

## 業務及び組織の全般にわたる検討の結果並びに講ずる措置の内容（案）

近年、新型コロナウイルス感染症に対する mRNA ワクチンや、ソフトウェア機能が搭載された記録媒体であるプログラム医療機器（SaMD）をはじめとする、これまで前例の無かった革新的な医薬品や医療機器などが申請・承認されており、医薬品や医療機器などにおけるテクノロジーの発展が加速している。

また、アカデミア・ベンチャー企業発シーズが起点となることが世界的な潮流となっており、海外で承認されているにも関わらず、日本では承認されていない国内未承認薬について、日本で薬剤の開発に着手すらされないという問題が生じている。この問題は「ドラッグロス」と称されており、医療機器における同様の「デバイスロス」の可能性とともに、新たな患者アクセスの課題と捉えられている。

こうした状況を踏まえ、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「機構」という。）において、国の政策を実現するための実施機関として、めまぐるしい社会の変化に対応し、有効かつ安全で革新的な医薬品や医療機器などの迅速な承認審査及び安全対策の充実・強化を図るとともに、医薬品等を使用して健康被害に遭われた方の迅速な救済のための適切な施策を講じることが非常に重要であり、機構の業務運営の更なる効率化及び質の向上を図るべく、以下の方向で見直しを行う。

### 第1 事務及び事業の見直し

#### I 健康被害救済給付業務

##### 1 救済制度に関する周知広報

第4期中期目標期間においては、「救済制度に関する広報及び情報提供の拡充」として、医療関係者の救済制度への理解を深めるため、医療系教育機関の教員・学生等に対する周知活動を実施するとともに、国民の制度利用を促進するための周知に向けた各種取組を実施してきた。

救済されるべき健康被害者が確実に救済されるためには、引き続き、より多く国民の方々に救済制度を知ってもらうことが必要不可欠である。

加えて、患者が救済制度を利用する上で、医師と円滑にコミュニケーションを取ることが重要となることから、患者に寄り添う立場である看護師やソーシャルワーカー等を含めた幅広い医療関係者への制度周知も行っていく必要がある。

こうした状況を踏まえ、救済制度の確実な利用に結びつけるため、引き続き広報活動の積極的展開を図る。

## 2 救済給付事務の効率化

第4期中期目標期間において、「請求事案の迅速な事務処理の実施」として、救済給付事務の改善、効率化を図ってきたが、より適正かつ迅速な救済を行うため、更なる業務効率化を図る必要がある。

また、救済給付の請求にあたっては、請求書のほか診断書、投薬・使用証明書等提出すべき書類が多く、請求者にとって大きな負担となっている。

こうした状況を踏まえ、救済給付の請求・届出のオンライン化や、請求書類の合理化・縮減を行い、請求者・受給者の負担軽減及び業務効率化の推進を図る。

## II スモン患者等に対する給付業務

スモン患者及び血液製剤による HIV 感染者等に対する受託支払業務並びに特定フィブリノゲン製剤及び特定血液凝固第IX因子製剤によるC型肝炎感染被害者に対する給付業務等の実施に当たっては、個人情報に特に配慮しつつ、引き続き着実に業務を実施する。

## III 審査業務

### 1 より効率的で質の高い承認審査

第4期中期目標期間においては、医薬品、医療機器、再生医療等製品等の審査業務の迅速かつ適切な実施のため、世界最速レベルの審査期間の堅持と一層の質の向上、先駆的医薬品等指定制度や条件付き承認制度等の適切な運用等に向けた各種取組を実施してきた。

今後は、引き続き世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、申請電子データ等の活用や承認審査に係るオンライン化の推進を通じて、より効率的で質の高い承認審査を行う。

また、イノベーションの早期実用化支援を強化するため、学会との連携や先端技術の情報収集等の新イノベーションに対して先回りして開発環境の整備を図る。

これらに加え、引き続き製造管理及び品質管理の基準（GMP）に関する調査の質の向上等に向けた、都道府県を含めた関係者との積極的な取組に加え、国際的な取組へ

の協力を行い、医薬品、医療機器等の品質確保を図る。

## 2 ドラッグロス・デバイスロスの解消

近年においては、海外で承認されているにも関わらず、日本で開発が着手されていない医薬品・医療機器のうち、ベンチャー企業発や、希少疾病用・小児用といった患者ニーズの高い医薬品・医療機器の割合が比較的多くなっている状況である。

「経済財政運営と改革の基本方針 2023」（令和5年6月16日閣議決定）においても、「小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する」と盛り込まれたところである。

こうした状況を踏まえ、希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの患者ニーズの高い医薬品・医療機器等の早期承認の支援体制の強化を図る。

## 3 プログラム医療機器の承認審査体制の強化

プログラム医療機器の開発はこれまでの医療機器開発企業と異なる他業種が主流となっている面もある。そのため、その特殊性に応じた相談・審査体制を別途構築し、開発から薬事申請へのきめ細かなガイドやサポート等を行うことが必要不可欠である。

「経済財政運営と改革の基本方針 2023」においても、「プログラム医療機器の実用化促進に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を図る」と盛り込まれたところである。

こうした状況を踏まえ、医療現場のニーズに応えるイノベーションの早期実用化支援の強化や、承認・上市までの更なる予見性の確保と伴走型支援を行うため、プログラム医療機器の相談・審査体制の強化を図る。

# IV 安全対策業務

## 1 安全性情報の収集

第4期中期目標期間においては、「副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価の実施」として、医療機関報告の充実のための普及啓発活動の推進や、患者からの副作用情報の安全対策への活用に向けた各種取組を実施してきた。

医薬品や医療機器の副作用等情報については、平成20年頃は年約3万件程度であった企業からの医薬品に係る国内副作用報告が令和4年度は年7万件余りに達し、

医療機器についても同様に年約4千件程度から約3万件弱に達するなど、増加傾向にある。

このような状況の中、より効率的で着実な副作用等の可能性を検出する仕組みが必要であるため、医療機器等の製品特性に応じた情報収集を効果的に行うための検討や、医薬関係者及び患者からの電子的な報告の推進による情報収集の効率化、患者・医薬関係者からの情報収集の更なる強化を図る。

## 2 安全性情報の分析

先述の通り、医薬品や医療機器の副作用等情報が増加の一途にある状況において、副作用等情報の分析にはより効率的かつ着実な情報分析の仕組みの構築が必要である。

また、医療情報データベース（MID-NET）等のリアルワールドデータを活用した薬剤疫学的評価もより一層積極的に活用していくことが重要であり、リアルワールドデータを活用した課題設定・課題解決を適切な手法で検証できる専門能力・知識を有する人材の育成・確保が必要である。

こうした状況を踏まえ、機構の安全性情報の分析・リスクマネジメント能力の向上のため、リアルワールドデータに基づく薬剤疫学的分析の活用推進による安全対策の質の向上、副作用報告の集計・分析評価等におけるDXの推進による業務の質の向上と効率化に引き続き取り組む。

## 3 安全性情報の提供

第4期中期目標期間においては、「医療関係者、患者・一般消費者への安全性情報の提供と講じた安全対策措置のフォローアップ」として、リスクコミュニケーションの強化及び医薬品リスク管理計画を含む安全性情報の医療現場における更なる活用の推進に向けた各種取組を実施してきた。

ヘルスリテラシーの向上に寄与し、安全対策の実効性向上や適正使用推進に資するため、今後も引き続きリスクコミュニケーションの強化、情報提供の充実が必要である。

こうした状況を踏まえ、電子お薬手帳等を活用した一般向け情報提供や、医薬関係者向け情報提供のより効果的な周知と更なる利活用を促進し、引き続き安全対策の強化・充実を図る。

## V レギュラトリーサイエンスの推進

第4期中期目標期間においては、レギュラトリーサイエンスの推進による審査業務・安全対策業務の質の向上のため、外部機関との協力・連携によるレギュラトリーサイエンス研究の実施や、包括的連携協定を締結し、人事交流や長期派遣研修等を進めてきた。

今後は、さらなる審査業務・安全対策業務の質の向上のため、企業・アカデミアとの科学的議論をリードできる人材の育成や、最先端科学技術の積極的な情報収集及び評価が重要であることから、引き続き、人材力の強化、科学的エビデンスの充実・強化、発信力の強化を図る。

## VI 国際化の推進

昨今の新型コロナウイルス感染症の蔓延を含めた医薬品・医療機器等をめぐる国際状況を俯瞰すると、医薬品・医療機器等が国際的に流通する外交的・戦略的物資としての側面を有することが明らかになり、機構が医薬品等の実用化を国際的に支援・貢献することが、我が国の医薬品アクセス・保健衛生の向上のために必要不可欠な要素となっていく。

「経済財政運営と改革の基本方針 2023」において、「臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化」が盛り込まれたところであり、薬事規制調和の加速に向け、アジア地域における協力基盤の整備及び日本の薬事規制に係る知識・経験を提供するアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターの活動を強化するため、アジア拠点の整備を図る。

また、「ドラッグロス・デバイスロス」対策として、海外のベンチャー企業等に対する我が国の薬事制度の理解に資する積極的な情報発信と、海外のベンチャー企業等が機構に相談しやすい体制を強化するため米国拠点の整備を図る。

これらに加え、我が国国民の迅速な医薬品・医療機器等へのアクセス・保健衛生の向上に貢献するため、米国 FDA、欧州 EMA、WHO、OECD 等との連携強化、ICH、PIC/S、IMDRF、ICMRA 等における多国間協力への一層の貢献を図る。

## 第2 組織に関する見直し

医薬品・医療機器等の科学技術の進歩を見据え、世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器等の実用化の促進に向けた取組を実施するため、機構の中立性等に十分配慮しつつ、専門性の高い有用な人材の効率的な育成・確保を図るとともに、必要な体制の強化を図るなど、業務運営体制の継続的な見直しを行う。

### 第3 業務全般に関する見直し

#### I 業務運営の効率化

各種業務における業務プロセスの見直しを図るとともに、DXを始めとするデジタル技術の活用に関する取組を実施することにより、業務運営の更なる効率化及び質の向上を図る。

#### II 内部統制の強化

リスクの未然防止のため、引き続き組織横断的にリスク情報の共有化に取り組むとともに、不測の事態の発生に際して迅速かつ的確に対応する。

また、拡大した組織を適切に運営するためのガバナンス体制を維持するため、管理部門の強化を図る。

#### III 人材の育成・確保

職員一人一人の成長と組織のパフォーマンスの向上を目的に、専門性を高めるための外部機関との交流を含め計画的かつ中立性に配慮した人材確保及び人材育成を行う。

また、職員の生産性向上に向けた、ワークスタイルや執務環境の改善等に取り組む。

#### IV 財務ガバナンスの強化

医薬品等の各種申請件数や市場の状況の見通し及び、機構全体の経費の執行状況を的確に把握し、適切な収入見積り及び、厳格な予算執行管理を実施することで、将来にわたって持続的で長期に安定した財政運営の確立に一層努める。

#### V 情報セキュリティの強化

デジタル庁が策定した「情報システムの整備及び管理の基本的な方針」（令和3年

12月24日デジタル大臣決定)に則り、引き続き情報システムの適切な整備及び管理を行う。

また、「政府機関等のサイバーセキュリティ対策のための統一基準群」(令和5年7月4日サイバーセキュリティ戦略本部)を踏まえ、サイバーセキュリティ対策を強化する。

以上