

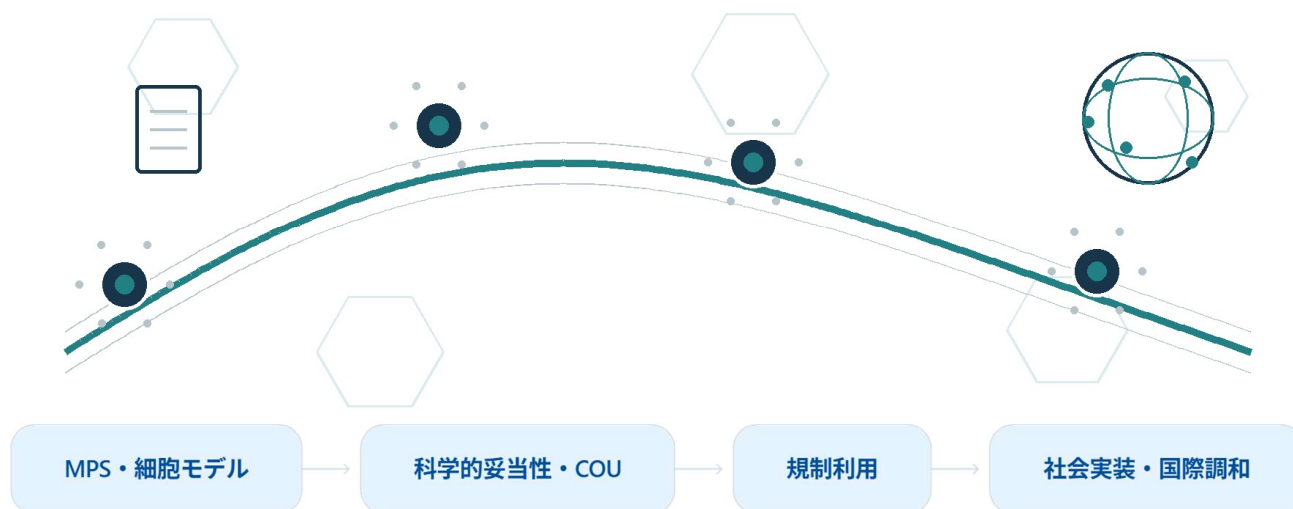
Japan MPS Initiative

WHITE PAPER 2026

MPS 実用化推進協議会

MPS の規制利用と社会実装

— 適格性評価・国内連携・国際調和の現在地 —



第3回学術シンポジウム総説（講演録）

国内コンソーシアム活動報告・国際会議参加報告

1. あいさつ	2
MPS 実用化推進協議会 代表 石田誠一（崇城大学 / 国立医薬品食品衛生研究所）	
2. 欧米における DDT 適格性認証ガイダンスと MPS 評価事例の紹介	3
日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 荒木徹朗（中外製薬株式会社）	
3. 医薬品開発における NAMs の利用実態及び考慮事項について	6
西村次平（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構）	
4. CSAHi-MPS を通じた MPS 社会実装の推進	9
奈良岡準（CSAHi-MPS / アステラス製薬株式会社）	
5. MPS World Summit 2026 参加報告書	12
三ヶ島史人（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構）	

【著作権および免責事項について】

- 本総説に掲載されている各著作物の著作権は、各執筆者またはその所属組織に帰属します。
- 本総説全体の編集著作権は、MPS 実用化推進協議会に帰属します。
- 権利者の許可なく、本総説の全部または一部を複製、転載、改変、および配布することは、営利・非営利を問わず固く禁じます。

発行：MPS 実用化推進協議会

2026 年 9 月発行

1.あいさつ

MPS 実用化推進協議会 代表 石田誠一（崇城大学 / 国立医薬品食品衛生研究所）

第3回学術シンポジウムへの多数のご参加、誠にありがとうございました。

現在、生体模倣システム（MPS）をはじめとする新規アプローチ手法（NAMs）は、欧米を中心に動物実験代替の加速やヒトへの外挿性向上を目指す新たな評価技術として、急速に進展しています。欧米で DDT 適格性認証などの先駆的な規制利用フレームワークが整備されつつある中、日本国内においても、創薬や薬事申請の実務における社会実装や標準化、そして国際調和に対応できる適格性評価プロセスの早期確立が急務となっています。

このような、まさに「技術開発から規制利用への過渡期」とも言える重要なタイミングを踏まえ、本協議会では「適格性認定における MPS の現状と国内動向」を体系的に整理すべく、国内外の最前線で活躍される4名の先生方に執筆を依頼いたしました。

今回掲載する内容は、第3回学術シンポジウムより、欧米の適格性認証ガイダンスと事例を紹介する荒木徹朗先生（中外製薬/製薬協）、PMDA の NAMs/WoE アプローチ方針を解説する西村次平先生（PMDA）、国内最大規模のコンソーシアム活動から社会実装を提言する奈良岡準先生（アステラス製薬 / CSAHi-MPS）のご講演のまとめです。さらに、グローバルな最新の規制調和の動向を共有するため、5月の「MPS World Summit 2026」サテライトシンポジウムの報告を三ヶ島史人先生（PMDA）にご寄稿いただきました。ご多忙中にもかかわらず、快く執筆の労を取っていただいた先生方に深く感謝申し上げます。

国内外の最新規制トレンド、産業界の標準化活動、そして国際学会の成果が網羅された今回の掲載資料は、本邦の MPS 実装の現在地と今後の進むべき道を示す極めて貴重なロードマップです。

MPS 実用化推進協議会ホームページ読者の皆様におかれましては、ぜひ本資料をご一読いただき、最新動向を踏まえた MPS の実用化や研究開発の加速に広くお役立ていただけますと幸いです。

2. 欧米における DDT 適格性認証ガイダンスと MPS 評価事例の紹介

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 荒木徹朗（中外製薬株式会社）

背景

MPS 実用化の重要な出口の一つとして、医薬品の薬事申請における非臨床評価資料としての活用が期待されている。2025 年 4 月に発表された米国 FDA のロードマップ¹⁾では、MPS などの先進技術の活用により動物実験の段階的な廃止を目指す方針が掲げられ、MPS に対する製薬企業の関心はより一層高まっている。

OECD や ICH において、MPS をはじめとする先進技術を用いた医薬品申請における国際的に調和したガイドラインは現状存在していないため、医薬品開発ツール（Drug Development Tool、以下 DDT）として申請資料に用いる際には、その評価手法としての適格性を証明するために各国の規制当局への個別の説明が求められる。FDA²⁾や EMA³⁾はすでに DDT の適格性認証（Qualification）に関するガイダンスを公表して、提出資料の枠組みを定め、審査制度を構築・運用しており、医薬品の審査とは独立して新規 DDT の適格性に関して審査を受けることが可能である。一度 DDT として認証されると、以降は個別に適格性を説明する必要がなくなるため、製薬企業にとっては申請業務のスリム化につながり、DDT 開発者にとっては規制当局の認証を得ていることが顧客である製薬企業への有力なアピールポイントになると期待される。

一方、日本においてはこのような DDT 適格性認証に関するガイダンスが整備されていないため、個別の医薬品の薬事申請の中で審査を受けることに限られているのが現状である。こうした状況を受け、産学から DDT 適格性認証制度に対する要望や提言が 2023 年に提出されており^{4),5)}、現在、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の研究班「医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤と国際調和の推進に資する研究（24mk0121281j0001）」に設けられた分班「今後の非臨床安全性評価の課題に関する研究」班（略称: ICH 横串班）にて検討が進められている。

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 2024～25 年度基礎研究部会の「代替法課題検討タスクフォース DDT サブチーム」では、FDA および EMA の DDT 適格性認証ガイダンスの比較と、ISTAND（Innovative Science and Technology Approaches for New Drugs）プログラムにおける MPS 評価のケーススタディを実施した。これらは、DDT 適格性認証制度の実態と留意点を明らかにし、日本版 DDT 適格性認証ガイダンスおよび適格性認証制度の提案に向けて有益な情報になると考えられる。

FDA および EMA の DDT 適格性認証ガイダンスの比較

米国 FDA の DDT 適格性認証制度²⁾は 21st Century Cures Act という法令に基づいて制定されており、その目的は医療イノベーションの促進である。対象項目にはバイオマーカー、臨床アウトカム、動物モデル、その他の先端技術の 4 つがあり、非臨床から臨床まで幅広くカバーしている。MPS は「その他先端技術」として ISTAND というプログラムで審査される。審査は LOI（Letter of Intent）、QP（Qualification Plan）、FQP（Final Qualification Package）の 3 段階で行われ、審査状況は FDA のウェブサイト (<https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/>) で随時公開されている。

欧州 EMA では DDT ではなく「Novel methodologies」という呼称が用いられ、対象項目は米国と同様に非臨床及び臨床の両方が含まれる³⁾。EU の関連法規に基づき、新規手法が特定の目的（Context

of Use, COU) において用いられる際の妥当性評価に焦点が当てられている。審査は1段階のみであり、最終的な承認 (Qualification Opinion) の前にはパブリックコメントが募集されるが、MPSに関する公開事例は2026年6月25日現在確認されていない。

ISTAND プログラムにおける MPS 評価のケーススタディ

ISTAND では現在 31 件のプログラムが審査中として公開されており、MPS を含む非臨床 *in vitro* 手法がそのうち約 2/3 を占めている (2026 年 6 月 25 日現在。却下されたものを含む)。MPS の中でも審査が進んでいるのは Emulate 社の Liver-Chip⁶⁾ であり、第 2 段階にあたる QP の承認を獲得している。LOI では、本モデルを「低分子の新規候補薬による DILI (drug-induced liver injury) のリスクを成人において評価する非臨床ツール」と位置づけ、IND 申請時に当局が臨床第 1 相試験の実施可否を判断する安全性関連情報を提供するという COU を提示している。また、同一クラスの薬剤で、臨床での肝障害リスクが異なる複数の化合物セット (例: クロザピンとオランザピン) の比較データを根拠資料として提出している。これに対し FDA は LOI の審査において、COU のさらなる限定及び規制当局の意思決定に与えるインパクトの具体化を QP に向けて求めるとともに、技術的な課題として、実験や解析条件の適切性の証明とデータの開示、実験に用いた化合物選択の根拠、並びに DILI 判定基準の根拠などの説明を要求している。これらに対応して提出された QP の審査では、FQP に向けて施設間再現性、施設内再現性、異なるドナー由来肝細胞での再現性の評価が求められているほか、Liver-Chip から得られた結果の臨床的意義の説明も要求されている。

このように、DDT 適格性認証においては「医薬品審査における」COU の定義が重要である。実際に、類似した脂肪肝モデルであっても、化合物選択を COU としていた LOI は却下され⁷⁾、脂肪肝患者における薬物動態や毒性リスクを評価するという COU を提示した別の団体の LOI は承認される⁸⁾ といったように、COU の違いにより FDA の判定が分かれたとみられるケースもデータベース内で確認されており、MPS としての進歩性や技術的な優位性だけでなく、適切な COU 設定が審査上の重要な要素であることがうかがえる。また、科学的妥当性についても従来の審査資料と同等の品質が求められるため、十分なデータ整備と説明が不可欠である。

おわりに

MPS の実用化には、MPS 開発者とユーザー企業の連携が不可欠であることが長らく強調されてきたが、本調査においてもその重要性が改めて確認された。Emulate 社は製薬企業のコンソーシアムである IQ-MPS と共同研究を実施しており¹⁰⁾、このような連携が Istand における Liver-Chip の審査を後押ししたと考えられる。本協議会が MPS 開発者とユーザーの交流の場として一層活性化することで、本邦における MPS の実用化のさらなる推進が期待される。

謝辞

本稿で紹介した調査研究 (欧米ガイダンス比較、ISTAND ケーススタディ) に携わった日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 2024~25 年度基礎研究部会 タスクフォース 4 (代替法課題検討) DDT サブチームのメンバーに感謝します。

引用文献

- 1) FDA, Roadmap to Reducing Animal Testing in Preclinical Safety Studies, <https://www.fda.gov/media/186092/download>
- 2) FDA, Qualification Process for Drug Development Tools Guidance for Industry and FDA Staff, <https://www.fda.gov/media/133511/download>
- 3) EMA, Qualification of novel methodologies for medicine development, <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/scientific-advice-protocol-assistance/qualification-novel-methodologies-medicine-development>
- 4) 日本学術会議、革新的医療製品の評価技術を迅速に適格性認定するための5つの提言、<https://www.scj.go.jp/ja/info/kohyo/pdf/kohyo-25-t353-1.pdf>
- 5) 日本経済団体連合会（経団連）、2023年度規制改革要望、https://www.keidanren.or.jp/policy/2023/061_honbun.html#n56
- 6) FDA, DDT-IST-000016, Human Liver-Chip for Prediction of Drug-Induced Liver Injury. <https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/ddt-project?ddtprojectid=197>
- 7) FDA, DDT-IST-000019, In-Vitro 3D Human Model for Screening and Prioritization of NASH Clinical Candidates. <https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/ddt-project?ddtprojectid=224>
- 8) FDA, DDT-IST-000034, Liver acinus microphysiological system (LAMPS) for determining drug candidate dosing in clinical trials of liver disease. <https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/ddt-project?ddtprojectid=226>
- 9) FDA, DDT-IST-000044, Quantifying hepatotoxicity using the liver acinus microphysiological system (LAMPS) for determining drug candidate dosing in clinical trials of liver disease. <https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/ddt-project?ddtprojectid=236>
- 10) Ewart L, Apostolou A, Briggs SA, et al., Performance assessment and economic analysis of a human Liver-Chip for predictive toxicology. Commun Med 2, 154 (2022). <https://doi.org/10.1038/s43856-022-00209-1>.

3. 医薬品開発における NAMs の利用実態及び考慮事項について

西村 次平（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構）

はじめに

近年、医薬品開発における New Approach Methodologies (NAMs) は、動物実験に依存しない新たな評価手法の総称として、ヒトへの外挿性の向上や作用機序の理解を通じた意思決定の高度化に資するものとして注目されている。NAMs には、*in vitro*、*in silico*、*in chemico* 等の多様な手法が含まれ、その代表例の一つとして、Microphysiological Systems (MPS) や Organ on Chip が挙げられる¹⁾。

本稿では、本邦における NAMs の規制利用の実態を概観するとともに、MPS の薬事規制利用に向けた考慮事項について考察する。

本邦における NAMs の規制利用の実態

医薬品開発における NAMs の利用実態を PMDA における審査経験を踏まえて俯瞰すると、NAMs の利用形態は大きく二つに整理できると考えられる。一つは、既存の非臨床安全性評価に係る ICH ガイドラインに基づくフレームワークに NAMs データが補完的に用いられる補完型 NAMs であり、もう一つは、既存の毒性試験を代替する代替型 NAMs である。補完型 NAMs には、低分子医薬品における毒性発現機序の理解やヒトへの外挿性の補強を目的とした試験、並びに抗体医薬品等においてヒト特異的な薬理作用や安全性リスクを評価するための試験等が含まれる。代替型 NAMs には、眼刺激、皮膚刺激、皮膚感作等の特定エンドポイントに対する OECD テストガイドラインに基づく代替法が挙げられる。一方、その他の主要な毒性試験については、ICH S5(R3)ガイドラインにおいて胚・胎児発生に係る代替法の活用方策が示されているものの、実務上利用可能な代替法は依然として限定的である。

そこで、当該状況を実際に確かめるために、米国で FDA 近代化法 2.0²⁾が成立した 2022 年を起点として、本邦で承認された新規有効成分医薬品 167 品目（2022 年 4 月～2025 年 9 月）を対象に、公開されている申請資料の記載に基づき、NAMs の利用実態を調査した（表 1）³⁾。その結果、調査対象 167 品目のうち 16 品目で NAMs の利用が確認され、NAMs を用いた試験は計 30 件であった。利用された NAMs は主として補完型 NAMs であり、特定目的において Weight of Evidence (WoE) の一部を構成する補完情報として活用されていることが確認された。一方、調査した範囲において、代替型 NAMs の事例は確認されなかった。ICH M3 (R2) ガイドラインでは、新たな代替法は、バリデーションが完了し、全ての ICH 規制当局に受け入れられた場合に既存の標準試験法の代替として利用可能であるとされていることから⁴⁾、代替型 NAMs の薬事利用には、国際的な規制受容の観点から一定のハードルが存在すると考えられる。

MPS を含む NAMs の規制利用に向けた考慮事項

医薬品開発におけるヒトでの安全性の担保は、有効性の確認と同じく中核的な要件である。とりわけ、非臨床安全性評価への規制利用を目的とする NAMs については、その結果がヒトへの安全性の評価に用いられることから、当該科学的妥当性 (scientific validity) を適切に示すことが不可欠である。

FDA ではドラフトガイダンス⁵⁾が公表されており、MPS を含む NAMs の活用においては、(1)評価対象となる使用目的（Context of Use：COU）の明確化、(2)ヒト生物学的関連性の裏付け、(3)技術的特性（再現性、信頼性、感度・特異度等）の評価、(4) COU に対する目的適合性（fit-for-purpose）が重要な要素として示されている。本ガイダンスでは、創薬段階における用途は対象外とされており、規制上の意思決定に資する用途を主たる対象としていることが示されている。

特に、fit-for-purpose に関しては、参照化合物による性能評価、再現性及び頑健性、既存手法との比較、限界の明示並びに再現性に影響する要因の把握等を通じて、規制判断への適合性を説明することが求められる。なお、必ずしも OECD 試験ガイドラインのような形式的バリデーションが求められているわけではなく、fit-for-purpose の観点から必要十分な妥当性が示されることが重要とされている。

なお、MPS はその特性上、ヒト生理機能の再現を目指した複雑な試験系であり、試験系の性能や再現性は、使用する細胞、培養条件、デバイス設計及び評価指標等の試験条件並びに適用範囲に依存する。そのため、これら条件を含め、COU に応じて当該手法がどの程度信頼可能な情報を提供し得るのかを明確に説明することが重要と考えられる。

結論

本稿では、本邦における NAMs の規制利用の実態を概観するとともに、MPS を含む NAMs の規制利用に向けた考慮事項について検討した。NAMs について、本邦においても一定の活用事例は確認されているものの、その数は依然として限定的であり、必ずしも十分に普及しているとはいえない状況にある。今後、本邦における MPS を含む NAMs の更なる利用促進に向けて、ICH における NAMs に係るリフレクションペーパー作成を含む国際的な議論や国内産官学関係者による議論も踏まえながら、規制利用に関する共通原則や考慮事項の整理・共有を進めていくことが望まれる。

利益相反

開示すべき利益相反はない。本稿は、著者の個人的見解に基づくものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の公式見解を示すものではない。

引用文献

- 1) Mansouri M, Lam J, Sung KE. Progress in developing microphysiological systems for biological product assessment. Lab Chip. 2024, 24, p.1293-1306.
- 2) U.S. Congress. FDA Modernization Act 2.0. 117th Congress. 2022.
- 3) 佐藤大輔. 本邦の医薬品及び再生医療等製品の開発における新規アプローチ手法（New Approach Methodologies）の使用実態調査. 第 53 回日本毒性学会学術年会（P-135E）, 2026.
- 4) 厚生労働省医薬食品局審査管理課長. 医薬品の臨床試験及び製造販売承認申請のための非臨床安全性試験の実施についてのガイダンス. 薬食審査発 0219 第 4 号, 2010.
- 5) U.S. Food and Drug Administration. General Considerations for the Use of New Approach Methodologies in Drug Development. Draft Guidance for Industry. 2026.

表1 本邦承認申請品目におけるNAMs利用実態調査の概要

(1) 調査対象	FDA近代化法2.0成立後の2022年4月から2025年9月に本邦で承認された新有効成分含有医薬品（162品目）及び再生医療等製品（5品目）の計167品目の製造販売承認申請資料（Common Technical Document）の毒性試験の概要文全体（CTD2.6.6）及び薬理試験の概要文（CTD2.6.2）の副次的薬理及び安全性薬理の項に記載された試験のうち、有効成分に関する試験
(2) 調査方法	<i>in silico</i> 、 <i>in chemico</i> 、 <i>in vitro</i> 、 <i>ex vivo</i> アプローチを含むあらゆる技術や方法のうち、従来の非臨床安全性評価手法では得られない新たな知見や付加的価値を有する試験に焦点を当て、汎用技術又は確立したプロトコルを用いた試験や通知、ガイドラインに記載されている試験（例：血液適合性試験、角膜混濁・透過性試験等）等は除外し抽出
(3) 結果概要	- 調査対象167品目のうち、NAMsを含む品目は16品目であり、NAMsを用いた試験は計30件確認された。 - NAMs試験を含む16品目のうち、低分子が最も多く5品目で、次いで抗体が4品目、核酸が3品目、遺伝子治療用製品が2品目、ADCが1品目、合成ペプチドが1品目であった。 - NAMsを用いた30試験のうち、代替型NAMsの利用はなく、いずれも補完型NAMsであり、ヒト特異性の高いモダリティに使用されたNAMsは19試験、ヒト特異性が低いモダリティ（低分子等）に使用されたNAMsは11試験あった。

4.CSAHi-MPS を通じた MPS 社会実装の推進

奈良岡 準 (CSAHi-MPS / アステラス製薬株式会社)

CSAHi-MPS 設立の経緯

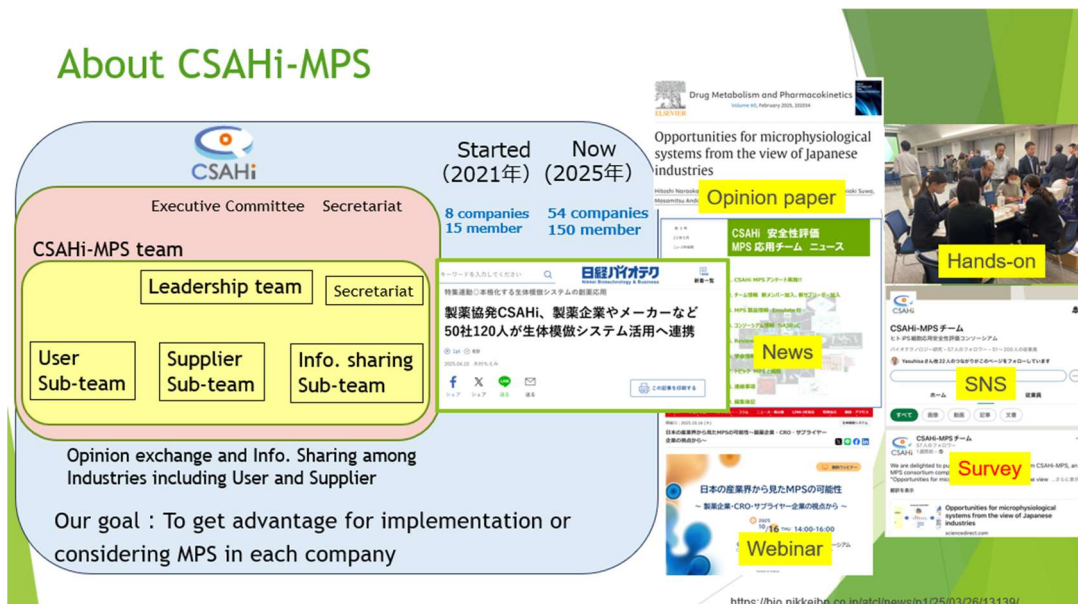
近年、Microphysiological Systems (MPS) は、ヒト予測性の高い次世代評価技術として欧米を中心に注目を集めている。欧米では、アカデミア発のベンチャー企業による製品開発や、製薬企業と規制当局との連携を通じた実用化が進展していた。一方、日本では AMED-MPS 事業を通じて優れた MPS 技術が開発されていたものの、事業化や産業実装は限定的であり、安全性研究者の間でも MPS に対する理解や活用経験に大きな差が存在していた。

このような状況を受け、AMED-MPS 事業に参画していた国内製薬企業の安全性研究者を中心として、2021 年にヒト iPS 細胞応用安全性評価コンソーシアム (CSAHi) 内に「安全性評価 MPS 応用チーム (CSAHi-MPS)」が設立された。さらに 2023 年には MPS 関連製品やサービスを提供する企業も参加可能となり、ユーザーとサプライヤーが連携して社会実装を推進する体制へと発展した。

CSAHi-MPS の組織体制と活動概要

CSAHi-MPS は、製薬企業、CRO、食品企業、MPS 関連企業など多様な業界から構成される産業系コンソーシアムである。設立当初は 8 社 15 名で開始したが、その後急速に拡大し、2025 年時点では 54 社約 150 名が参加する国内最大級の産業系 MPS コンソーシアムとなった。

組織は、リーダーシップチーム、ユーザーサブチーム、サプライヤーサブチーム、情報共有サブチームから構成されている。主な活動として、ウェビナー、ハンズオンセミナー、アンケート調査、SNS による情報発信、ニュース配信、オピニオンペーパー作成を行っている（下図）



CSAHi-MPS の目的は、各企業における MPS 導入や活用を支援し、産業界全体として MPS の社会実装を加速することである。

CSAHi-MPS の実態調査

CSAHi-MPS は 2025 年に Drug Metabolism and Pharmacokinetics 誌へオピニオンペーパーを投稿し、日本の産業界における MPS 導入状況、課題および期待について提言を行った。

同論文では、MPS 実装に向けた主な課題として、

- MPS 利用経験の不足
- 標準化および品質保証体制の未成熟
- Context of Use (COU) の明確化不足
- 費用対効果や投資回収に対する不確実性
- 国際的な調和の必要性

を挙げている。

さらに CSAHi-MPS は、これらの課題解決には単一企業による対応では限界があり、産業界全体での知識共有、標準化活動、ケーススタディの蓄積、規制当局との対話が必要であると主張している。また、日本の産業規模や医薬品開発環境に適した評価基盤やエコシステムの構築が重要であることも提言している。

CSAHi-MPS の MPS 実装推進への貢献

CSAHi-MPS の最大の特徴は、ユーザー企業とサプライヤー企業を同一プラットフォーム上で結び付けている点にある。これにより、ユーザーとサプライヤー間の連携だけでなく、さらにはユーザー同士あるいはベンダー同士の新たな連携も促進されている。

また、日本製薬工業協会（製薬協）との連携により、製薬協が担う規制・政策面の活動と、CSAHi-MPS が担う技術検証や実装面の活動を補完的に推進する体制が構築されている。さらに MPS 実用化推進協議会との連携を通じて、アカデミアと産業界の連携促進や国際 MPS 学会など海外組織との連携にも貢献している。

CSAHi-MPS は、知識創出、ビジネスモデル創出、ルール創出の三つの観点から活動を整理し、その具体策として COU の明確化、標準化、データ共有、国際調和、産官学連携エコシステムの形成、人材育成などを推進していきたいと考えている。

まとめ

CSAHi-MPS は、日本における MPS 社会実装を推進するために設立された産業界コンソーシアムであり、現在では製薬、CRO、食品、MPS 関連企業など多様な業界を結ぶプラットフォームとして発展している。

MPS の実装には、標準化、COU の明確化、データ共有、国際調和、規制受容性向上など多くの課題が残されている。しかし CSAHi-MPS は、産業界の知見を集約し、ユーザーと開発企業、アカデミア、行政をつなぐハブとして機能することで、日本に適した MPS エコシステムの構築と実用化促進に重要な役割を果たしている。今後も国内外のステークホルダーとの連携を強化しながら、MPS の社会実装および安全性評価の高質化へ貢献したい。

引用文献

- 1) Hitoshi Naraoka, Takuma Iguchi, Kosuke Harada, Toru Usui, Yoshiaki Suwa, Masamitsu Ando, Takeshi Sakura, and Tomoki Ohkubo. Opportunities for microphysiological systems from the view of Japanese industries. *Drug Metab Pharmacokinet* 2025 Feb;60:101034.

5.MPS World Summit 2026 参加報告書

三ヶ島史人（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）

令和8年5月26日から29日にかけて、米国ワシントンD.C.で開催されたMPS World Summit 2026に参加した。本会議は、Microphysiological Systems (MPS)を中心とするNew Approach Methodologies (NAMs)の研究開発、標準化、産業応用及び規制利用に関する国際的な情報共有の場であり、学术界、産業界、規制当局等から多くの関係者が参加した。今回の参加を通じて、MPSを含むNAMsの最新動向、規制利用に向けた科学的妥当性、Context of Use、適格性評価及び国際的整合性に関する議論について情報収集を行った。

ワークショップ「Advancing Global Alignment on NAMs: Regulatory Roadmaps, Challenges, and Opportunities」では、FDA、MHRA、PMDA（出張者）及びPhRMA関係者から、NAMsの規制利用に関する各国・地域の取組みが紹介された。自身の講演では、PMDAの立場から、NAMsは従来法を単純に置き換えるものではなく、in silico、in chemico、in vitro、ex vivo等を含む多様な手法として、有効性、安全性及び薬物動態に関する情報を補完し得ることを説明した。また、MPSはヒト組織・臓器の構造や機能を小規模に再現する先進的モデルである一方、現時点では単独で安全性評価を完結させるものではなく、既存のin vivo試験や他のNAMsと組み合わせたWeight of Evidenceの枠組みで位置付けることが重要であると述べた。さらに、規制判断に用いるためには、想定されるContext of Useを明確化し、目的に応じた科学的妥当性を示す必要があること、PMDAにおける利用状況調査、WoEに関するEarly Consideration文書、AMED MPS RS研究班及びICH NAMsリフレクションペーパーへの関与について紹介した。

パネルディスカッションでは、NAMsのvalidation又はqualification、規制上の受入れに向けた国際調和、各国・地域におけるデータ収集及び制度設計の違いが主な論点となった。FDA及びMHRAからは、申請資料中のNAMsデータの調査に関する取組みが紹介され、各当局で利用状況を把握する動きが進んでいることが示された。一方で、NAMsの定義、調査対象及び評価対象データの範囲は必ずしも一致しておらず、国際的な比較や議論には用語及び対象範囲の共通理解が必要であることが確認された。

続くラウンドテーブルでは、産業界から、各規制当局におけるNAMsの受入れ基準や評価方針に一貫性がない場合、開発者は国際共同開発を見据えて従来の動物試験を選択せざるを得ず、NAMsの活用が進みにくいとの問題意識が示された。また、提出されたNAMsデータが規制判断にどの程度影響したかが外部から見えにくいことから、審査における受入れ事例や判断過程の透明性向上が重要であるとの意見があった。さらに、技術開発後に用途を探索するのではなく、規制当局、利用者及び開発者が早期に連携し、想定されるContext of Use、必要な性能基準、比較対象となる既存データ、限界及び不確実性の扱いをあらかじめ整理することの重要性が指摘された。規制当局側からは、NAMsは単独で結論を導く手法ではなく、科学的根拠に基づきWoEを補強するデータとして位置付け、複数のin vitro試験、既存のin vivoデータ、臨床又はヒト関連情報と組み合わせて解釈する必要があるとの考え方が共有された。

会期中には、国内外の研究者、規制当局関係者、産業界関係者等と、MPS を創薬研究、開発判断又は申請資料の中でどのように位置付けるかについて意見交換を行い、規制利用に向けた共通言語と継続的な対話の重要性を確認した。

今回の会議を通じて、MPS 及びNAMs の規制利用は現実的な検討課題となっている一方、目的適合性、科学的妥当性及び既存評価体系との整合性が不可欠であることが確認された。得られた知見は、今後の MPS 評価及び国際的な規制調和に関する検討に資するものと考えられる。