

**提出のタイプ:**

これらのデータは VGDS (IND) として提出することができた。

**理論的根拠:**

テスト結果は (図 A1 あるいは A2 の通り) 意志決定や科学的主張で使われていない。さらにこれらは研究データであり、そのために (図 A3 の通り) 推定有効バイオマーカー、あるいは既知の有効バイオマーカーいずれでもない。(このドキュメントの図 A4 の通り)、データは検証の余地ありと考えられる。

シナリオ4: IND 開発段階の間にスポンサーは2年に及ぶネズミにおける腫瘍遺伝子の分類を終え、通常腫瘍誘導に抵抗力がある腎臓に、不明瞭ながら腫瘍シグナルの存在を発見する。スポンサーは、腎臓の遺伝子発現に薬品の効果がないことを示す。明確な比較実験によって腫瘍遺伝子の既知の経路と一致する遺伝子発現プロファイルが示される。データは規制当局に対し、薬品が安全で人間に対し腫瘍形成のリスクを示さないことを主張するために用いられる。

**提出のタイプ:**

完全な報告 (IND) を要する。

**理論的根拠:**

スポンサーは例えば、薬品作用の薬理学的メカニズム、薬品投与のセレクション、薬品の安全性と効果に関する科学的主張を裏付けるために試験結果を用いている。(図 A2 の通り)。

シナリオ5: スポンサーは薬品投与と目標臓器効果との関連を算定するために、包括的な遺伝子発現分析を行なう。薬品は画期的な抗精神病薬である。スポンサーは経験上候補薬の投与制限によって腎臓を傷める一つまり潜在性の慢性かつ進行性の腎障害を引き起こすことを承知している。ファーマコゲノミック分析を使って、スポンサーは腎臓の遺伝子発現に関する信憑性ある、再生可能な影響が、ネズミと犬両方に対し30日間投与を20倍に減らしたところ発生し、明らかな組織の病的変化や腎臓の毒に対し抗毒素マーカーが変化することを発見。遺伝子発現パターンにおける比較的微妙な投与反応変化と、今後の腎機能の変化や組織の病変とを決定的に関連付ける情報が、今のところ不足している。

**提出のタイプ:**

IND に従った提出に対し、これらのデータは VGDS として提出することができた。NDA / BLA に従った提出に対し、これらのデータはシノプシスとして提出を要請され、データの VGDS が奨励される。

**理論的根拠:**

テスト結果は (図 A1 あるいは A2 の通り) 意志決定や科学的主張で使われていない。さらにこれらは研究データでありそのためにいずれも (図 A3、B2、あるいは B3 の通り) 推定有効バイオマーカー、あるいは既知の有効バイオマーカーいずれでもない。データは検証の余地ありと考えられる (このドキュメントの図 A4 あるいは B4 の通り)。

## 用語集

次の定義はこのガイドンスで概説したプロセスでの使用のためであり、全部の分野に広く適用させようというものではない。

**バイオリジカルマーカー(バイオマーカー)**: 治療的介入に対する通常の biologic プロセス、病原体のプロセス、薬理学的反応を示すものとして客観的に測定、評価される特質 (注 1)。

**ファーマコゲノミックテスト**: トランスポーター、新陳代謝酵素、レセプター、その他のたんぱく質の機能を記号化する遺伝子内の多形性変化を含めた、薬品吸収と性質 (薬物動力学)、薬品の活動 (薬力学) に関する DNA 配列における個人間の変化を研究するための分析。

**ファーマコゲノミックテスト**: 薬理学の機能と治療の反応に関わっている可能性がある遺伝子発現や、不活動化における全部のゲノムや候補遺伝子、単一ヌクレオチド の多形 (SNP) マップ、単模式種マーカー、あるいは変化の個人間変化を研究するための分析。変化のパターンやプロフィールは個々のマーカーの変化というより関連バイオマーカーである場合もある。

**有効バイオマーカー**: 十分確立した特性分析を伴った分析テストシステムで測定され、テスト結果の生理学的、毒物学的、薬理学的あるいは臨床的重要性を説明する科学的枠組みや証拠が固まっているバイオマーカー。バイオマーカーの分類は状況に応じて変わる。同じく、バイオマーカーの有効性も状況に応じ、その基準はバイオマーカーの利用法によって変わる。臨床的有效性 (例えば、毒性、有効性あるいは投与) と疫学 / 検査グループデータの使用 (例えば、遺伝子型・表現型 連合の強さ) は、特定の状況と必要な妥当性基準を決定するために用いられるアプローチの例である。

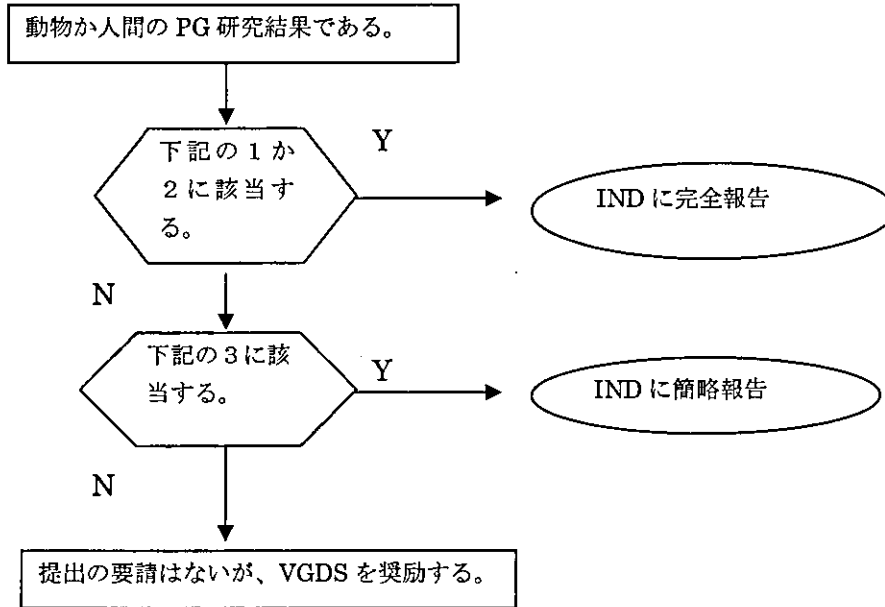
- ・**既知の有効バイオマーカー**: 十分確立された特徴分析を持つ分析的な検査システムで測定され、結果の生理学的、毒物学的、薬理学的あるいは臨床的重要性について医学や科学的界において幅広く同意を得たバイオマーカー。
- ・**推定有効バイオマーカー**: 十分確立された機能特性を持つ分析的な検査システムで測定され、テスト結果の生理学的、毒物学的、薬理学的、あるいは臨床的重要性を説明するように思われる科学的な枠組みあるいは一連の証拠があるバイオマーカー。推定有効バイオマーカーが既知の有効バイオマーカーの地位に達していないのは、例えば、次の理由のいずれかである
  - その重要性を説明するデータが一つの会社の中で生成された可能性があり、一般の科学的な精査に対して有効でない可能性がある。
  - その重要性を説明するデータはかなり示唆に富んでいるが、決定的とはいえない
  - 結果について外からの確証が得られなかった可能性がある。

**任意ゲノムデータ提出 (VGDS)**: FDA に任意に提出されたファーマコゲノミックデータの名称。

注 1 バイオマーカーの定義に関する特別調査委員会、「バイオマーカーと代理 Endpoints : 望ましい定義と概念的枠組み」、臨床薬学 & 治療学、2001 年 3 月 Vol.69, N. 3

図A: INDへのファーマコゲノミック(PG)データ提出

ファーマコゲノミック研究の報告が以下のデシジョンツリーに合わせて、ここで示したフォーマットか一連のガイダンスのとおり IND に提出されるべきである。



もし次のいずれかが適用されるなら、ファーマコゲノミックデータを § 312.23 の定めに従い IND に提出しなくてはならない。:

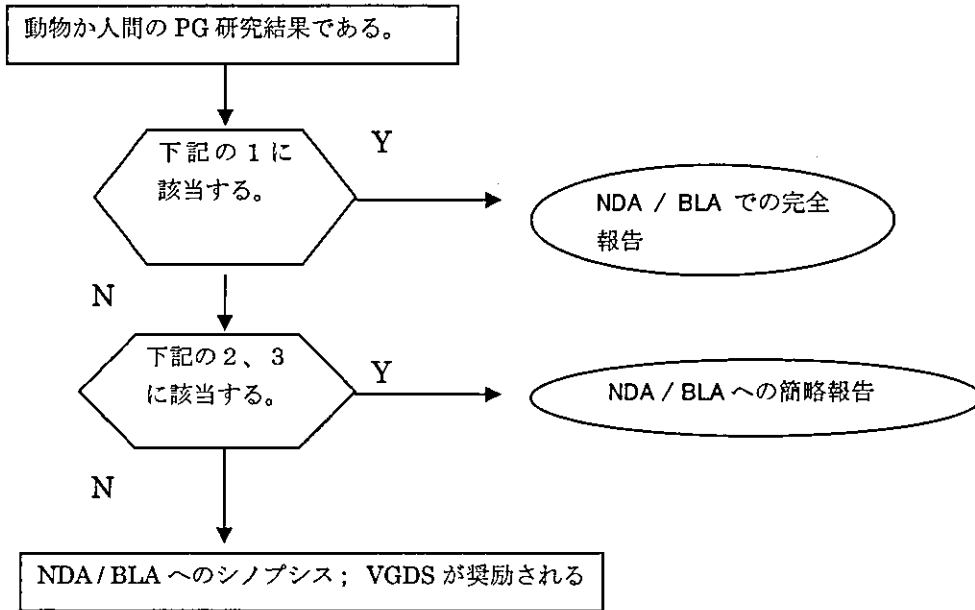
1. 検査結果は特定の臨床実験に関して、あるいは安全性を裏付けるために使われる動物実験における意志決定に利用される（例えば、結果は投与選択、臨床実験安全モニタリングへのエントリー基準、あるいは被験者分類に影響を与える）。
2. スポンサーが薬品作用の薬理学的メカニズム、薬品投与のセレクション、薬の安全性と有効性に関する科学的主張を裏付けるために検査結果を使っている。
3. 検査結果が人体における生理学的、異常生理学的、薬理学的、毒物学的、あるいは臨床状態や結果に対する既知の有効バイオマーカーを構成する、あるいは動物研究の安全結果に対する既知の有効バイオマーカー、あるいは人体の安全研究における推定有効バイオマーカーである。もしバイオマーカーに関する情報（例、人間の CYP2D6 ステータス）が上の 1, 2 の目的のために使われていないなら、その情報は簡略レポートして IND に添えて提出することができる。

IND に添えた提出は必要ないが、任意提出が奨励される（すなわち、情報が § 312.23 の基準を満たさない）のは以下の場合である

4. 情報が検証の研究から入手したものか、あるいは、細胞 / 動物 / 人での一般的遺伝子発現分析や被験者の単一ヌクレオチドの多形性（SNP）分析から得た研究データである。
5. 情報がバイオマーカーの妥当性が確立されないテストシステムの結果から成り立っている。

図B:新しい NDA、BLA、補遺 へのファーマコゲノミック(PG)データの提出

ファーマコゲノミック研究の報告は下記のデシジョンツリーのとおり、かつここで示されたフォーマットあるいは一連のガイダンスでNDAに添えて提出すべきである。



1. スポンサーは薬品のラベル、あるいは検査プロセスや完全なデータに関する情報も含めた NDA あるいは BLA の関連セクションで、完璧な提出物（簡略レポート、シノプシス、あるいは VGDS の形ではない）としての承認を裏付けるために利用される科学的データベースの一部としてテスト結果を利用する。ファーマコゲノミック検査がすでに FDA によって認可されるか、あるいは当局にファイルされる申請書の主題であるなら、テストそのものに関する情報は相互参照によって提供できる。

次の例はこのカテゴリーに合致するであろう。

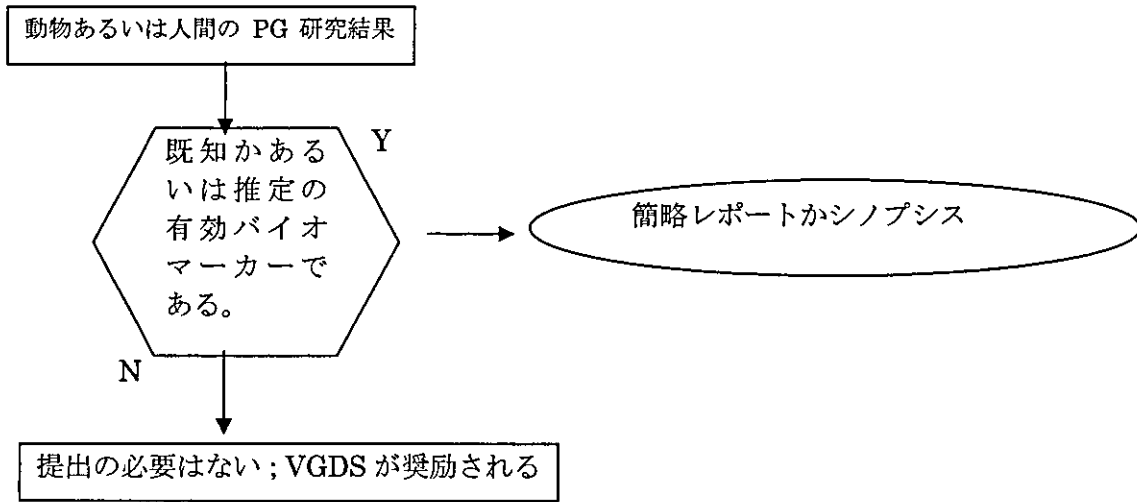
- －薬の投与、安全性、患者セレクション、あるいは有効性についてスポンサーによる科学的な議論を裏付けるために使われているファーマコゲノミック検査結果
- －スポンサーが薬ラベルに記述することを提案するファーマコゲノミック検査結果
- －薬品のラベルに記された薬の投与や安全性、効果を達成するために不可欠なファーマコゲノミック検査

2. 検査結果は関連種における生理学的、異常生理学的、薬理的、毒物学的、あるいは臨床状態や結果に対する既知の有効バイオマーカーであるが、スポンサーはこれに頼ったり、あるいはラベルに言及していない。（シノプシスあるいは VGDS としてではなく）簡略報告として当局に提出する。もしこのタイプのファーマコゲノミック検査がより大きい全体的な研究の一部として行なわれたなら、ファーマコゲノミック検査結果の報告はより大きい研究報告に取り入れられることができる。

3. 検査結果は関連種における生理学的、異常生理学的、薬理的、毒物学的、あるいは臨床状態や結果に対する推定有効バイオマーカーを表している。簡略報告として当局に提出する。もしこのタイプのファーマコゲノミック検査がより大きい研究の一部として行なわれたなら、簡略報告は全体的な研究の報告に添えることができる。

4. 広範囲の遺伝子発現診断、血清あるいは組織サンプルの収集、あるいは NDA あるいは BLA に既知か、あるいは推定有効バイオマーカーでないファーマコゲノミック検査結果などから得た情報は提出の必要はない。安全あるいは薬の有効性を決定することにおいて、当局がこれらの研究が適切であると見ないため § 314.50 あるいは 601.2 の提出必要条件は研究のシノプシスの提出によって満たされる。しかしながら、当局は VGDS における研究から得たデータの NDA あるいは BLA への任意提出を奨励する。

図C: 認可された NDA、BLA、補遺への薬理ゲノム(PG)データ提出



## 任意ゲノムデータ提出(VGDS)の処理と検討

目次  
目的  
背景  
レファレンス  
定義  
一般方針  
責任  
発効日  
付録:IPRG の組織図

### 目的

この MAPP は以下 を記述する

- ・ 学術ファーマコゲノミック審査グループ (IPRG) の役割と責任
- ・ IPRG メンバー指名の手続き
- ・ FDA 内における IPRG の構造と機能

### 背景

現在大半のファーマコゲノミックデータは今後の検証、あるいは研究を待つものであり、FDA の規則はこれらのデータを検査新薬申請書やバイオロジック認可申請に提出することを要求するものではない。しかしながら予想される今後の提出を適切に評価する準備として、FDA の科学者は以下のような関連する科学上の問題 を理解しておく必要がある。

- ・ ファーマコゲノミック検査のために、製薬業界が探求している遺伝子配置や遺伝子発現プロフィールのタイプ
- ・ 使用する検査システムとテクニック
- ・ ファーマコゲノミック検査を薬品開発と臨床結果に応用する際生じる問題
- ・ 秘密を保持しつつ膨大なファーマコゲノミックデータストリームを送信、保存、処理する能力

「ファーマコゲノミックデータ提出」に関する製薬業界ガイダンスで記したように、FDA はプログラムを実践しているスポンサーに対しファーマコゲノミックデータを、法規制によって要求されない場合でも自主的に当局に提供することを検討するよう要請している。ガイダンスは同じく任意 ファーマコゲノミックデータ提出 (VGDSs) を検討して、スポンサーとコミュニケーションし、提出物に関する審査部門にガイダンスを与えるためにクロスセンター学術ファーマコゲノミック審査グループ (IPRG) の結成を宣言し、ファーマコゲノミックデータ提出方針開発に引き続き取り組んでいく。この MAPP は IPRG に指針を与えるものである。

発行元：臨床薬理・生物薬剤部

発効日 05年3月16日

(p1)



## リファレンス

- ・製薬業界ガイダンス、「ファーマコゲノミックデータ提出」
- ・CDER MAPP 4180.3 「任意ゲノムデータ提出書類の処理と審査」
- ・CBER SOPP 8204、「任意ゲノムデータ提出書類の処理」
- ・CBER SOPP8114、「研究あるいは市場提出前に受理したドキュメントの管理加工（事前提出）」

## 定義

IPRG: Interdisciplinary Pharmacogenomic Review Group 学術ファーマコゲノミック審査グループの命名。IPRG は当局に提出したすべての VGDS の審査を監督し GDSs に関して要求があればすぐに、相談を受ける。

GDS: Genomic Data Submission ゲノムデータ提出の名称

任意 GDS (VGDS): Voluntary Genomic Data Submission 任意ゲノムデータ提出の名称

Stand alone VGDS 独立 VGDS: 既存の申請書と関連しない任意 GDS の名称。このような任意提出は、新しい事前 IND 申請に添付した提出として扱われる。

Associated VGDS 関連 VGDS: 既存の申請書（例えば、調査新薬出願 (IND)、新薬出願 (NDA)、biologics 免許申請 (BLA)、あるいは補遺）に添えて提出される任意 GDS の名称。このような情報は既存の申請書に添えて提出されるだが、法的意志決定プロセスで FDA が使うことはない。

Required GDS 要請 GDS: (関連規則毎に) 既存の申請書（例えば IND、NDA、BLA あるいは補遺）に添えて、あるいはその一部として提出を要請される GDS の名称で、法的意志決定プロセスの間に利用される。この MAPP では、通常の申請書提出に対する標準処理に従って処理される要請 GDS 提出については触れない。

## 一般的な政策

- ・FDA は研究及びマーケティング / 認可申請に基づく法的意志決定のために任意プロセスを通して提出された情報は使わない。
- ・IPRG はすべての VGDSs を審査する。
- ・審査部門は GDS 提出に関して IPRG に意見を求めることができる。
- ・要請 GDSs は関連申請書の一部である。
- ・VGDSs は当局が受領、加工して直接 IPRG に送られる。

- ・IPRG はすべての VGDS 関連の問題に関して、スポンサーと FDA 間のコミュニケーションを調整し、すべての任意提出に対する（内部および外部の）主要な窓口となる。
- ・検証のバイオマーカーが推定、あるいは既知のバイオマーカーと見られる場合、IPRG は関連問題の一般査定を許可するために ファーマコゲノミック顧問小委員会のミーティングを開催する。

#### 組織化(補遺のグラフ参照)

- ・監督—FDA 長官(OC 代表)によって任命された幹部マネージャーと CDER、CBER、CDRH のセンター室長が IPRG を監督する。
- ・場所—学際的なグループではあるが、IPRG は一時的に CDER 内の 臨床薬理・生物薬剤部内にある。
- ・IPRG メンバー
  - OC 代表から任命された議長。
  - CDER、CBER と CDRH のセンター室長によって任命された CDER、CBER と CDRH の代表者。5 人の代表者が各センターから任命される。
  - 役員秘書/プロジェクトマネージャー。議長に報告する
- ・センターエキスパート—CBER、CDER の任命により審査を担当する。緊急時を基本に、GDS の課題に応じて“臨時に”任命され審査を引き受ける。
- ・顧問小委員会—IPRG へのアドバイザーが薬品の安全性リスクマネジメント諮問委員会の下で小委員会(IPRG 顧問小委員会)に任命される。  
アドバイザーはこの分野の専門家であり、VGDS の最新技術の科学的な評価を保証する重要な任務である。

#### 責任

IPRG は VGDSs の審査に対して責任を請け負う団体である。さらに IPRG は FDA 内におけるゲノム審査の実行に関する責任も一部負う。特に IPRG が負うのは以下の責任である：

##### 一般責任

- ・ VGDS の審査と評価
- ・ VGDS の提出前後に要請があればスポンサーと会談する（MAPP 4180.3 参照）
- ・ ゲノムデータを含んだ要請提出種類に関して、要請があれば審査部スタッフの相談に応じる。
- ・ ファーマコゲノミックスを法的審査プロセスに統合して、今後のガイダンスと審査スタンダードの発展に寄与する
- ・ GDS 申請書に対する審査の実践と、品質審査システムを調和させる。
- ・ 電子フォーマットの調整を含めた VGDS の最適フォーマットの開発を調整する

- ・ 能率的で正確、ガラス張りのゲノムデータ審査を保障するために、FDA 特に CBER, CDER, Office of Combination Products 組み合わせ製品部 (OCP) 内の研修と組織を調整する。
- ・ VGDS 審査から「学んだ教訓」に関する一般討論を調整し諮問委員会の会議録を作成する。
- ・ 薬品開発における合理的なファーマコゲノミクスの原則を発展させるための重要な問題、特に法的審査プロセスに関する問題を定義する。
- ・ セミナーや印刷物を含めファーマコゲノミックデータに関する FDA の内部指導を促進する。
- ・ 月に一度会議を開いて、データ提出や他の組織上、政策上の問題を議論する。
- ・ 関連政策を確立、維持する。
- ・ IPRG の目標を促進するため特別調査委員会を設置する。
- ・ 薬品の安全性リスクマネジメント諮問委員会にトピックを提供する。

## 特殊責任

### □ OC 代表

- ・ IPRG の議長を指名
- ・ IPRG の活動に関して長官に最新情報を提供する

### □ センター室長 (CDER, CBER, CDRH)

- ・ センターの代表を指名 (各センターに対し最大 5 人まで)

### □ 議長

- ・ IPRG の活動を調整
- ・ スポンサー、HHS、産業、学术界とコミュニケーションをとる
- ・ VGDS の最終審査に署名
- ・ IPRG の活動に関して OC 代表に最新情報を提供する

### □ プロジェクトマネージャー/事務局長

- ・ 提出書類の追跡調査と分類。
- ・ 会議を開催する。
- ・ 内外の会議事項 (会議の詳細) をまとめる

### □ 審査官

- ・ 高度に専門的な分野に専門家を送る。
- ・ 審査活動に関してセンター代表に最新情報を提供する。
- ・ VGDS の審査。
- ・ 相談の要請
- ・ スポンサーに対して質問を用意する
- ・ 新たな、もしくは改善した政策を勧める
- ・ 要請 GDS に関して要請があれば審査局の相談に応じる
- ・ VGDS の審査や報告書をまとめる

### □ CDER, CBER, CDRH 代表

- ・ CDER, CBER, CDRH 審査官を指名する。
- ・ センター内の適切なチャンネルを經由して情報 (提出物、レポート、会議) を流布する。
- ・ IPRG の活動に関してセンター室長に最新情報を提供する。

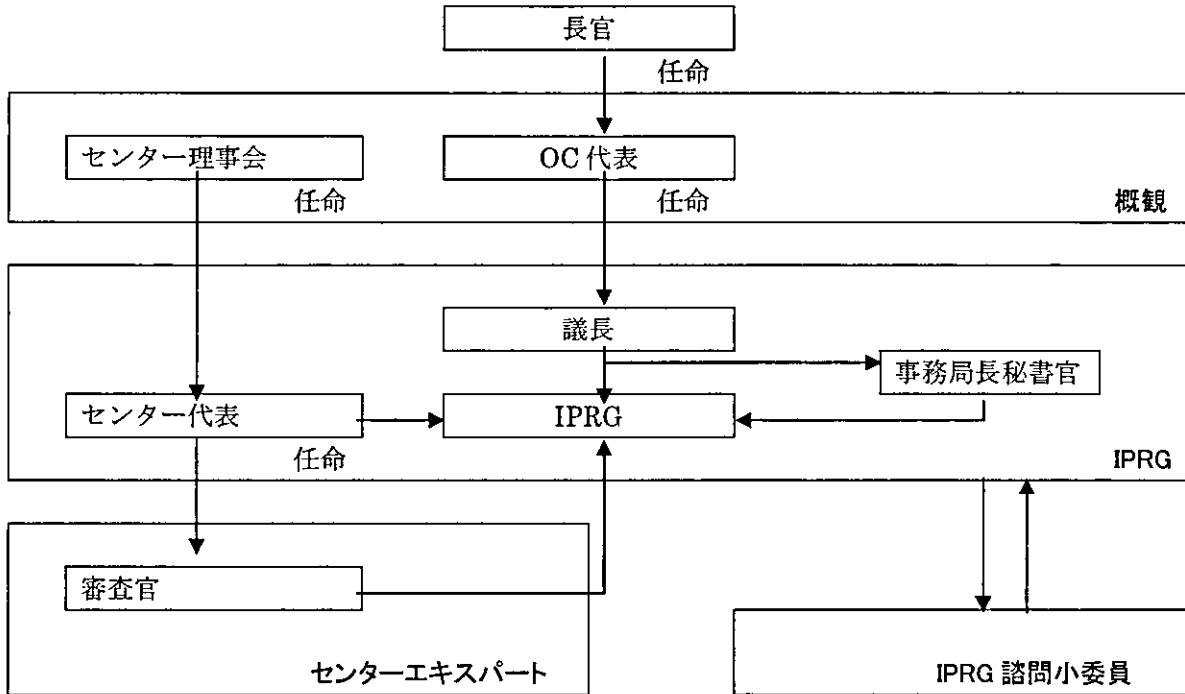
(p4)

発効日

この MAPP は発効日より効力を生ずる。

付録

IPRG 組織図



## 任意ゲノムデータ提出(VGDS)の処理と審査

### 目次

目的
背景
レファレンス
定義
一般政策
受理と処理手続き
VGDS 審査手続き
責任
発効日

### 付録

VGDS の受理と処理手続き
任意提出カバーシート

### 目的

この MAPP では、医薬品評価研究センター (CDER) がどのように食糧医薬品局 (FDA) に対して、任意ゲノムデータ提出書類 (VGDSs) を処理して、審査するかを説明する。

### 背景

当局はファーマコゲノミックデータ提出に関する最終ガイダンスを発行し、FDA へのゲノムデータ任意提出を奨励している。このガイダンスでは FDA がどのように任意提出 (すなわち、規定提出の一部として要求されない提出) を処理するか記述する。

本ガイダンスは法的意志決定プロセスの一部として使用されるものではないが、任意に提出されたデータは、FDA がゲノムデータの理解補助のために用いることを改めて強調する。

この MAPP は VGDSs がどのように当局に届き、審査、維持されるか説明するものである。

任意データ提出のコンセプトは、遺伝子情報を含んだ薬品申請の今後の検討に対し欠かせない、薬品開発データへのアクセスを目標として誕生した。そのために VGDS を検討するうえでの CDER の目標は、これを理解するのみならず、学んだ教訓をすべての利害当事者、特に FDA 内の審査部に確実に伝えることである。

## リファレンス

- ・製薬業界へのガイダンス、「ファーマコゲノミックデータ提出」
- ・CDER MAPP 4180.2、学術ファーマコゲノミック審査グループ (IPRG) の設立
- ・CBER SOPP 8204、任意ゲノムデータ提出の処理；
- ・CBER SOPP 8114、研究あるいは市場申請書提出前に受領した文書の行政処理 (事前提出)

## 定義

GDS: Genomic Data Submission ゲノムデータ提出

Voluntary GDS 任意 GDS (VGDS): 任意ゲノムデータ提出の名称。

Stand alone VGDS 独立 VGDS: 既存の申請書に関わらない任意 GDS。  
このような任意提出は新しい IND 申請書に添えた提出として取り扱われる。

Associated VGDS 関連 VGDS: 既存の申請書 (例えば (同じく IND 前の) 新しい研究新薬申請書 (IND)、新薬申請書 (NDA)、バイオロジクス許可申請書 (BLA)、あるいは補遺) に添えて提出される任意 GDS。このような VGDSs は既存の申請書に添えて提出されるが、FDA はこれを既存の申請書を基にした法的意志決定プロセスの中で使うことはない。

Required GDS 要請 GDS: 既存の申請書 (例えば IND、NDA、BLA、あるいは補遺) に添えて、あるいはその一部として提出を要請され、法的意志決定プロセスの間に用いられる任意 GDS。この MAPP では要請 GDS 提出書類には触れない。これは通常の申請書提出の標準にしたがって処理される。

IPRG: Interdisciplinary Pharmacogenomic Review Group 学術ファーマコゲノミック審査グループの名称。IPRG は当局 (IPRG の形成と責任を記述する MAPP4180.2 を参照) に提出したすべての VGDS を審査して、要請 GDSs に関しては要求あり次第相談に応じる。

## 一般的な政策

- ・VGDSs は IPRG に送られ、そこで審査される；審査部に送られたり、そこで審査されることはない。
- ・IPRG はスポンサーに報告のサマリーを送る。
- ・IPRG は適切な審査部にその報告のコピーを送る。
- ・FDA は法的意志決定を求めて、任意プロセスを通して提出された情報は利用しない。
- ・IPRG は必要に応じて、申請書を添えて提出した要請 GDS を審査する部署からの相談に応じる。

(p2)

## VGDSs の受理と処理の手続き

### 受理

- ・VGDSs はすべてこの MAPP に従い確実に処理するため、カバーシートには必ず「任意遺伝子データ提出」と題したカバーシートを添えなければならない。VGDSs として確認されなければ、提出書類は通常の申請書提出に対する標準的な処理を施される場合もある。
- ・VGDSs はすべてセントラルドキュメントルームのスタッフに受理、処理される。任意提出書類は、任意ゲノムデータ提出カバーシートによって同一であると確認できる(補遺B参照)。
- ・VGDS が書類分類室に提出された場合、それは任意ゲノムデータ提出カバーシートによって(付録B参照)同一であると確認され、それから処理のためセントラルドキュメントスペースに転送される。

### 提出書類の処理

#### 1. (既存の申請書に添えて提出されない) 独立の VGDSs :

・VGDS カバーシートが付いた提出を受理次第、中央ドキュメントルームスタッフは以下のことを行う。

- －提出物に受理した日付をスタンプする。
- －提出物にプレ IND ナンバーを設定する。
- －ドキュメントトラッキングのため企業のデータベースにデータを入力する。
- －IPRG カバーに VGDS と記すことで提出物を特定する。
- －特使を使って提出物を IPRG に送り審査を要請する。

#### 2. 関連 VGDSs (申請書確立の前に提出した):

注:既存の申請書に添えた任意提出は、申請書の状況にかかわらず受理、処理、保存、検討することができる。例えば、スポンサーは撤回された申請書に添えて任意提出をすることができる。このような提出で申請書の状況が変わることはない。

・VGDS カバーシートが付いた提出物の受理次第、セントラルドキュメントルームのスタッフは以下のことを行う

- －提出物に受理した日付をスタンプする。
  - －ドキュメントトラッキングのため企業のデータベースにデータを入力する。
  - －IPRG カバーに VGDS と記すことでこれを確認する。
  - －IPRG に特使を送って VGDS を届け、審査を要請する。
- IPRG は審査のために IPRG に送られた VGDS のログを保持する。

## VGDSs 審査の手順

### 手順

- IPRG はすべて VGDSs の審査に責任を持ち、ファーマコゲノミックデータの任意提出に関連する問題の審査プロセスの間およびその後、スポンサーとの主要な窓口を務める。
- IPRG は VGDS 関連の問題を論じるために毎月会合する。
- CDER、CBER、CDRH からの審査官は、提出物に関する熟練した審査を確保するためセンター代表者によって任命される。
- 審査プロセスを容易に運ぶために、IPRG はスポンサーと会見する（ミーティングに関するセクションに言及する）ことができる。
- IPRG は VGDS 報告をまとめる。IPRG の議長、臨床薬理・生物薬剤部（OCPB）室長やあるいはその被指名人は、報告とデータ解析との共通点や相違、そしてこうした相違がどのように解決されたか文書化することに責任を負う。
- IPRG は適切な審査部におけるすべての IPRG メンバーとプロジェクトマネジメントスタッフのチーフに、コピーで報告を DFS に入力する責任がある。
- VGDS 審査のサマリーレポートはスポンサーに送られる。
- IPRG は VGDS の受理からスポンサーの IPRG サマリーの受理まで6カ月以下の目標予定表で、なるべく早急に VGDS を審査する。
- VGDS データが研究あるいは市場申請の課題である薬品の法的検討に適用可能である場合、IPRG はスポンサーに通知し情報を要請提出として関連申請書に添え提出するよう要請する。
- もし提出が任意か要請によるものかはっきりしない場合、IPRG はスポンサーと関連審査部からの代表者でミーティング（あるいはテレビ会議）を召集し、問題となっている提出の状況の決定を補助することができる。
- IPRG は VGDSs に基づく調査結果を論じるために教育のセミナー（内部のそして一般の）、ワークショップ、諮問委員会のミーティングを組織化する。IPRG はこのような公共のミーティングで提出されたデータが適切に編集される、あるいはデータを提出する許可がスポンサーから得られることを保証する。
- IPRG は（電子および紙を問わず）すべての VGDS 書類を保管しておく。

### VGDSs に関連するミーティング

#### •IPRG との事前提出会議

VGDS の局面を論じることを望んでいるスポンサーによって、VGDS 前のミーティングを要請することができる。ミーティングの要請と認可に対しては、薬品業界のガイダンス「スポンサーおよび PDUFA（処方箋ユーザーフィー法プロダクトの申請者との正式ミーティング）」を参照。

(p4)



注: PDUFA 規則は VGDS 前のミーティングには適用できないが、その目標はタイプBミーティング予定表を使って、ガイダンスで計画した手続きに従うことである。

#### ・IPRG と会見する VGDS

審査プロセスの間に、IPRG とスポンサーの間で1回かそれ以上のミーティングを開く場合がある。

スポンサーあるいはFDAはミーティングを求めることができる。

#### ・報告提出後のミーティング

スポンサーの要請があればIPRGとのミーティングを開き、報告の調査結果を論じることができる。

### 責任

#### セントラルドキュメントルームスタッフ

- ・ 任意提出の受理と処理
- ・ 提出書類が独立VGDSの場合事前IND申請書を制定する
- ・ データをトラッキング用のコーポレートデータベースに入力する
- ・ すべての提出物（書類およびメール）をIPRGに配る

#### Division Document Room 書類分類室

- ・ VGDSカバーシートに添えた提出物を処理用CDRに転送する

#### IPRG

- ・ IPRGが受理したVGDSのログを保管する
- ・ 書面によるVGDSレポートを検討する
- ・ サマリーレポートを審査部、スポンサー、DFSのファイルレポートに送る
- ・ 必要に応じてスポンサーおよび適切な審査部と会談する
- ・ VGDS書類をすべて（書面およびメール）保存する
- ・ VGDSに関するスポンサーや関連当事者とのコミュニケーションを調整する

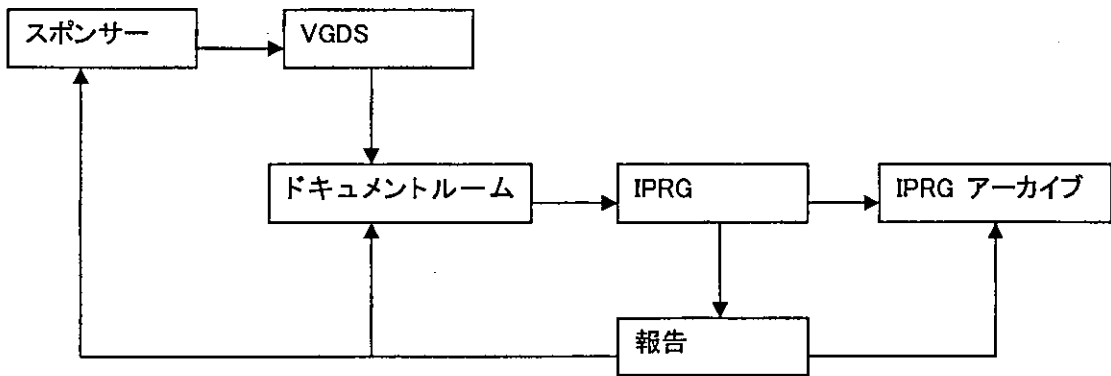
IPRGの構成や機能に関する更なる情報については、MAPP4180.2参照

#### 発効日

このMAPPは発行日より効力を生じる。

(p5)

付録A:VGDS の受理と処理のための手続き



付録B:任意ゲノムデータ提出書類カバーシート

この カバーシートを添付して、次のアドレスに CDER 任意ゲノムデータ提出書類を送ること：

FDA / CDER

セントラルドキュメントルーム (CDR)

5901-B アメンデールロード ベルツウィル、  
メリーランド、20705-1266

注意！

任意

ゲノムデータ提出書類

申請書ナンバー\_\_\_\_\_ (これが独立 VGDS への最初の提出であるなら空白のまま)

\_\_\_\_\_最初の提出

\_\_\_\_\_次の提出

CDR で処理した後に直接 IPRG (HFD - 850) に発送のこと！

## 製薬業界および FDA スタッフへのガイダンス

### クラス II 特別規制ガイダンス: 薬品代謝酵素遺伝子型システム

2005 年 3 月 10 日発行

このドキュメントに関する問い合わせは 240-276-0443 コートニー・ハーパー宛てか、またはメールアドレス [courtney.harper@fda.hhs.gov](mailto:courtney.harper@fda.hhs.gov) まで

CDRH

医療機器・放射線保健センター

アメリカ厚生省

食品薬品局

医療機器・放射線保健センター

生体内診断評価分析事務局および化学毒物装置安全部

拘束力なき勧告