。手段としては明確なガイドライン等を提供すること、企業やアカデミアと協力して標準的な枠組みを作っていくための連携を率先して行うことが挙げられます。国際的な規制調和を進めることも重要であり、計量生物学の進展を後押しするための取り組みも規制当局ならではの課せられた役割であることを認識しています。幸い、各国・地域の代表者が集まる中に参加する機会をいただいているため、引き続き、精進していきたいと考えています。

最後になりましたが、この度「計量生物学の未来に向けて」に寄稿する機会をいただいたこと、感謝申し上げます。日頃の業務と計量生物学の未来について改めて考え直すきっかけとなり、非常に有意義なものになりました。生物統計家としての計量生物学への個人的な貢献は、自信を持って成し遂げられているとは未だに言えません。今後の計量生物学の未来に向けて、身近な業務からの積み重ねにより、小さな貢献からでもその発展に寄与できるよう努力していきたいと考えています。この場を借りた決意表明をもって筆を置かせていただきます。