

AMED 規制調和「複数の重篤副作用に関する臨床バイオマーカーの開発及び副作用機序との関連性の  
解明」(令和2年度～4年度)研究成果

## バイオマーカー用語集 (20220331 国立医薬品食品衛生研究所 医薬安全科学部)

### ● バイオマーカー : Biomarker

正常な生物学的過程(生体の維持・機能を示す過程)、病原性を示す過程、または曝露や介入(治療的介入を含む)に対する生物学的反応の指標として測定される、定義された特性のこと。バイオマーカーには、分子的、組織学的、画像的、または生理学的な特性が含まれる。個人の感覚や気持ち、生体機能、生死は、バイオマーカーには含まれない。

### ● 利用の目的・方法・範囲 : Context of use

医薬品等開発ツールとしてのバイオマーカーの使用法、及び規制対象製品の開発・審査関連の使用目的を、完全かつ明確に記載した文章。

### ● 目的に合わせた評価 : Fit-for-purpose

提案されたバイオマーカー利用の目的・方法・範囲を裏付けるために、バイオマーカー自体の評価、及びこの臨床的有効性・安全性への利用に向けた評価に関して、その科学的検証レベルが十分となる評価項目とそのレベル。

### ● (バイオマーカー) 使用の意図 : intended use

バイオマーカーが開発される際の特定の臨床的状況や目的のこと。規制の文脈では、バイオマーカーの開発に関し、責任を負う者が決定する客観的な意図を指す。

### ● (バイオマーカーの) 臨床的有用性 : Clinical utility

あるバイオマーカーを利用することにより、疾病の診断、治療、管理、予防、あるいは医薬品等の臨床の有効性・安全性に関する有用な情報が得られることをいう。臨床的有用性を検討する場合は、個人や患者集団の場合のバイオマーカー利用に基づく利益やリスクの範囲を明確にし、利益が診断コストを含むリスクを上回ることが必要である。なお、非臨床試験に用いる場合は、臨床的を非臨床的に置き換える。

### ● 検証 : Validation

意図された目的に対して、バイオマーカーの分析法及び臨床的診断における性能が許容できることを立証するプロセス。分析的検証や臨床的検証など。

### ● (バイオマーカーの) 分析的検証(分析的妥当性検証) : Analytical validation

バイオマーカーの臨床的有用性を確保するため、特定の技術的手順(検体の採取、取扱い、保管の手順を含む場合がある)を用いて測定を行い、(分析的)感度、(分析的)特異

度、真度、精度、安定性、その他の必要な性能特性の点で許容できることを立証するプロセス。これは用いる分析法の妥当性確認であり、バイオマーカー分析法の有用性に関する妥当性確認ではない。

- (バイオマーカーの) 臨床的検証 (臨床的妥当性検証) : Clinical validation

選択したバイオマーカーが、対象とする臨床上の概念を適切に評価できることを検証すること。なお、非臨床試験にも用いる場合は、臨床上の概念を非臨床上の概念に置き換える。

- 検証された代替エンドポイント : Validated surrogate endpoint

真のエンドポイントと関連する代替エンドポイントのうち、明確な機序と臨床データに裏付けられているもの。検証された代替エンドポイントは、臨床上の有用性を証明するための追加の研究を必要とせず、定義された状況下での医薬品等の製造販売承認を評価するために使用することができる。

- 適格性確認 : Qualification

意図された利用の目的・方法・範囲の中で、医療製品開発ツールであるバイオマーカーが、医薬品等の開発と審査において、特定の解釈と用途（臨床的有用性）を有するという信頼性を規制当局から確認されること。

- 診断バイオマーカー : Diagnostic biomarker

対象となる疾患や副作用等の存在や状態を検出または確認するため、あるいは疾患のサブタイプを持つ患者を特定するために使用されるバイオマーカー。

- モニタリングバイオマーカー : Monitoring biomarker

疾患や病状の状態の評価や、特定の医薬品等への曝露及びその影響の評価を行うために、繰り返し測定されるバイオマーカー。

- 薬力学的バイオマーカー : Pharmacodynamic/response biomarker

特定の医薬品等の曝露により患者等において引き起こされた、定量的な生物学的反応を評価するためのバイオマーカー。

- 予測バイオマーカー : Predictive biomarker

当該バイオマーカーが陽性（または設定した値や状態よりも以上または以下）の判定基準を満たす場合、満たさない同様の個人と比較して、特定の医薬品等への曝露により、好ましいまたは好ましくない影響を受ける可能性が高い人を特定するために使用されるバイオマーカー。

- 予後バイオマーカー：Prognostic biomarker

対象となる疾患や病状を持つ患者において、特定の医薬品等による治療によらず、疾患の経過（再発や進行等）を予測するために使用されるバイオマーカー。

- 安全性バイオマーカー：Safety biomarker

副作用としての毒性の可能性、存在、程度を評価するために、医薬品等への曝露の前後に測定されるバイオマーカー。

- 感受性/リスクバイオマーカー：Susceptibility/risk biomarker

現在、臨床的に明らかな疾患や症状を有していない個人において、疾患や症状を示す可能性を評価するためのバイオマーカー。