

## 独立行政法人医薬品医療機器総合機構中期目標

独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号。以下「通則法」という。）第 29 条第 1 項の規定に基づき、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「機構」という。）が達成すべき業務運営に関する目標（以下「中期目標」という。）を次のとおり定める。

令和 6 年 2 月 22 日

厚生労働大臣

武見 敬三

### 第 1 政策体系における法人の位置付け及び役割

#### 1 法人の使命

機構は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法（平成 14 年法律第 192 号）において、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、迅速な救済を図り（健康被害救済）、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性について、治験前から承認までを一貫した体制で指導・審査し（承認審査）、市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を行う（安全対策）ことを通じて、国民保健の向上に資することを目的としている。

また、機構は、厚生労働省が医薬品・医療機器等行政にかかる権限を行使する上での重要な根拠を提供する役割を担っており、国の施策を実現するためには、機構による、最新の科学的知見に基づく根拠の提供が非常に重要である。

#### 2 現状と課題

機構は、医薬品・医療機器等の「健康被害救済」、「承認審査」及び「安全対策」の 3 つの業務を行う日本唯一の組織であり、これら 3 つの業務を一貫して実施する世界でもまれな仕組み（セイフティ・トライアングル）により、医薬品・医療機器等の開発から実用化までを通じたライフサイクル全般を通して、国民の健康・安全の向上に貢献している。

また、薬学をはじめ、工学、獣医学、毒性学などといった多岐にわたる専門人材が在籍しており、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性について、最新の科学に基づき多角的に評価している。

他方、科学力の向上や国際化に向けた対応を行うとともに業務の質の向上を図るため、組織体制の充実や人材育成等が必要である。

加えて、デジタル技術を活用した業務の効率化及び組織規模に応じた適切なガバナンス体制の確保が必要であることから、管理部門の強化が必要である。

#### 3 法人を取り巻く環境の変化

近年、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かかわらず、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「ドラッグロス」の問題などが生じており、新たな医薬品等アクセスの課題と捉えられている。

また、新型コロナウイルス感染症に対する mRNA ワクチンや、プログラム及びこれを記録し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、これまで前例のなかった革新的な医薬品・医療機器等が申請・承認されており、医薬品・医療機器等におけるテクノロジーの発展が加速している。

こうしたことを踏まえ、機構は、国民保健の向上及び保健衛生の対策に資するという目的の下、第5期中期目標期間においては、機構が実施する業務の質の確保を図りつつ、医薬品・医療機器等のテクノロジーの発展を見据え、より一層、国の医薬品・医療機器等における施策の企画立案及び推進に資する健康被害救済、承認審査及び安全対策の3つの業務を効果的かつ効率的に実施するものとする。

（別添）「政策体系図」及び「機構の使命等と目標との関係」

## 第2 中期目標の期間

通則法第29条第2項第1号の中期目標の期間は、令和6年4月から令和11年3月までの5年間とする。

## 第3 国民に対して提供するサービスその他の業務の質の向上に関する事項

通則法第29条第2項第2号の国民に対して提供するサービスその他の業務の質の向上に関する事項は、次のとおりとする。なお、本事項における目標の単位項目1～4をそれぞれ一定の事業等のまとまりとする。

### 1 健康被害救済給付業務

健康被害救済給付業務（以下「救済業務」という。）については、医薬品副作用被害救済制度及び生物由来製品感染等被害救済制度（以下「救済制度」という。）をより多くの方々に周知し、医薬品若しくは再生医療等製品の副作用又は生物由来製品若しくは再生医療等製品を介した感染等による健康被害を受けられた方々に対し、適正かつ迅速な救済を行うことが重要である。

このため、以下の目標を設定する。

#### （1）救済制度に関する広報及び情報提供の拡充

医薬品等の副作用等により健康被害に遭われた方が、救済の必要な時に確実に救済制度を利用することができるようにするための広報を積極的に行うこと。

#### （2）迅速な事務処理の実施

- ① 救済給付の請求事案について、正確かつ迅速な事務処理を図ること。
- ② 請求書類の不備等により処理に時間を要する事案を減らし、業務の効率化を図ること。

### 【評価における指標】

中期目標期間の各年度において全請求件数の65%以上を6か月以内(請求から支給・不支給決定までの期間)に処理すること(令和4年度実績 90.2%)。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

前中期目標期間中の実績等を踏まえ指標を設定する。

## (3) 請求者及び受給者の負担軽減策の実施

## (4) 救済給付業務の効率化等の推進

## (5) 審査部門及び安全対策部門との積極的な連携

救済部門は救済業務における請求事例について、個人情報に配慮しつつ、医学的観点及び薬学的観点から適切な評価を行い、得られた情報を審査部門や安全対策部門と適切に共有すること。

## (6) 保健福祉事業の着実な実施

### 【重要度：高】

医薬品等の副作用等により健康被害に遭われた方の救済を正確かつ迅速に行う必要がある。

### 【困難度：高】

先進的な医薬品が次々と承認され、医療は高度化の一途をたどっている。また、高齢化の進展に伴い、多剤服用等により副作用発生頻度の高い高齢者の増加も見込まれる。このため、医学・薬学的判断のための調査業務が高度化、複雑化し、難解な請求事案が一層増加することが予測される。

請求事例の困難度及び請求件数を自らコントロールすることができない救済制度の運営において全請求件数の65%以上を6か月以内に処理することは、極めて困難度が高い。

## 2 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を適切に実施すること。

## 3 審査等業務

審査等業務については、国民が国際的水準にある医薬品・医療機器等を安心して用いることができるよう、より良い医薬品・医療機器等をより早く安全に医療現場に届ける

ため、医薬品・医療機器等の審査の迅速化・効率化を図り、世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、審査の質の向上等を図る。また、これらを適切かつ円滑に実施するため、引き続き厚生労働省と緊密な連携を取りつつ、各種施策を進めることが重要である。

このため、以下の目標を設定する。

## (1) 医薬品審査業務の迅速かつ適切な実施

### ① 新医薬品審査関係

ア 世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、効率的で質の高い審査を行うこと。

イ Early consideration<sup>(注1)</sup>の発信や最新の科学的知見に基づく臨床評価ガイドラインの策定などイノベーションに的確に対応した相談及び審査を実施すること。

ウ 希少疾病用医薬品、小児用医薬品など患者ニーズの高い医薬品について、実用化の支援を図ること。

エ 海外開発先行の革新的医薬品について、日本での開発・導入に着手しやすくなる環境の整備と情報発信の強化を図ること。

オ パンデミック等に対応できる緊急時相談及び審査体制を構築すること。

(注1) 情報等が十分に収集されていない段階ではあるものの、イノベーションの実用化と革新的な医薬品等の開発促進の参考情報として、その時点における開発の方向性に係る審査側の考え方を示したもの。

### ② ジェネリック医薬品等審査関係

ア 医療用医薬品の安定供給確保へ貢献するための迅速な審査の実施及び一層の質の向上を図ること。

イ 国内外の新たなガイドラインの作成への貢献と相談業務の着実な実施を図ること。

### ③ 一般用医薬品、医薬部外品審査関係

ア ニーズに適合した一般用医薬品等の開発に貢献するための申請区分<sup>(注2)</sup>の考え方の明確化並びに迅速な審査の実施及び一層の質の向上を図ること。

イ 新たな相談区分の設定及び既存相談の充実を図ること。

(注2) 医薬品の承認申請について(平成26年11月21日薬食発1121第2号 医薬食品局長通知)に定めるものを指す。

### ④ 信頼性保証関係

ア 適合性調査を効率的に実施すること。

イ 国内治験の支援及びリアルワールドデータ<sup>(注3)</sup>等への適切な対応を図ること。

(注3) 実臨床の環境において収集された安全性・有効性の評価に係る各種電子的データ。

### ⑤ 品質管理関係

ア GMP<sup>(注4)</sup>実地調査を充実させること。

イ 無通告査察を着実に実施すること。

ウ 新しい製造技術に対する的確に対応すること。

エ 都道府県等の職員への教育支援の充実を図ること。

オ 医薬品の品質に係るリスクコミュニケーションの促進を図ること。

(注 4) 医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理に関する基準 (Good Manufacturing Practice の略)。

### 【評価における指標】

- 1 分野ごとに申請から承認までの審査期間等の目標値を**別紙のとおり**設定する。
  - 2 審査業務の質の向上に関して、以下の取組を行う。
    - (1) 先駆的医薬品指定品目<sup>(注5)</sup>に関する相談、レギュラトリーサイエンス<sup>(注6)</sup>戦略相談 (以下「RS 戦略相談」という。)等の申込みに対して、全件相談に対応すること (令和4年度実績 全件実施)。
    - (2) 治験相談及び RS 戦略相談の申込みのうち 80%について、対面助言終了後から 30 勤務日以内に記録の確定を行うこと。
- (注 5) 開発の比較的早期の段階から、承認に係る優先相談・優先審査を実施する先駆的医薬品等指定制度の対象として指定された、一定の要件を満たす画期的な新薬等。
- (注 6) 科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価及び判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

- 1 分野ごとの申請から承認までの審査期間については、前中期目標期間中の実績等を踏まえ指標を設定する。目標水準については、世界最速レベルの審査期間を堅持するため、前中期目標期間と同様の水準を設定する。
- 2 審査業務の質の向上及び迅速化を図るため、相談業務等についても、前中期目標期間中の実績等を踏まえ指標を設定する。目標水準については、医薬品におけるテクノロジーの発展が加速する中で、前中期目標期間の水準を維持し続けることが重要であることから、前中期目標期間と同様の水準を設定する。

## (2) 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

### ① 医療機器審査関係

- ア 世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、効率的で質の高い審査を行うこと。
- イ 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を図ること。
- ウ 承認までの更なる予見性確保と情報発信の強化を図ること。
- エ プログラム医療機器の特性や新規性を踏まえた相談及び審査体制の強化を図ること。
- オ パンデミック等に対応できる緊急時相談及び審査体制を構築すること。

### ② 体外診断用医薬品審査関係

- ア 迅速な審査の実施と一層の質の向上を図ること。
- イ 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を図ること。
- ウ 遺伝子パネル検査及びコンパニオン診断システムへの対応を充実させること。
- エ 承認までの更なる予見性確保と情報発信の強化を図ること。

- オ パンデミック等に対応できる緊急時相談及び審査体制を構築すること。
- ③ 再生医療等製品審査関係
- ア 世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、効率的で質の高い審査を行うこと。
- イ 革新的技術を利用した開発品目に対応できる人材を育成すること。
- ウ 実用化の支援と情報発信の強化を図ること。
- ④ 信頼性保証関係
- ア 適合性調査を効率的に実施すること。
- イ 国内治験の支援及びリアルワールドデータ等への適切な対応を図ること。
- ⑤ 品質管理関係
- ア QMS<sup>(注7)</sup> 実地調査を充実させること。
- イ 単回使用医療機器の再製造品目に対する的確に対応すること。
- ウ 医療機器不具合報告等を基にした安全対策の充実を図ること。
- エ 登録認証機関における認証業務の質の向上を図ること。
- オ GCTP<sup>(注8)</sup> 実地調査の充実及び細胞培養加工施設に対する調査を実施すること。
- (注7) 医療機器及び体外診断用医薬品の製造販売業者等における製造管理及び品質管理の基準 (Quality Management System の略)。
- (注8) 再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準 (Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice の略)。

## 【評価における指標】

- 1 分野ごとに申請から承認までの審査期間の目標値を別紙のとおり設定する。
  - 2 審査業務の質の向上に関して、以下の取組を行う。
    - (1) 先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品指定品目に関する相談、医療機器等条件付き承認制度<sup>(注9)</sup>に係る開発前相談、RS 戦略相談等の申込みに対して、全件に対応すること (令和4年度実績 全件実施)。
    - (2) RS 戦略相談の申込みのうち80%について、対面助言終了後から30勤務日以内に記録の確定を行うこと。
- (注9) 重篤で有効な治療方法等が乏しい疾患を対象とする革新的な医療機器等で承認申請に必要な臨床データの収集が困難なものについて、申請前に得られる限られた臨床データでは明らかにならないリスクへの対応を厳重に行うことを前提として、当該医療機器等を早期に承認する制度。

## 【目標の設定及び水準の考え方】

- 1 分野ごとの申請から承認までの審査期間については、前中期目標期間中の実績等を踏まえ指標を設定する。目標水準については、世界最速レベルの審査期間を堅持するため、前中期目標期間と同様の水準を設定する。
- 2 審査業務の迅速化及び質の向上を図るため、相談業務についても、前中期目標期間中の実績等を踏まえ指標を設定する。目標水準については、医療機器等におけるテクノロジーの発展が加速する中で、前中期目標期間の水準を維持し続けることが

重要であることから、前中期目標期間と同様の水準を設定する。

### (3) レギュラトリーサイエンスの推進による業務の質の向上

- ① 人材力の強化
  - ア 包括的連携協定締結機関などの外部機関との人事交流等を活用し、臨床現場等の状況を理解した人材を育成すること。
  - イ レギュラトリーサイエンス業務への関与等を通じたディスカッションをリードできる人材を育成すること。
- ② 科学的エビデンスの充実・強化
  - ア 研究へのエフォート増加等による、組織としての研究遂行能力の強化を図ること。
  - イ 審査及び相談上の課題を組織の検討課題として集約し、部門横断的に検討できる体制を確立すること。
- ③ 発信力の強化  
レギュラトリーサイエンス研究の成果を英語論文、報告書等として発信すること。

#### 【評価における指標】

外部との意見交換や研修等の人材力の強化に資する機会の充実を図り、レギュラトリーサイエンスの推進に向けた環境整備及び体制を確立すること。

#### 【目標の設定及び水準の考え方】

人材力及び科学的エビデンスを充実・強化させることにより、審査・相談の質の高度化及び審査の効率化を図るため、指標を設定する。

### (4) 国際化の推進

- ① 国際的リーダーシップの発揮
  - ア 国際的なリーダーシップを獲得すること。
  - イ 国際的な規格基準の作成及び規制調和活動の積極的な推進を図ること。
- ② 二国間協議の強化とアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターの充実強化
  - ア 欧米、アジア諸国等との連携強化を図ること。
  - イ アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを通じた日本の薬事規制の知識及び経験の提供活動の強化を図ること。
  - ウ 二国間協議を通じた日本の審査結果の受入れの推進を図ること。
  - エ 再生医療等製品に関する日本規制モデルの受入れの推進を図ること。
  - オ 日本の GxP<sup>(注10)</sup> 調査結果の相手国における受入れの推進を図ること。  
(注10) 医薬品等の非臨床試験・臨床試験の実施や製造管理・品質管理等に関する基準 (Good x Practice の略)。
- ③ 機構の業務内容・実績の世界への発信
  - ア 日本の薬事制度、相談制度等の機構の業務内容に関する情報発信を強化すること。

イ レギュラトリーサイエンス推進活動に関する情報発信を強化すること。

ウ 日本の薬事行政に関する取組等について、実績や経験等に基づく効果的な情報発信を強化すること。

### 【評価における指標】

アジア諸国等の規制当局の要望も踏まえた各種セミナーによる効果的なトレーニング機会を継続的に提供するため、アジア諸国等複数国向けに年5回以上のトレーニングセミナーを開催（審査業務又は安全対策業務に関して実施した延べ数）し、かつセミナー受講後のアンケートにおける受講者の満足度が5段階評価で3（Good）以上の割合が延べ75%以上を達成すること（令和4年度実績 トレーニング開催数 20回（複数国向け9回、特定国向け11回）、受講者の満足度が5段階評価で3（Good）以上の割合100%）。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

アジア諸国等の規制当局担当者を対象としたセミナーを実施し、受講者の満足度及び理解度を高めることにより、日本の薬事規制への理解促進、日本の審査結果の受入れ推進等へつなげるため、指標を設定する。目標水準については、前中期目標期間中の実績等を踏まえ、前中期目標期間を超える水準を設定する。

### 【重要度：高】

- 1 医薬品・医療機器等の迅速な審査の実施について、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消やプログラム医療機器の実用化促進に向けた支援等を図りつつ、世界最速レベルの審査期間を堅持する必要がある。
- 2 これまで前例の無い革新的な医薬品・医療機器等について、最新の科学的知見を踏まえ、個々の製品の特性に応じた品質、有効性及び安全性を評価し適正な規制を行うため、レギュラトリーサイエンスの推進が重要である。
- 3 日本発の医薬品、医療機器等の国際展開の拡大を念頭に、国レベルでの信頼関係の構築・強化を図るため、審査・安全対策における科学的評価を行う機構においても諸外国の規制当局と信頼関係を構築するとともに、積極的な国際貢献を行う必要がある。

### 【困難度：高】

- 1 速やかな審査と業務の質の向上を両立させるためには、審査を効率的に行うのみならず、開発段階から治験相談等を実施し、申請品目の理解や問題点の把握に努めることや、審査部門の多面的な活動によるレギュラトリーサイエンスの推進が必要であり、困難度が高い。

特に、プログラム医療機器については、これまでの医療機器開発企業と異なる他業種による開発が主流となっているため、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であり、困難度が高い。



- 2 諸外国と信頼関係を構築するためには、個々に要望や状況が異なる相手に配慮しつつ、国及び機構としてのベネフィットと同時に、相手のベネフィットも確保する「Win-Win」の関係を構築する必要がある。さらに、今後は各国の規制当局との関係強化だけでなく、海外のベンチャー企業等に対する「ドラッグロス」解消などに向けた取組が求められ、困難度が高い。

#### 4 安全対策業務

安全対策業務については、国民が国際的水準にある医薬品・医療機器等を安心して用いることができるよう、医薬品・医療機器等をより早く安全に医療現場に届けるとともに、医薬品・医療機器等が適正に使用されることを確保し、保健衛生上の危害発生の防止及び発生時の迅速かつ的確な対応を行うことが重要である。

また、条件付き早期承認制度、緊急承認制度<sup>(注11)</sup>等の医薬品・医療機器等の早期承認を進める制度が整備される中、国民が安心して世界最先端の医薬品・医療機器等の恩恵を受けられるように、安全対策業務の一層の質の向上と高度化を推進する必要がある。

このため、以下の目標を設定する。

(注11) 緊急時において、安全性の確認を前提に、医薬品・医療機器等の有効性が推定されたときに、条件や期限付の承認を与える迅速な薬事承認の制度。

##### (1) 副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価の実施

- ① MID-NET<sup>®</sup><sup>(注12)</sup>等の医療情報データベースを活用した薬剤疫学調査に基づく安全性評価の推進を図ること。
- ② 副作用・不具合報告の迅速な整理・評価を実施すること。
- ③ 医療機関報告の充実のための普及啓発活動の推進を図ること。
- ④ 患者からの副作用情報の安全対策への活用を図ること。

(注12) 機構が運営する医療情報データベースシステムのこと。協力医療機関が保有する電子的な医療情報を収集、分析システムを構築し、安全対策への利活用を進める。

##### (2) 医療関係者並びに患者及び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

- ① 最新の電子化された添付文書の確実な提供を図ること。
- ② 一般消費者や患者に必要な情報を分かりやすい形で発信するなど、リスクコミュニケーションの強化を図ること。
- ③ RMP<sup>(注13)</sup>を含む安全性情報の医療現場における更なる活用推進を図ること。

(注13) 開発から市販後までの一連のリスク管理についてまとめた文書（医薬品リスク管理計画書（Risk Management Plan）の略）。

##### (3) 審査部門及び救済部門との連携

- ① 市販後安全対策の視点で審査時の安全性評価・リスク管理計画の策定等を行うとともに、審査時の論点を市販後安全対策に活かすことで、審査段階から製造販売後までの一貫した安全対策につながるよう、審査部門との連携を図ること。

- ② 救済業務における請求事例について、個人情報に十分配慮しつつ、安全対策に活用できるよう、救済部門との連携を図ること。

### 【評価における指標】

- 1 医療機関からの医薬品・医療機器等の副作用・不具合報告に係るフォローアップ調査について、調査が必要と判断される全ての報告に対して実施すること。
- 2 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和35年法律第145号）第68条の10の規定に基づき報告された医薬品・医療機器等の副作用・不具合情報等を報告から4か月以内にラインリストとして公表すること。
- 3 国が発出した医薬品等の添付文書改訂の指示書について、発出から2日以内にホームページに掲載すること。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

医薬品・医療機器等の副作用・不具合情報等の収集並びに評価及びその結果に基づく安全対策の措置が迅速かつ確実に実施されるための指標として設定する。目標水準については、画期的な効果を有し、重篤な疾患、高度な手技に使用される新医薬品・新医療機器等が増加する中で、前中期目標期間の水準を維持し続けることが重要であることから、前中期目標期間と同様の水準を設定する。

## (4) レギュラトリーサイエンスの推進による業務の質の向上

- ① 人材力の強化
  - ア 包括的連携協定締結機関などの外部機関との人事交流等を活用し、臨床現場等の状況を理解した人材を育成すること。
  - イ レギュラトリーサイエンス業務への関与等を通じたディスカッションをリードできる人材を育成すること。
- ② 科学的エビデンスの充実・強化
  - ア 研究へのエフォート増加等による、組織としての研究遂行能力の強化を図ること。
  - イ 審査及び相談上の課題を組織の検討課題として集約し、部門横断的に検討できる体制を確立すること。
- ③ 発信力の強化  
レギュラトリーサイエンス研究の成果を英語論文、報告書等として発信すること。
- ④ 医療情報の更なる活用への貢献
  - ア MID-NET<sup>®</sup>のデータ規模の拡充及び利便性の更なる向上を図ること。
  - イ 医療情報の標準化、品質管理等に関する情報を発信すること。

### 【評価における指標】

外部との意見交換や研修等の人材力の強化に資する機会の充実を図り、レギュラトリーサイエンスの推進に向けた環境整備及び体制の確立を行うこと。また、製薬企業からのニーズの聴取等を行い、MID-NET<sup>®</sup>の利活用者の利便性の向上及び安定運営に向

けた検討・見直しを行うこと。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

人材力と科学的エビデンスの強化及び医療情報の更なる活用により、市販後安全対策の質の高度化及び効率化を図るため、指標を設定する。

### (5) 国際化の推進

#### ① 国際的リーダーシップの発揮

ア 国際的なリーダーシップを獲得すること。

イ 規制調和活動の積極的な推進を図ること。

#### ② 二国間協議の強化とアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターの充実強化

ア 欧米、アジア諸国等との連携強化を図ること。

イ アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを通じた日本の薬事規制の知識及び経験の提供活動を強化すること。

ウ 二国間協議を通じた日本の規制手法の受入れ推進を図ること。

#### ③ 機構の業務内容・実績の世界への発信

ア 日本の薬事制度、相談制度等の機構の業務内容に関する情報発信を強化すること。

イ レギュラトリーサイエンス推進活動に関する情報発信を強化すること。

ウ 日本の薬事行政に関する取組等について、実績や経験等に基づく効果的な情報発信を強化すること。

### 【評価における指標】

アジア諸国等の規制当局の要望も踏まえた各種セミナーによる効果的なトレーニング機会を継続的に提供するため、アジア諸国等複数国向けにおいて年5回以上のトレーニングセミナーを開催（審査業務又は安全対策業務に関して実施した延べ数）し、かつセミナー受講後のアンケートにおける受講者の満足度が5段階評価で3（Good）以上の割合が延べ75%以上を達成すること。

### 【目標の設定及び水準の考え方】

アジア諸国等の規制当局担当者を対象としたセミナーを実施し、受講者の満足度及び理解度を高めることにより、日本の薬事規制への理解促進、日本の審査結果の受入れ推進等へつなげるため、指標を設定する。目標水準については、前中期目標期間中の実績等を踏まえ、前中期目標期間を超える水準を設定する。

### 【重要度：高】

- 1 副作用・不具合の情報収集、評価及び安全情報の医療現場等への迅速かつ正確な提供は市販後安全対策の骨格である。また、先駆的医薬品等指定制度や条件付き早期承認制度の下、新医薬品や新医療機器等の迅速な承認が進められた結果、我が国が他国に先駆けて画期的な製品を承認するケースも見受けられるところであり、市

販後の安全対策が重要となっている。

- 2 これまで前例の無い革新的な医薬品・医療機器等について、最新の科学的知見を踏まえ、個々の製品の特性に応じた品質、有効性及び安全性を評価し適正な規制を行うため、レギュラトリーサイエンスの推進が重要である。
- 3 日本発の医薬品、医療機器等の国際展開の拡大を念頭に、国レベルでの信頼関係の構築・強化を図るため、審査・安全対策における科学的評価を行う機構においても諸外国の規制当局と信頼関係を構築するとともに、積極的な国際貢献を行う必要がある。

### 【困難度：高】

- 1 画期的な効果を有し、重篤な疾患、高度な手技に使用される新医薬品・新医療機器等が増加しており、かつ我が国が他国に先駆けて承認するものもある。一方で、そうした新医薬品・新医療機器等による従来知見で想定されない副作用・不具合に対処していくためには、国内外の情報の収集等に基づき、緻密で高度な専門性を要する分析が求められ、困難度が高い。
- 2 副作用等情報をより効率的かつ着実に分析するため、今後はMID-NET<sup>®</sup>等のリアルワールドデータを活用した薬剤疫学的評価をより一層積極的に活用していく必要がある。リアルワールドデータを活用した薬剤疫学的評価を活用するためには、リアルワールドデータに基づく課題設定・課題解決を適切な手法で検証する必要があり、専門性が求められ、困難度が高い。
- 3 諸外国と信頼関係を構築するためには、個々に要望や状況が異なる相手に配慮しつつ、国及び機構としてのベネフィットと同時に、相手のベネフィットも確保する「Win-Win」の関係を構築する必要がある。さらに、今後は各国の規制当局との関係強化だけでなく、海外のベンチャー企業等に対する「ドラッグロス」解消などに向けた取組が求められ、困難度が高い。

## 第4 業務運営の効率化に関する事項

通則法第29条第2項第3号の業務運営の効率化に関する事項は、次のとおりとする。

### 1 機構の役割及び社会的立場を踏まえたガバナンス体制の構築

#### (1) 意思決定体制及び業務執行体制の進化

- ① 理事長が意思決定を迅速かつ的確に行うことができるようにするとともに、拡大傾向にある組織を適切に運営するためのガバナンス体制を確保するため、管理部門を強化すること。
- ② 組織として環境の変化等に的確かつ柔軟に対応するため、目標達成に向けた業務の進捗管理を徹底すること。
- ③ 学識経験者により構成される運営評議会を通じて、業務の透明性の確保に努めるとともに、業務の公正性の確保と効率化を進めること。

#### (2) 規律ある職場の実現

規律ある職場の実現のため、役職員一人一人が機構の基本理念、社会的倫理観及び科学的評価の視点を持って行動すること。

### (3) リスクマネジメントの強化

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こと。

#### 【重要度：高】

組織の拡大に伴い、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ことが課題となっている。機構が中期目標を着実に遂行し、今後も社会的に信頼される組織であり続けるためには、組織のガバナンス体制を強固にしていくことが不可欠である。

## 2 優秀な人材の確保・育成の推進

### (1) 職員の成長と組織のパフォーマンスの向上

- ① 各種業務の更なる質の向上を図るため、専門性確保にも配慮しながら、意欲と能力のある職員を計画的かつ積極的に採用し、適切に育成を行うこと。
- ② 採用及び育成に当たっては、ガイドラインの策定への貢献など、機構が社会に対して果たす役割の重要性についても積極的に伝えること。
- ③ 職員一人一人の成長と組織のパフォーマンスの向上を図るため、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こと。

### (2) 職場におけるダイバーシティの推進

- ① 性別、年齢、職種又は障害の有無等にかかわらず、全ての職員が個性を發揮でき、働きがいを感じられるようにするため、職場環境の整備等に取り組むこと。
- ② 育児や介護中の者が仕事と家庭を両立し、能力を發揮し続けられるような取組を実施すること。

## 3 業務実績の定期的な開示と戦略的な広報活動

### (1) 業務実績の定期的な開示

各年度の業務実績について運営評議会に報告し、公表すること。

### (2) 戦略的な広報活動

機構の業務成果及び社会的役割について、国民に対する効果的な情報発信の方法を検討し、広報活動を実施すること。

### (3) 機構の業務実績の世界への発信

- ① 機構の活動内容を効果的に世界に発信すること。
- ② 「PMDA Updates」<sup>(注14)</sup>の登録者数を増加させること。

(注 14) 機構の活動内容を海外の規制当局等に情報提供するためのニュースレター。

#### 4 薬害の歴史展示コーナーの運営

薬害の歴史や教訓への理解を深め社会の認識を高めることを目的として、薬害資料の展示を行う「薬害の歴史展示コーナー」を設置し、適切に運営すること。

#### 5 財務ガバナンスの強化

##### (1) 手数料・拠出金を主要な財源として運営する組織に相応しい財務ガバナンスの確立

- ① 申請件数や医薬品等の市場の状況の見通しを的確に把握し、機構全体で共有すること。
- ② 機構が有する経営資源を最大限有効活用し、既存の手数料や各種拠出金以外の多角的な財源による収入増を図るための措置を検討し、その結果を踏まえ必要な措置を講ずること。
- ③ 厳格な予算執行管理を実施し、経費の執行状況を的確に把握するとともに、収入の見通しと合わせて、機構全体の収支及び損益の状況を把握すること。
- ④ 機構全体の収支及び損益の状況を踏まえ、必要な措置を迅速に講ずることができるよう、役員を含む意思決定体制の機能の向上を図ること。

##### (2) 長期的に安定した財政運営を可能にする予算編成

- ① 各年度の費用を当該年度の収益等で賄い、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を目指すこと。
- ② 申請件数や医薬品等の市場の状況の見通しを的確に把握し、適切な収入見積りを行うこと。
- ③ 組織のパフォーマンスを損なわない範囲で、毎年度、支出予算の上限額を設定した予算シーリングを実施すること。
- ④ 情報システム関係経費について、各システムのライフサイクルコストを管理し、システム構築後に過大な財政負担とならない対策を講ずるとともに、新たなシステム投資判断を行うためのプロセスの見直しを行うこと。
- ⑤ 厳格な予算執行管理を実施し、収益等の範囲内での予算執行となるように努めること。

##### (3) 業務及び経費支出の効率化及び透明化の推進

- ① 機構の将来的な課題の解決に向けて、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、デジタルトランスフォーメーション (DX) を始めとするデジタル技術の活用に関する取組を推進すること。
- ② 契約については、原則として一般競争入札等によるものとする。
- ③ 企画競争、公募等の一般競争入札以外により契約を行う場合であっても、競争性や透明性等が十分確保されるように実施すること。
- ④ 入札・契約について、契約監視委員会の事前点検を受けるとともに、監事及び会計監査人による十分なチェックを受け、適正に実施すること。

#### (4) 運営費交付金充当経費における経費節減

不断の業務改善及び効率的運営に努めることにより、運営費交付金を充当する一般管理費及び業務経費（いずれも人件費、所要額計上経費<sup>(注15)</sup>及び特殊要因<sup>(注16)</sup>を除く。）については、業務の質の確保に留意しつつ、より一層の業務運営の効率化を推進し、令和10年度において、令和6年度と比べて一般管理費は15%程度、業務経費は5%程度の額を節減すること。

(注15) 振込・口座振替手数料、知識の普及及び研修に係る経費、システム関連経費、事務所借料関連経費並びに公租公課。

(注16) 法令改正等に伴い必要となる措置又は現時点で予測不可能な事由により発生する資金需要。

#### (5) 運営費交付金の算定

毎年の運営費交付金額の算定については、運営費交付金債務残高の発生状況に留意し、厳格に行うこと。

#### (6) 拠出金の安定的な徴収

- ① 医薬品及び医療機器製造販売業者等に対し、副作用拠出金、感染拠出金及び安全対策拠出金制度の意義等を周知し、適切な申告・納付がなされるように努め、各拠出金の安定的な徴収を確保すること。
- ② 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金に係る関係製造業者の拠出金の徴収を確実に行うこと。

#### (7) 財務状況の定期的な開示

- ① 外部有識者を構成員とする運営評議会等へ定期的に財務状況を報告すること。
- ② 独立行政法人制度に基づく外部監査の実施に加え、計画的な内部業務監査や会計監査を実施し、その結果を公表すること。
- ③ 支出面の透明性を確保するため、法人全体の財務状況、勘定別及びセグメント別の財務状況等について公表すること。

### 6 情報システムの整備及び管理

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）にのっとり、情報システムの適切な整備及び管理を行うとともに、PMOである情報化統括推進部署において、各業務システムにおいて行う開発・改修、運用保守等のプロジェクトに対し、予算の把握、技術的な助言、課題解決にむけたサポート等を適切に行うこと。

## 第5 財務内容の改善に関する事項

通則法第29条第2項第4号の財務内容の改善に関する目標は、次のとおりとする。

「第4 業務運営の効率化に関する事項」で定めた事項を踏まえ、経費の節減を見込んだ中期目標を達成するための計画（中期計画）の予算を作成し、適切な予算管理を通じて当該予算内での健全な運営を行うこと。

## 第6 その他業務運営に関する重要事項

通則法第29条第2項第5号のその他業務運営に関する重要事項は、次のとおりとする。

### 1 セキュリティの確保

個人、法人等の情報保護を徹底するため、事務室等のセキュリティを確保するとともに情報管理に万全を期すこと。

「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、必要な施策を遅滞なく実施し、情報のセキュリティの確保に引き続き取り組むこと。

保有文書の特性を踏まえた文書管理体制を引き続き確保すること。

### 2 人事に関する事項

機構の業務が製薬企業等との不適切な関係を疑われることがないよう、中立性等に十分配慮した上で、役職員の採用、配置、退職後の再就職等に関し適切な措置を講ずること。

科学技術の進歩に対応できる人材を確保していくため、外部機関との交流等を始めとして適切な能力開発・計画的な育成を実施すること。

職員の給与水準については、優秀な人材を安定的に確保する上での競争力も考慮しつつ、適正かつ効率的な支給水準となるよう努めること。

### 3 積立金の処分に関する事項

前中期目標の期間の最後の事業年度において、通則法第44条の規定の整理を行って、なお積立金（独立行政法人医薬品医療機器総合機構法（平成14年法律第192号）第31条第1項の積立金に相当する金額をいう。）があるときは適切に処理すること。

### 4 その他

既往の閣議決定等に示された政府方針に基づき取組について着実に実施すること。



項目	指標 (審査期間 <sup>(注1)</sup> )	目標の設定及び水準の考え方	令和4年度実績
<b>新医薬品</b>			
優先品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で9月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で9月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値8.9月を達成
通常品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値11.7月を達成
先駆的医薬品指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(承認品目なし)
<b>ジェネリック医薬品等</b>			
新規申請	当該年度に承認された品目の行政側期間 <sup>(注2)</sup> について、70%マイル値で10月を達成	当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で10月を達成すること。	承認された品目の行政側期間について、70%マイル値8.5月を達成
一部変更申請 (通常品目)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で10月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で10月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、55%マイル値8.0月を達成
一部変更申請 (通常以外)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で6月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で6月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、55%マイル値4.8月を達成
一部変更申請 (迅速審査)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、53%マイル値で3月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、53%マイル値で3月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、53%マイル値3.0月を達成
<b>一般薬、医薬部外品</b>			
要指導・一般区分7、8及び殺虫剤等区分3	当該年度に承認された品目の総審査期間について、70%マイル値で7月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の総審査期間について、70%マイル値で7月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、70%マイル値5.8月を達成
医薬部外品	当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で4.5月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で4.5月を達成すること。	承認された品目の行政側期間について、70%マイル値3.7月を達成
<b>医療機器</b>			
新医療機器 (通常品目)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で14月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で14月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値12.0月を達成
改良医療機器 (臨床あり)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で10月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で10月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、60%マイル値8.9月を達成
改良医療機器 (臨床なし)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で6月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、60%マイル値5.8月を達成
後発医療機器	当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で4月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、60%マイル値で4月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、60%マイル値3.6月を達成
先駆的医療機器指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(承認品目なし)
プログラム医療機器優先審査指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	プログラム医療機器の実用化促進に向けて、現行の医療機器の総審査期間より更なる短縮を図るため、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
プログラム医療機器における変更計画確認手続制度 <sup>(注3)</sup> (IDATEN)に関する確認 (改良医療機器(臨床なし))	当該年度に確認する全品目を5.5月以内に処理	プログラム医療機器について、早期実用化に向けた審査をより迅速に実施するため、各年度において、当該年度に確認する改良医療機器(臨床なし)を5.5月以内に処理すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
プログラム医療機器における変更計画確認手続制度(IDATEN)に関する確認 (後発医療機器)	当該年度に確認する全品目を3.5月以内に処理	プログラム医療機器について、早期実用化に向けた審査をより迅速に実施するため、各年度において、当該年度に確認する改良医療機器を3.5月以内に処理すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
新医療機器 (優先品目)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で10月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で10月を達成すること。	平均8.8月を達成
<b>体外診断用医薬品</b>			
専門協議品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値11.7月を達成
通常品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で7月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で7月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値6.6月を達成
先駆的体外診断用医薬品指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(承認品目なし)
<b>再生医療等製品</b>			
優先品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、50%マイル値で9月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、50%マイル値で9月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、50%マイル値9.0月を達成

(注1) 承認した品目の申請から承認までの期間。

(注2) 審査期間から申請企業等が資料作成等を行っている時間を除いた期間のこと。項目の性質上、個別の品目により当該時間が著しく長くなることのある項目については、審査期間による指標を設定することが妥当ではないため、当該期間による指標を設定している。

(注3) 将来改良が見込まれている医療機器について、審査の過程で変更計画を確認し、計画の範囲内で迅速な承認事項の一部変更を認めることで、継続した改良を可能とする承認審査制度。

## 医薬品・医療機器等を取り巻く環境

- 海外では承認されているが日本で薬剤の開発が行われない、「ドラッグロス」の問題などの新たな医薬品等アクセスの課題。
- mRNAワクチンやプログラム医療機器をはじめとする、医薬品・医療機器等におけるテクノロジーの発展の加速

## 政府が取り組むべき政策（経済財政運営と改革の基本方針2023）

- 臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化
- 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
- プログラム医療機器の実用化促進に向けた承認審査体制の強化

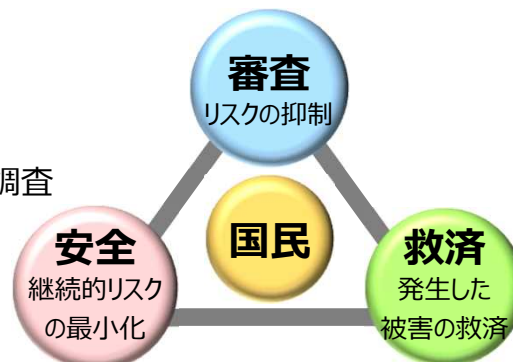
### < 薬機法を軸にした行政措置に至るまでのPMDAと厚生労働省の役割分担 >

- PMDAは、厚生労働省が医薬品・医療機器等行政にかかる権限を行使する上での、重要な根拠を提供する役割を担う。一方で厚生労働省は、この根拠をもとにして最終的な行政措置を実施する。厚生労働省が行政措置を決定するに当たっては、厚生労働省に設置されている「薬事・食品衛生審議会」にて、PMDAの科学的判断について第三者によるチェックを行うことで、適正性を担保している。



#### 【PMDA】科学的な判断の実施

- ・ 医薬品等の審査・調査、治験相談
- ・ 副作用等報告の受理・収集・整理・評価・調査
- ・ 副作用等情報の提供
- ・ 拠出金の徴収、救済給付金の支給 など



#### 【厚生労働省】行政措置等の実施

- ・ 薬機法等の制度設計、法律改正
- ・ 審議会への付議、最終的な承認判断
- ・ 回収・緊急安全情報発出の指示
- ・ 緊急かつ重大な案件に係る安全対策業務
- ・ 救済判定 など



### PMDAの果たす3つの役割（セイフティ・トライアングル）

PMDAは、国が医薬品・医療機器等行政にかかる権限を行使する上での重要な根拠を提供する業務を三部門一体となって担っている。

### 第5期中期目標におけるPMDAの役割

- ◎ レギュラトリーサイエンスの推進によるセイフティトライアングルの一層の質の向上・高度化
- ◎ 国際的な規制調和の推進、欧米・アジア諸国等との連携強化

#### （安全対策業務）

- 副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価の実施
- 医療関係者・患者等への安全性情報の提供及び講じた安全対策措置のフォローアップ

#### （審査業務）

- イノベーションに的確に対応した医薬品等の相談及び審査の実施
- 海外開発先行の医薬品等の国内開発・導入のための環境整備及び情報発信の強化

#### （健康被害救済給付業務）

- 医薬品副作用被害救済制度等に関する広報及び情報提供の拡充
- 救済給付の請求事案の迅速な事務処理の実施

# 医薬品医療機器総合機構（PMDA）の使命等と目標との関係

## （使命）

国民保健の向上に資することを目的として、医薬品・医療機器等行政にかかる施策を実現するために非常に重要となる、医薬品等の健康被害救済、承認審査及び安全対策における、最新の科学的知見に基づく根拠を提供する。

## （現状・課題）

### ◆強み

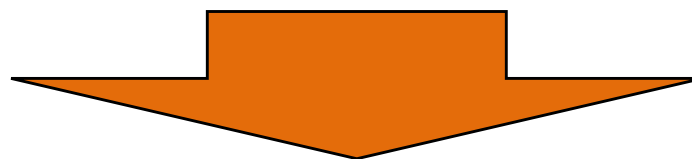
- ・セイフティ・トライアングルにより、医薬品等のライフサイクル全般を通して、国民の健康・安全の向上に貢献。
- ・多岐にわたる専門人材により、医薬品等の品質、有効性及び安全性について、最新の科学に基づき多角的に評価。

### ◆課題

- ・科学力向上や国際化に向けた対応及び業務の質の向上を図るため、組織体制の充実や人材育成等が必要。
- ・デジタル技術を活用した業務効率化及び組織規模に応じた適切なガバナンス確保のため、管理部門の強化が必要。

## （環境変化）

- 海外で承認されているにもかかわらず、日本では承認されていない国内未承認薬が、日本で薬剤の開発に着手すらされないという「ドラッグロス」の問題などが生じており、新たな医薬品等アクセスの課題。
- 新型コロナウイルス感染症に対するmRNAワクチンや、プログラム及びこれを記録し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・医療機器等が申請・承認されており、テクノロジーの発展が加速。



## （中期目標）

- 医薬品副作用被害救済制度等に関する広報等の拡充及び救済給付の請求事案の迅速な事務処理の実施。
- イノベーションに的確に対応した医薬品等の相談及び審査の実施。
- 海外開発先行の医薬品等の国内開発・導入のための環境整備及び情報発信の強化。
- 副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価、医療関係者及び患者・一般消費者への安全性情報の提供並びに講じた安全対策措置のフォローアップ。
- 人材力の強化及び管理部門の強化。