

# PMDA薬事戦略相談の現状と課題

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

Pharmaceuticals and **M**edical **D**eVICES **A**gency (**PMDA**)

審査マネジメント部長 中山智紀

# 本日の内容

1. **PMDAの業務**
2. **薬事戦略相談の事業内容**
3. **薬事戦略相談の活用**

# 本日の内容

1. **PMDAの業務**
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. 薬事戦略相談の活用

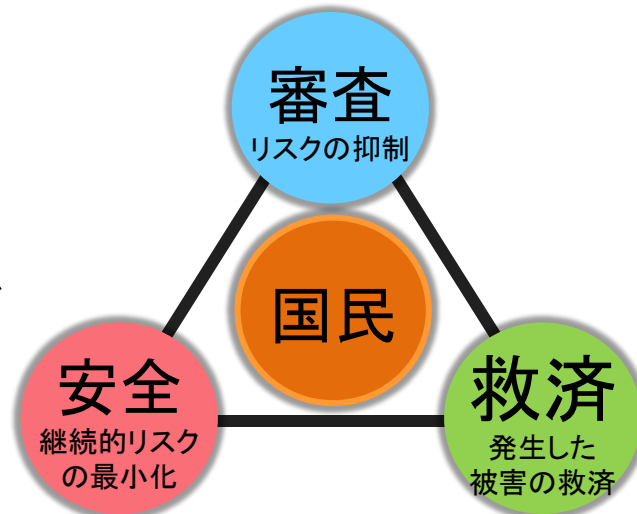
# PMDAとは

PMDA(独立行政法人医薬品医療機器総合機構)は、

- 国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することを目指して、医薬品医療機器法に基づく医薬品・医療機器等の承認審査及び安全対策、並びに健康被害救済の3つの業務を行う厚生労働省所管の独立行政法人
- このような業務を行う組織は日本\*ではPMDAだけ

\* PMDAと同様の組織は、米国ではFDA(米国食品医薬品局)、欧州ではEMA(欧州医薬品庁)がある

国民の安全を守る  
世界に誇る薬事システム



日本独自のセイフティ・トライアングル  
～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～

# PMDAの3大業務

## 健康被害救済

医薬品の副作用や生物由来製品を介した感染等による健康被害に対して、迅速な救済を実施

## 承認審査

医薬品や医療機器等の品質・有効性・安全性について、治験前から承認まで一貫した体制で開発への助言・審査を実施

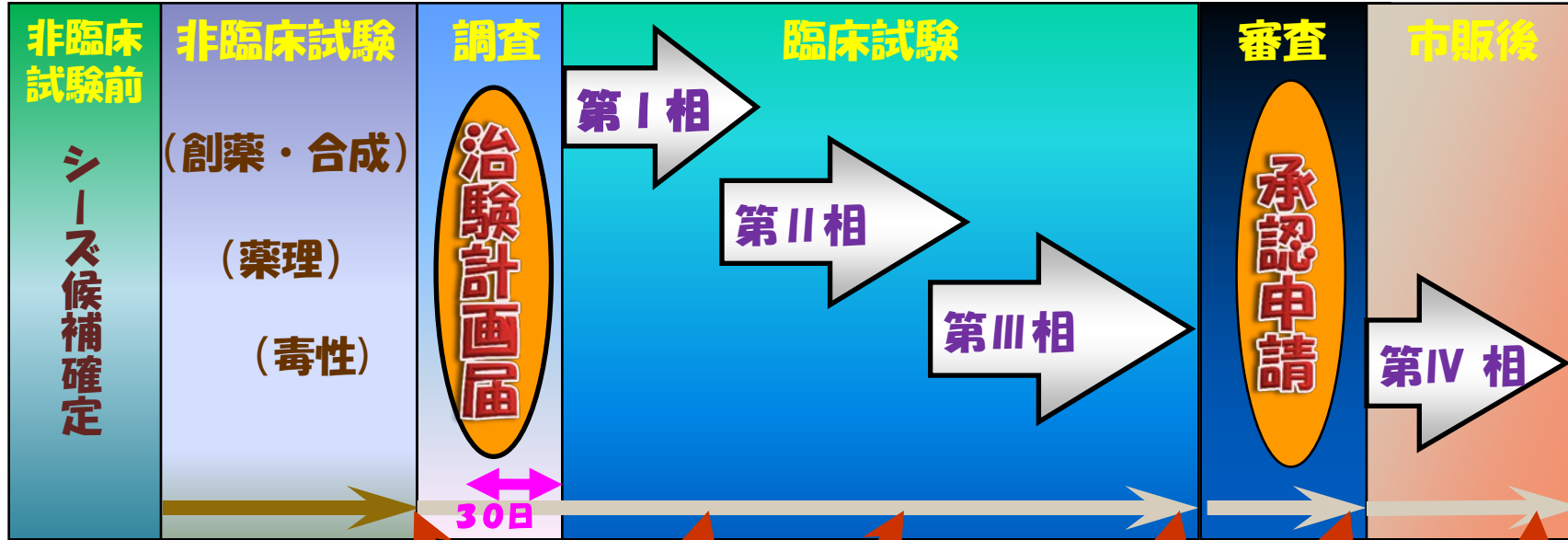
## 安全対策

市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を実施

# 本日の内容

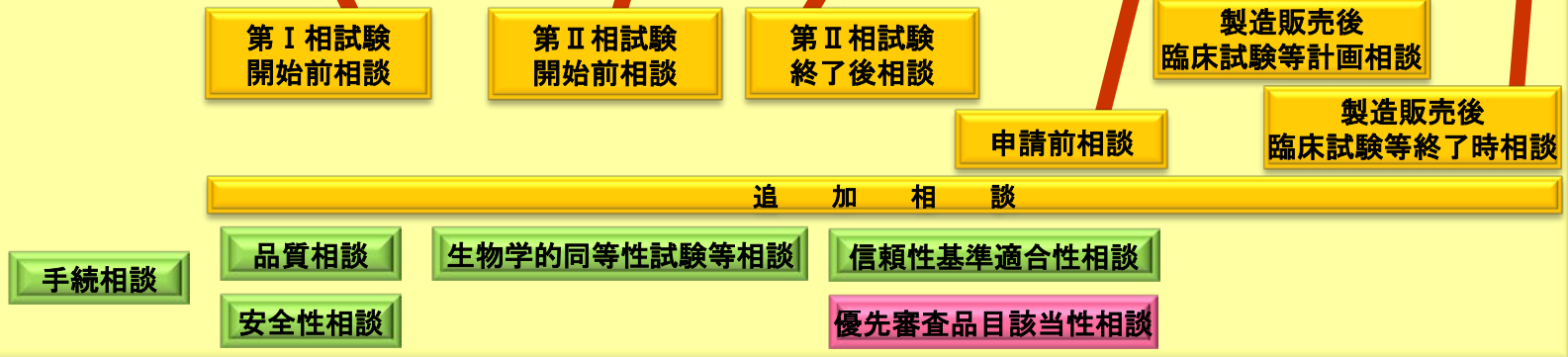
1. PMDAの業務
2. **薬事戦略相談の事業内容**
3. 薬事戦略相談の活用

# PMDAが行う対面助言(各種相談)



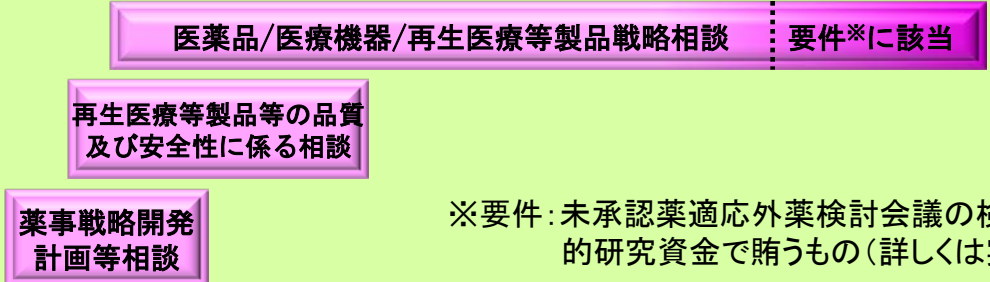
主に製薬企業向け

治験相談(医薬品)



主にアカデミア・ベンチャー向け

薬事戦略相談



※要件: 未承認薬適応外薬検討会議の検討又は選定品目であって、治験費用を公的研究資金で賄うもの(詳しくは実施要綱を確認してください)。

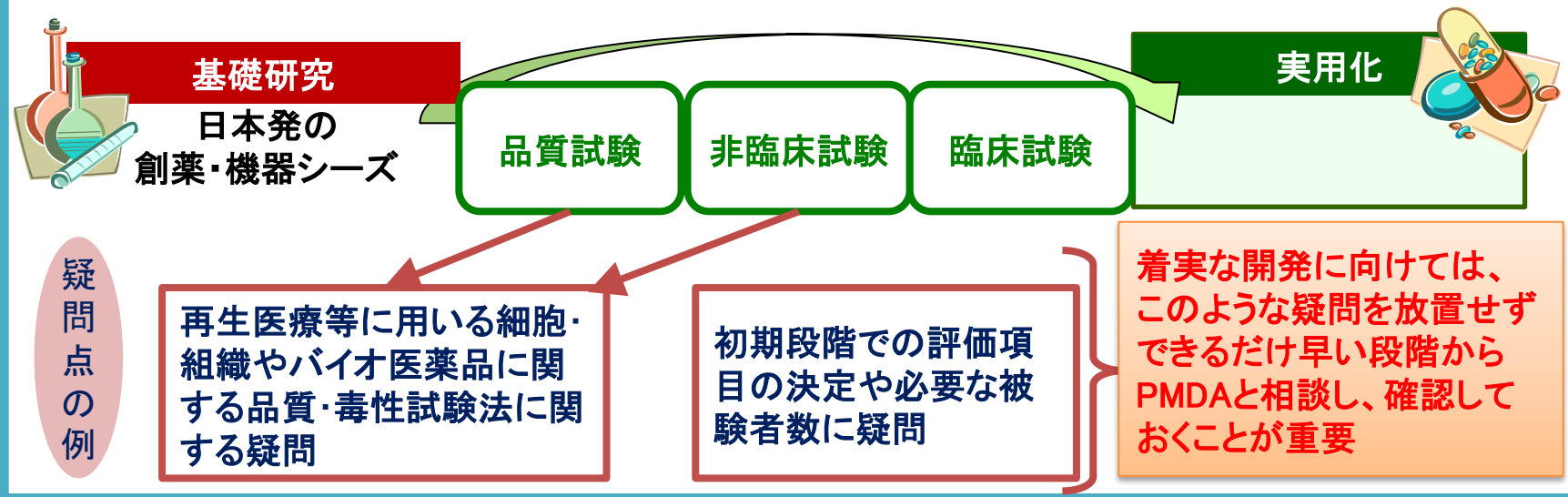
# 死の谷(Death Valley)へのPMDAの取組

## 薬事戦略相談

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な試験・治験に関する指導・助言を実施するものとして、H23年7月1日より開始

基礎研究から実用化に向けては様々な課題があり、課題解決に向けた審査当局との早期相談が重要である。

例えば、品質や毒性データ等を適切に収集しておらず、臨床試験が実施できないというケース、革新的な医薬品・医療機器で、品質・安全性・有効性の評価方法が確立しておらず、開発者等で検討した独自の評価方法を用いて臨床試験等を実施しても、品質・安全性・有効性が十分に確保ができたか、評価ができないことから、承認審査が迅速に行えないケースなどがある。

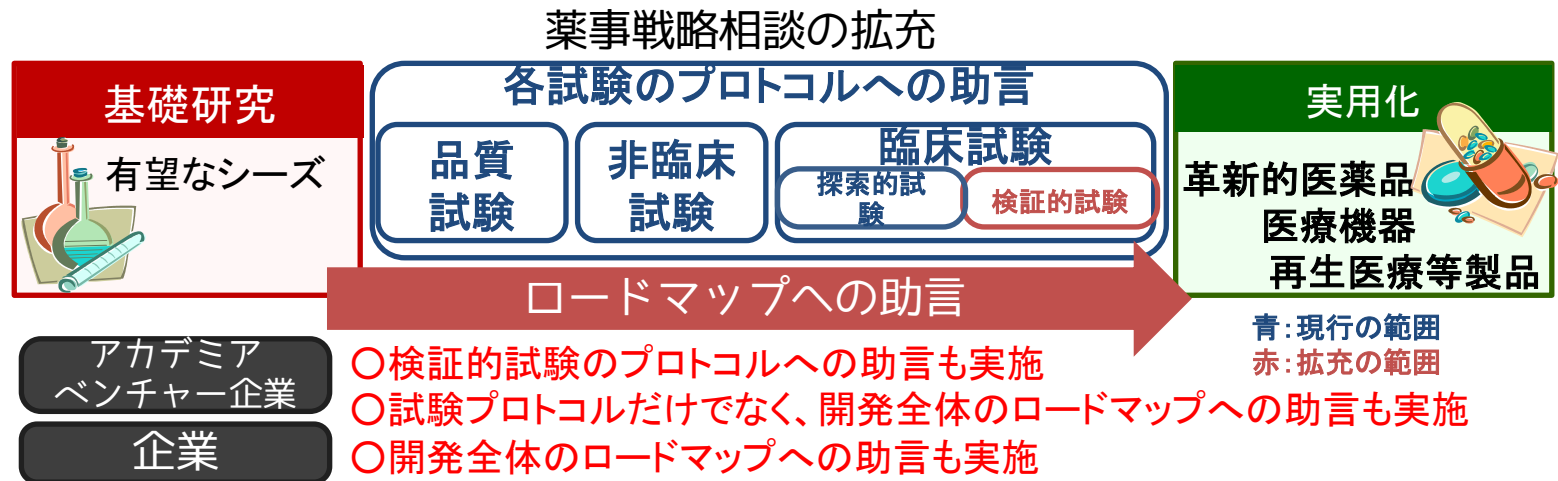


※設置当初から、臨床試験は主に臨床開発初期(POC(Proof of Concept)試験(前期第Ⅱ相試験程度)まで)を対象



## 開発ラグ解消支援に向けて(最近の動き)

- 以下のとおり薬事戦略相談の相談区分の拡充・見直しを行い、**平成26年11月**から実施。
  - ・検証的試験プロトコルへの助言として、一定の要件を満たす医療上の必要性の高い品目の場合には、**アカデミアが主導する第Ⅱ/Ⅲ相、第Ⅲ相の検証的試験**も、試行的に薬事戦略相談の対象とする。
  - ・ロードマップへの助言として、モノの特性に応じた**開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関する助言のみ**を対象とする「**薬事開発計画等戦略相談**」を試行的に創設する。
  - ・**再生医療等製品の相談区分**を、医薬品・医療機器から独立して設定。



# 薬事戦略相談のプロセスとその関係1



シーズの実用化の道筋について相談したい

論点整理

科学的議論  
(記録は1ヶ月目処に確定)

事前面談  
(無料)

対面助言  
(有料)

大学・研究機関  
ベンチャー企業

自分のシーズが薬事戦略相談に馴染むのか確認したい

相談内容の整理のためテクニカルエキスパートが主として対応。  
必要に応じて審査チームも同席します。

主として審査チームとテクニカルエキスパートが相談に対応。  
必要に応じて当該分野の外部専門家が同席します。

個別面談  
(無料)

・必要な資料が整ってからの面談申込みをお願いします。また、面談申込みから面談実施までは2~3週間程度の準備期間が通常、必要となります。

事前面談に向けて、薬事戦略相談課のテクニカルエキスパートが、薬事戦略相談事業の手続きや事業の内容を説明します。



# 個別面談と事前面談

## 個別面談(手数料不要)

- 薬事戦略相談事業の理解を深めてもらうため、薬事戦略相談の詳細や、研究内容やシーズ等を踏まえた承認取得に向けての懸念点等の相互理解に関する面談
- 相談1回当たり、20分程度とする。
- 相談記録は作成しない。

## 事前面談(手数料不要)

- 薬事戦略相談については、あらかじめ、相談範囲・論点の整理、データ等の確認、承認申請等に係る一般的なアドバイス等に関して事前に面談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録は作成しない。

# 対面助言と薬事開発計画等戦略相談

## 対面助言(手数料必要)

- 事前面談に引き続き、一定の要件を満たすものについては、提出された資料に基づき、現在得られているデータをもとに、今後の治験の実施、承認申請に向けての課題の整理や、具体的な指導・助言を行う。
- 相談1回当たり2時間程度とする。
- 相談記録を作成する。

## 薬事開発計画等戦略相談(手数料必要)

- 開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関して、個別品目に対する事前調査を必須としない案件の相談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録を作成する。

# 対面助言の相談手数料

相 談 区 分	1申込当たりの 相談手数料
医薬品戦略相談※1	1,541,600円 (154,100円)※2
医療機器戦略相談※1、3	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品戦略相談※1	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品等の品質及び 安全性に係る相談※1、4	1,541,600円 (154,100円)※2
薬事開発計画等戦略相談※5	73,600円

※1: 1回当たりの相談時間は2時間程度

※2: 別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業の場合。

※3: 体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談にて対応。

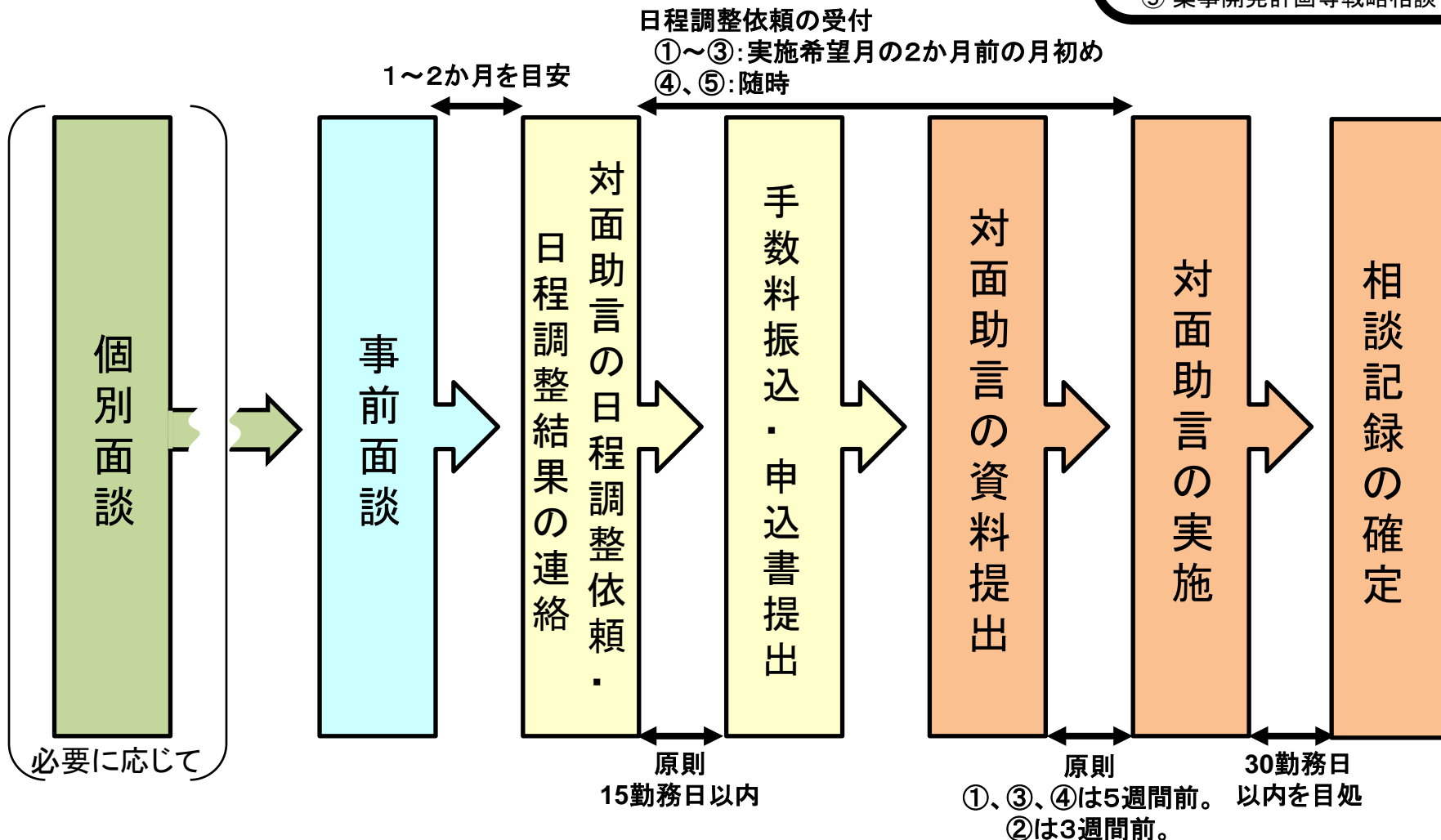
※4: 1申込で複数回の対面助言が可能。

※5: 1回当たりの相談時間は30分程度。

# 薬事戦略相談のプロセスとその関係2

## 【対面助言の種類】

- ① 医薬品戦略相談
- ② 医療機器戦略相談
- ③ 再生医療等製品戦略相談
- ④ 再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談
- ⑤ 薬事開発計画等戦略相談



- ✓ 実際の日程調整依頼の受付日、対面助言の資料搬入日は、ホームページで確認してください。
- ✓ 対面助言の日程調整依頼書の提出に関しては、対面助言資料の準備状況も考慮してください。

# 薬事戦略相談の実施状況

個別面談／事前面談	平成23年度 (注1)	平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度 (9月末)	合計
個別面談 (うち関西支部実施 <sup>(注2)</sup> )	118	302	237 (20)	271 (63)	80 (30)	1,008 (113)
事前面談 (うち関西支部実施 <sup>(注2)</sup> )	153	254	346 (26)	325 (57)	171 (26)	1,249 (109)

対面助言	平成23年度 (注1)	平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度 (9月末)	合計
医薬品戦略相談	20	28	66	48	19	181
医療機器戦略相談	6	5	38	16	5	70
再生医療等製品戦略相談 <sup>(注3)</sup>	-	-	-	2	2	4
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談 <sup>(注4)</sup>	5 [7]	7 [13]	19 [32]	18 [44]	8 [16]	57 [112]
薬事開発計画等戦略相談 <sup>(注5)</sup>	-	-	-	1	0	1
合計	31 [33]	40 [46]	123 [136]	85 [111]	34 [42]	313 [368]

注1: 薬事戦略相談事業は、H23.7.1から実施。

注2: H25.10.1から実施。

注3: H26.11.25から実施。(それまでは医薬品戦略相談又は医療機器戦略相談として実施。)

注4: H26.11.24まで医薬品戦略相談として受付けたものを含む。また、[ ]内の数値は、再生医療等製品等に係る治験計画の届出を行う前に、当該製品の品質及び安全性に係る十分な確認を行うために必要な範囲で、複数日に渡って相談を行ったものを、個別に計上した場合の延べ件数。

注5: H26.11.25から実施。

# 本日の内容

1. PMDAの業務
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. **薬事戦略相談の活用**



# 相談項目の立て方のイメージ

例えば、革新的製品で、  
有効性や安全性の評価方法について、  
既存の評価方法がない場合



このような有効性の評価方法を開発したが、この方法で証明できれば、有効性があると考えてよいか？

現時点では適切な指標はないので、最終的には、対象疾患の標準治療法との比較をすることを予定している。この考え方で問題ないか？

## 相談者に対するお願い

- 相談対象となる製品の内容、これまでに得られているデータ、今後得る予定のデータ、それらデータの利用方法、予定している効能・効果や用法・用量を明確にして、相談資料を作成してください。
- 相談の際には、相談者が懸念する課題と対応方法を具体的に示し、相談者としてその方法が適切と考える理由を明確にしてください。
- 以上の相談内容を論理的な文章にまとめて、相談資料を作成し、必要に応じて図表を用いてください。また、数値や結果の根拠資料については、添付資料としてください。

## 相談者に対するお願い(続き)

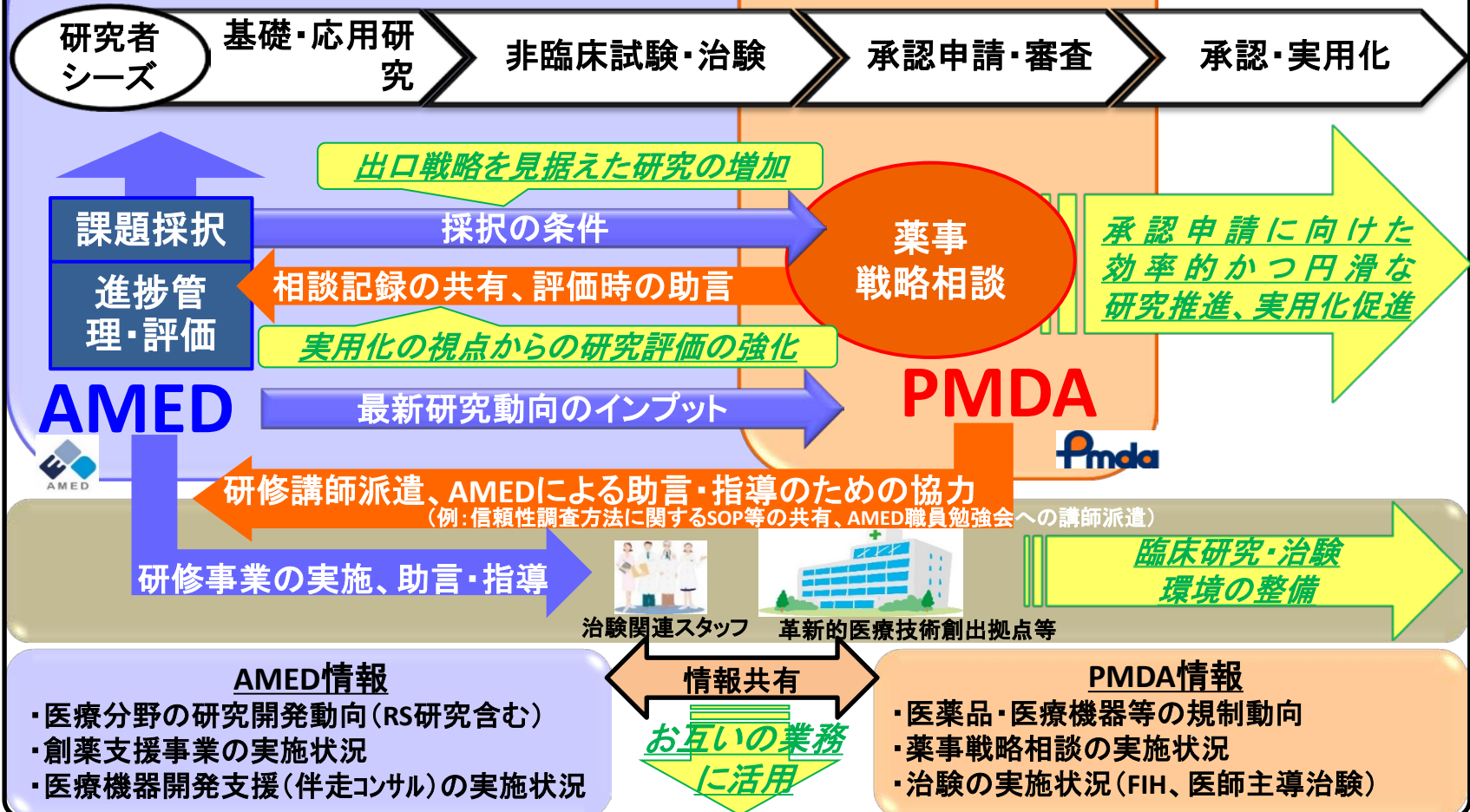
- 相談内容は漠然とした内容、例えば、相談者が作成した治験実施計画全般について懸念される点を意見してほしいといった相談事項は対応できませんので、ご注意ください。
- 課題や懸念点、それらへの対応方法が明確になっていない場合には、内容確認に時間を要し、有意義な議論、意見交換ができない場合があります。
- 特に、開発初期段階の相談では、承認申請にあたって新たな毒性試験は不要などといった確定的な意見を述べるのが難しい場合があることをご理解ください。

# AMED—PMDAの連携強化について 平成27年8月19日連携協定締結

革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出を効率的に進めるためには、規制方針を踏まえた研究開発戦略の構築、最新の研究開発の動向を踏まえた合理的な規制の実現が必要である。

このため、本邦発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMEDによる医療分野の研究開発の推進業務等、PMDAによる審査・相談業務等についてそれぞれの使命や責務を果たしつつ、それぞれが持つ知識や経験を相互に活用する。

## AMEDによる委託研究課題



# AMED—PMDA連携協定の内容（H27.8.19締結）

## 1. 薬事戦略相談の活用

○AMEDが採択した研究のうち、実用化段階に移行するものについては、薬事戦略相談を受けることを採択の条件とする。 →出口戦略を見据えた研究の実施増

## 2. AMEDの研究評価への協力

○AMEDが採択した研究の中間評価等において、PMDAは薬事戦略相談の結果を踏まえて、AMEDが求める内容についてコメントを出す。 →実用化の観点からの研究評価の質の向上

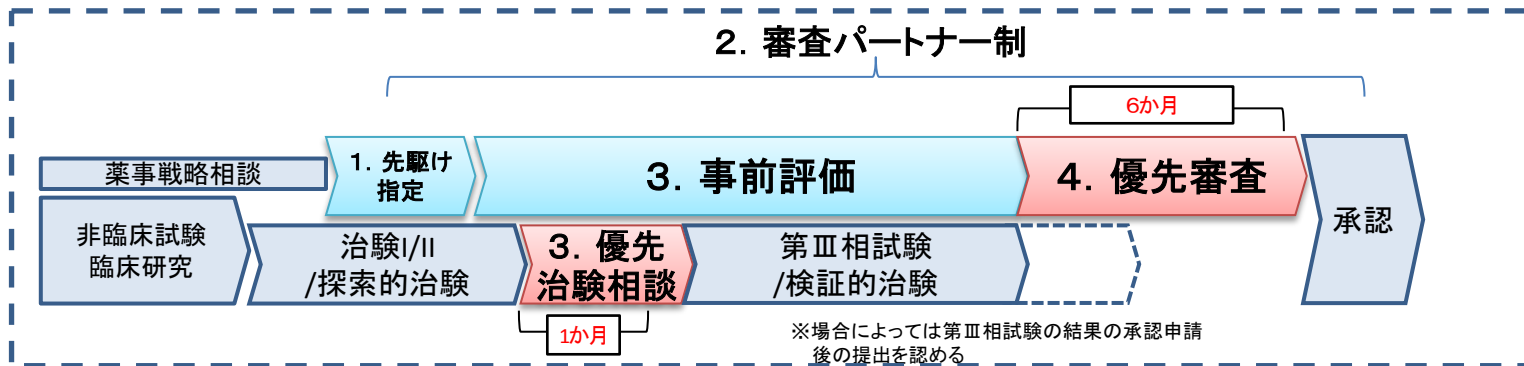
## 3. 臨床研究・治験環境整備に関する相互協力

○臨床研究の質向上及び治験環境整備を目指し、AMEDが各研究代表者や革新的医療技術創出拠点等に対して行う助言・指導が適切に行われるよう、PMDAの助言ノウハウ等を適宜情報共有するなど、適切に連携する。

## 4. 情報の共有

○AMEDが持つ医療分野の研究開発動向や、PMDAが持つ医薬品・医療機器等の規制動向など、お互いが持つ情報を共有し、それぞれの業務に活用する。

# 先駆け審査指定制度とPMDAにおけるアクション



先駆け審査指定制度の運用にあたり、PMDAにおける具体的アクションは以下のとおり。

## 1. 先駆け指定に際し、

- ・厚労省からの依頼を受け、新薬・医療機器等審査各部が、先駆け指定基準のうち、画期性、対象疾患の重篤性、対象疾患に係る極めて高い有効性への該当性の評価を行う。（具体的手続き、タイムフレーム、書類等については医薬品は平成27年4月、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品は平成27年7月に厚生労働省が通知発出。）
- 医薬品について、厚生労働省において平成27年5月に指定希望品目を公募したところ56品目の登録申込があり、予備的審査を経て50品目が正式に指定申請され、PMDAにおいて評価を行った後、平成27年10月27日付けをもって6品目が指定された（次スライド参照）。指定品目はPMDAのHPに掲載。
- 医療機器等については、平成27年9月14日～10月7日に指定希望品目を公募し、現在、予備的審査を実施中。

## 2. 審査パートナー制(コンシェルジュ)に関し、

- ・コンシェルジュ業務等を行う部長クラスの職員（先駆け審査業務調整役）及び担当職員を配置した。

## 3. 治験相談・事前評価に関し、

- ①優先相談の見直し：先駆け審査指定品目は、優先対面助言品目として取扱う。
- ②事前評価の充実：先駆け総合評価相談を新設し、申請予定資料の事前の評価等を行う。（医薬品は平成27年5月15日、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品は平成27年9月14日に相談枠を設置。）

## 4. 優先審査に関し、

- ・コンシェルジュによる管理のもと、適切に優先審査（調査）を実施。

## 医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧

指定を受けた 医薬品の名称	指定を受けた 申請者	指定を受けた 予定される効能又は効果
シロリムス(NPC-12G)	ノーベルファーマ株式会社	結節性硬化症に伴う血管線維腫
NS-065/NCNP-01	日本新薬株式会社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)
S-033188	塩野義製薬株式会社	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症
BCX7353	株式会社Integrated Development Associates	遺伝性血管浮腫(HAE)の患者を対象とした 血管性浮腫の発作の管理
ASP2215	アステラス製薬株式会社	初回再発又は治療抵抗性のFLT3遺伝子変異陽性 急性骨髄性白血病
ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	MSD株式会社	治癒切除不能な進行・再発の胃癌

※指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品等が必要とされる場合には併せて対応を行う。

PMDAについて

**安全性情報・回収情報等** (添付文書などの医薬品・医療機器等の情報を調べる)

訪問者別ナビゲーション  
おすすめのコンテンツをご案内します

一般の方向け

医療従事者向け

アカデミア向け

企業向け

製品種類別ナビへ切替

製造販売を行いたい

申請を行いたい

PMDAが行うその他の手続きについて知りたい

医薬品・医薬部外品の申請

医療機器・体外診断用医薬品の申請

再生医療等製品の申請

受付業務について

審査関連業務

安全対策業務

健康被害救済業務

レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方

国際活動 (ICH・IMDRF等)

このページをよくみるページ一覧に追加する 本文のみ印刷する

ホーム > 審査関連業務 > 相談業務 > 薬事戦略相談

審査関連業務

審査関連業務の概要

相談業務

対面助言・事前面談(治験相談・簡易相談)

薬事戦略相談

個別面談

## 薬事戦略相談

PMDAでは、平成23年7月より、日本発の革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出に向けて、シーズ発見後の大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、医薬品等候補選定の最終段階から主に臨床開発初期(POC(Proof of Concept)試験(前期第Ⅱ相試験程度)まで)に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談への指導・助言を行う「薬事戦略相談」を実施しています。

また、再生医療等製品及びヒトの体内で導入遺伝子を発現させることを意図した製品であって、予防を目的とするもの(ただし、再生医療等製品に該当するものを除く。例:遺伝子組換え生ワクチン)については、開発初期段階からの品質及び安全性に係る指導・助言も行っています。

**【詳しい内容はPMDAホームページでご確認ください】**

**ご静聴ありがとうございました**