

報道関係者 各位

令和2年6月19日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課  
 課長 吉田 易範(内線 2733)

審査調整官 間宮 弘晃(内線 4233)

(直通電話) 03(3595)2431

医療機器審査管理課

課長 河野 典厚(内線 2911)

審査調整官 渡利 彰浩(内線 2787)

(直通電話) 03(3595)2419

(代表電話) 03(5253)1111

## 「先駆け審査指定制度」の対象品目を指定しました

～新たに7品目を指定。画期的な製品の日本における開発を促進～

厚生労働省は、昨年11月までに指定申請があった医薬品42品目、医療機器・体外診断用医薬品12品目、再生医療等製品12品目について評価を行い、本日付けで別紙の医薬品3品目、医療機器・体外診断用医薬品3品目、再生医療等製品1品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成26年6月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂2014を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品、新医療機器の場合、12か月を目標に承認審査を行っているところ、この制度の指定を受けた品目については、承認審査期間の目標が半分の6か月になります。

なお、この「先駆け審査指定制度」は、「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等の一部を改正する法律」（令和元年法律第63号）により法制化され、本年9月1日に施行することとしております。

○別紙：指定品目

○参考資料1：医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

（令和元年9月6日付け薬生薬審発0906第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）

○参考資料2：医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

（令和元年9月6日付け薬生機審発0906第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）

○参考資料3：先駆け審査指定制度について

（平成26年度第5回（平成27年3月30日開催）薬事・食品衛生審議会薬事分科会資料）

## ＜医薬品＞

申請のあった42品目のうち、以下の3品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	CNT-01 (大阪大学医学 部附属病院)	中性脂肪蓄積心筋 血管症の症状及び 予後改善	<p>① 細胞内に蓄積した中性脂肪の代謝の改善等により、中性脂肪蓄積心筋血管症 (TGCV) に対する初めての治療薬となり得る。</p> <p>② TGCV は、心不全、狭心症、不整脈等の症状を示し、死亡に至ることもある重篤な疾患である。</p> <p>③ CNT-01 を用いた第Ⅱa 相試験、CNT-01 の主成分を含有する食品を用いた臨床研究において、細胞内中性脂肪代謝の改善等が認められた。</p> <p>④ 今後日本において有効性の検討のための臨床試験が実施され、世界に先駆けて日本で承認申請される予定である。</p>
2	エクリズマブ (遺伝子組換え) (アレクシオン ファーマ合同会 社)	ギラン・バレー症 候群	<p>① C5 の関与する補体カスケードの遮断により、炎症誘発性メディエーターの放出及び細胞溶解性の孔形成を抑制する。ギラン・バレー症候群の治療薬として承認されている医薬品とは異なる作用機序。</p> <p>② 根治療法がなく、回復まで時間を要する又は後遺症が残る疾患である。</p> <p>③ 医師主導第Ⅱ相試験における24週時点で走行可能まで回復した症例の割合について、対照群と比較して、本剤の標準治療への上乗せ効果が認められた。</p> <p>④ 今後、国内第Ⅲ相試験を実施し、承認申請は世界に先駆けて日本で行う意向あり。</p>
3	M7824 (グラクソ・ス ミスクライン株 式会社)	胆道癌	<p>① TGF<math>\beta</math> の中和作用及びPD-L1 阻害作用によって腫瘍微小環境における免疫抑制機構を阻害する。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である胆道癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき胆道癌患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅱ相試験実施中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>

<医療機器・体外診断用医薬品>

申請のあった12品目のうち、以下の3品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	多孔化カバード ステント(仮称) (株式会社グッ ドマン)	最大径7.0mm以 上のワイドネック 型又は紡錘状の未 破裂脳動脈瘤に対 する血管内治療。	<p>① 脳動脈瘤に対する既存治療法の相反する問題点(早期の動脈瘤血栓化と微小分岐血管の血流温存)を同時に解決すべく開発された革新的なステントである。</p> <p>② 脳動脈瘤は破裂すると致命的なくも膜下出血を引き起こす。</p> <p>③ 微小血管の血流を温存しつつも、留置後早期から動脈瘤の血栓化が期待できることから、既存治療法に比して、有効性の改善及び安全性の向上が期待できる。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予定である。</p>
2	心臓形状矯正ネ ット(仮称) (株式会社 iCorNet研究所)	心拡大の進行した 非虚血性の拡張型 心筋症の患者に対 し、患者毎に最適 化設計された心臓 形状矯正ネットを 心室表面に装着す ることで、過大な 左心室壁張力を軽 減し、心臓リモデ リングの進展を抑 制。	<p>① 心不全患者の心臓画像と圧データからあらかじめ最適化設計・製造されたメッシュ状の袋を心室表面に被せることにより、過大な左心室壁張力を軽減して心機能を改善し、心臓のリモデリングを抑制する方法は画期的である。</p> <p>② 拡張型心筋症は進行性に心拡大と不全が進む疾患であり、病状が進めば心臓移植が唯一の治療法となる。</p> <p>③ 物理的に心拡大を制御し、薬物療法では得られない心臓リモデリングによる心不全進行を抑制することが期待される。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予定である。</p>
3	造血器腫瘍遺伝 子パネル検査 (仮称) (大塚製薬株式 会社)	造血器腫瘍由来サ ンプルより抽出し たDNA又はRNA中 の造血器腫瘍遺伝 子異常の検出。	<p>① 本品は、造血器腫瘍において特徴的な遺伝子変異を検出するとともに、RNAを測定することで臨床的に重要である融合遺伝子の検出率を向上させている。また、造血器腫瘍に対して遺伝子プロファイリングを使用目的とした既承認の遺伝子パネル検査は事例がなく画期的である。</p> <p>② 造血器腫瘍は、固形がんに比して化学療法が奏功する割合が一般的に高いとされるが、依然として再発率は高く、予後不良となる症例も少なくなく、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 網羅的な遺伝子変異プロファイルを取得することで、造血器腫瘍の診断、治療選択、予後予測に資する広範な情報が一度に取得できる。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請を行う</p>

			予定である。
--	--	--	--------

<再生医療等製品>

申請のあった12品目のうち、以下の1品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	誘導型抑制性 T 細胞 (株式会社 JUNTEN BIO)	肝移植後の免疫抑制剤の減量・中断。	<p>⑤ 本品は、肝移植患者の由来の末梢血単核球を臓器ドナー由来の末梢血単核球等と共培養して誘導される CD4+CD25+Foxp3+T 細胞及び CD8+CD45RA-T 細胞である。ドナー抗原反応性エフェクターT細胞の活性化阻害、生体内での新規の抑制性 T 細胞の誘導によりドナー抗原特異的に免疫拒絶反応を減弱すると考えられており、新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>⑥ 肝移植を受けた患者では、移植臓器への拒絶反応の抑制のため免疫抑制剤の投与を生涯にわたり継続する必要があるが、免疫反応全般を抑制することによる易感染性、悪性腫瘍の発現、代謝疾患（高血圧、糖尿病等）への影響等の問題が知られており、肝移植後の主な死因とも関連している。</p> <p>⑦ 国内臨床研究（10例）において、生体肝移植後3年後の時点で7例（70%）で免疫抑制剤の中断が可能となっている。</p> <p>⑧ 国内での臨床試験を計画しており、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

薬生薬審発 0906 第 1 号  
令和元年 9 月 6 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

## 医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、その開発を促進するため、「日本再興戦略」改訂 2014（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）及び「先駆けパッケージ戦略」（平成 26 年 6 月 17 日厚生労働省取りまとめ）を受け、「先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 4 月 1 日付け薬食審査発 0401 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第二回）について」（平成 28 年 10 月 3 日付け薬生薬審発 1003 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第三回）について」（平成 29 年 10 月 5 日付け薬生薬審初 1005 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）及び「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について」（平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審初 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）のとおり、平成 27 年度より、先駆け審査指定制度を試行的に実施しました。

本年度も、医薬品について、下記のとおり試行的に先駆け審査指定制度を実施することとしますので、貴管下関係業者に対して周知願います。

## 記

### 1. 制度の趣旨等

これまで、海外では承認されていても国内では承認されていない未承認薬・適応外薬を解消するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を通じて審査期間の短縮を図るとともに、学会等からの要望に基づき、医療上の必要性を評価した上で未承認薬・適応外薬の開発要請を通じてこれらの解消に努めてきた。

今般、この考えを更に推し進め、患者に世界で最先端の治療薬を最も早く提供することを目指し、先駆け審査指定制度（以下「本制度」という。）として、開発早期の段階から一定の要件を満たす画期的な新薬等（以下「対象品目」という。）を指定し、薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、申請者が承認審査のスケジュールに沿って法令上求められる製造体制を整備することや承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を促すものである。

この制度では、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、原則として既承認薬と異なる作用機序により、極めて高い有効性が期待される医薬品を指定す

ることとする。また、本制度では、PMDA が審査パートナー（以下「コンシェルジュ」という。）を選任して、厚生労働省及び PMDA 関係各部との連携を強化するとともに定期的な進捗管理を通じて開発の迅速化を可能とし、先駆け総合評価相談により事前評価を充実し、かつ優先審査の対象にすること等で、審査期間を6ヶ月まで短縮することを目指す。

## 2. 指定の要件

指定を受ける医薬品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

### (1) 指定要件1：治療薬の画期性

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること、既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること、又は、革新的な薬物送達システムを用いていること

### (2) 指定要件2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

### (3) 指定要件3：対象疾患に係る極めて高い有効性

既承認薬が存在しない、若しくは既存の治療薬／治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、又は著しい安全性の向上が見込まれること

### (4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界に先駆けて日本で承認申請される（同時申請も含む）予定のものであり、承認申請できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの
- ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの

また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制（他社との連携体制を含む。）を有していること。なお、指定申請の際に、様式1の特記事項の欄にその旨記載すること。

## 3. 指定の手続

### (1) 対象品目への指定申請

対象品目への指定を希望する場合は、当該候補品目について、令和元年10月1日～11月29日の公募期間を設定するので、所定期間内に様式1（先駆け審査指定制度対象品目指定申請書）（別紙及び根拠資料を含む。）により厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課（以下「医薬品審査管理課」という。）に指定申請をすること。様式1は、紙媒体（正本1部、副本4部）及び電子媒体で郵送又は持参により提出すること。（令和元年11月29日必着）

郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2  
厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課  
先駆け審査指定制度担当宛て

## (2) ヒアリング

(1) により申請された各品目について、令和元年11月4日～令和2年1月17日までを目途に医薬品審査管理課においてヒアリングを実施する。ヒアリングは様式1及びその根拠資料に基づき実施する。ヒアリングで申請資料の修正等の指示があった場合には、その指示に応じること。

## (3) 予備的審査

今回の試行では指定申請が多く行われる可能性があることから、先駆け審査指定に係る評価を適当な期間内に完了するために、PMDAの担当審査分野（新薬審査部を基本単位分野とする：以下「分野」という。）あたり過度に候補品目が多くなりすぎないようにするため、医薬品審査管理課で予備的審査を実施することがある。

## (4) 評価と指定

予備的審査を実施した場合には通過した候補品目、予備的審査を実施しなかった場合には全候補品目に対して、申請資料をPMDAと共有し、PMDAの評価も踏まえた上で、特に優れていると判断されたものについて医薬品審査管理課で最終的な指定の可否の判断を行い、公表する。なお、これまでの指定品目も含め、特定の分野ごとの総指定数も考慮する。また、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に選定結果を報告する。

## 4. 指定された医薬品の優先的な取扱い及び留意事項

### (1) 優先相談

PMDAで実施されている対面助言等で、他の医薬品に優先した取扱いを受けることができる。

### (2) 事前評価の充実

PMDAで実施されている先駆け総合評価相談（以下「先駆け相談」という。）を受けることができる。ただし、申請から承認までの期間を6ヶ月以内に納めるためには、申請前からこれらの枠組みを積極的に活用する必要があることから、コンシェルジュに相談し、指定を受けた後から承認申請までに、原則、すべての相談区分で先駆け総合評価相談を利用すること。

- 特に、品質については、承認申請後速やかにGMP調査が実施可能となるように、積極的に先駆け相談や医薬品品質相談等の枠組みを活用する。また、実生産バリデーションデータの提出可能時期及びGMP調査の対応可能日の情報を承認申請時に準備すること。
- また、信頼性調査に関しても、積極的に、先駆け相談や医薬品GCP/GLP/GPSP相談等の枠組みを活用するとともに、承認申請後速やかに日程調整・実地調査が可能となるよう、早期の段階から信頼性調査に必要な情報等を準備する



こと。

### (3) 優先審査

指定品目はその内容に鑑み、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。以下「医薬品医療機器法」という。）第 14 条第 7 項の規定「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」に該当すると考えられるため、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

### (4) コンシェルジュ

厚生労働省及び PMDA の連絡調整を行うことができる適当な者として、PMDA において指名される者が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、申請者及び承認審査関係部署との調整を行う。指定後 1 週間を目安に当該対象品目にかかるコンシェルジュを対象品目の先駆け審査指定を受けた者に連絡する。

### (5) 再審査期間

医薬品医療機器法施行規則（昭和 36 年 2 月 1 日厚生省令第 1 号）第 57 条第 1 項に規定する「製造販売の承認のあつた日後 6 年を超える期間当該医薬品の副作用によるものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又はその使用によるものと疑われる感染症その他の使用の成績等に関する調査が必要であると認められる希少疾病用医薬品以外の医薬品」への該当性を判断し、個別に審査の過程で判断することとする。（最長 10 年）

なお、当該医薬品が希少疾病用医薬品に該当する場合には、既に再審査期間上限の 10 年が適用されているため、これを超えることはないことを予め申し添える。

## 5. 指定の取消し

指定の取り消しは 2. の指定の要件のいずれかに該当しないことが明確になった時点で、先駆け審査指定を受けた者が指定の要件を充足しない旨コンシェルジュを通じて医薬品審査管理課に報告する。医薬品審査管理課はその後速やかに薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

なお、医薬品審査管理課に指定要件を充足しない旨の報告がされた日をもって、4. に掲げる優先的な取扱いは停止することとし、薬事・食品衛生審議会薬事分科会への報告日をもって指定を取消すものとする。

## 6. その他

(1) 指定を受けた対象品目の開発に付随して、体外診断薬等の開発を合わせて検討する必要がある場合には、対象品目の開発・承認に遅延が生じないように、当該体外診断薬等についても必要な措置を講じることとするので、速やかにコンシェルジュに相談すること。

(2) 今後の運用等は、試行的実施の状況等を踏まえ、別途示すこととする。

## 先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

申請者名		
承認番号 <sup>※1</sup>		
名称	一般的名称 <sup>※2</sup>	
	販売名 <sup>※3</sup>	
成分及び分量又は本質		
予定される効能又は効果 <sup>※4</sup>		
予定される用法及び用量 <sup>※5</sup>		
作用機序又は薬理作用等 <sup>※6</sup>		
指定要件への該当性 <sup>※7</sup>		
指定要件 1	治療薬の画期性	
指定要件 2	対象疾患の重篤性	
指定要件 3	対象疾患に係る著明な有効性	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制	
ヒアリング希望日 <sup>※8</sup>	第 1 希望	
	第 2 希望	
	第 3 希望	
	第 4 希望	
	第 5 希望	
	第 6 希望	
担当者連絡先	氏名	
	部署名	
	電話番号	
	FAX 番号	
	E-mail	
特記事項		

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

令和元年〇月〇日

住所 〒 法人にあつては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※1～※8までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※1：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※2：一般的名称が決まっている場合には「開発成分記号等」を記載。

※3：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。

※4：申請時点で予定している効能又は効果を記載。

※5：申請時点で予定している用法・用量を記載。複数の用量を検討中の場合には、主たる用法・用量と考えているものを記載し、その他の用法・用量も併記。

※6：作用機序又は薬理作用を記載。特に既存の治療薬との相違点が明確になるように類似していると思われる既存薬を網羅的に例示した上で、違いを記載。

※7：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※8：ヒアリング希望日時については、1時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。令和2年1月18日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医薬品審査管理課に相談すること。

## 先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称※ <sup>1</sup>	
	販売名※ <sup>2</sup>	
指定要件 1	治療薬の画期性 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 既承認薬と異なる作用機序であるもの <input type="checkbox"/> 既承認薬と作用機序は同一であるが開発対象とする疾患に適応するものは初めてであるもの <input type="checkbox"/> 革新的な薬物送達システムを用いているもの <input type="checkbox"/> その他 ( ) ※ <sup>4</sup>
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象疾患の重篤性 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患
	(対象疾患の概要)	
指定要件 3	対象疾患に係る極めて高い有効性 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 既承認薬が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する臨床試験成績等の要旨)	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	(開発に関する進捗状況・予定の概況※ <sup>5</sup> ※ <sup>6</sup> )

※<sup>1</sup>: 一般的名称が決まっていない場合には「開発成分記号等」を記載。

※<sup>2</sup>: 既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「-」と記載。

※<sup>3</sup>: 該当する□を塗りつぶすこと。

※<sup>4</sup>: 当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること

※<sup>5</sup>: 先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

※<sup>6</sup>: 使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制及び開発の進捗状況等を含めて記載すること。

薬生機審発0906第1号  
令和元年9月6日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

## 医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の 先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、その開発を促進するため、「日本再興戦略」改訂2014（平成26年6月24日閣議決定）及び「先駆けパッケージ戦略」（平成26年6月17日厚生労働省取りまとめ）を受け、「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成27年7月1日付け薬食機参発0701第1号厚生労働省大臣官房参事官（医療機器・再生医療等製品審査管理担当）通知）、「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第二回）について」（平成28年10月3日付け薬生機審発1003第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）、「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第三回）について」（平成29年10月5日付け薬生機審発1005第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）及び「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について」（平成30年9月7日付け薬生機審発0907第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）のとおり、平成27年度より、先駆け審査指定制度を試行的に実施してきました。

本年度も、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品について、下記のとおり試行的に先駆け審査指定制度を実施することとしますので、貴管下関係業者に対して周知願います。

### 記

#### 1. 制度の趣旨等

これまで、国内で未承認又は適応外の医療機器及び体外診断用医薬品を解消するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を通じて審査期間の短縮を図るとともに、学会等からの要望に基づき、医療上の必要性を評価した上で未承認医療機器等の開発要請を通じてこれらの解消に努めてきた。

この考えを更に推し進め、患者に世界で最先端の医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を最も早く提供することを目指し、先駆け審査指定制度（以下「本制度」という。）として、開発早期の段階から一定の要件を満たす画期的な医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品（以下「対象品目」という。）

を指定し、承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、申請者が承認審査のスケジュールに沿って法令上求められる製造体制を整備することや承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を促すものである。

本制度では、原則として新規原理、新規作用機序等により、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、極めて高い有効性が期待される医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を指定することとする。

また、本制度ではPMDAにおいて指名される審査パートナー（以下「コンシェルジュ」という。）が、厚生労働省及びPMDA関係各部との連携を強化するとともに定期的な進捗管理を通じて開発の迅速化を可能とし、先駆け総合評価相談により事前評価を充実し、かつ優先審査の対象にすること等で、審査期間の短縮を目指す。

## 2. 指定の要件

指定を受ける医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

### (1) 指定要件1：治療法／診断法の画期性

原則として、医療機器にあつては新規原理（新医療機器等）、体外診断用医薬品にあつては新規原理／新規測定項目、再生医療等製品にあつては新規作用機序を有すること。

### (2) 指定要件2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること。

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

### (3) 指定要件3：対象疾患に係る極めて高い有効性

既存の治療法／診断法がない、若しくは、既存の治療法／診断法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、又は、著しい安全性の向上が見込まれること。

### (4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界に先駆けて日本で承認申請される（同時申請も含む）予定のものであり、承認申請できる体制を有していること。

なお、非臨床試験の結果等により、有効性等が一定程度期待できる医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品であつて、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

## 3. 指定の手続

### (1) 対象品目への指定申請

対象品目への指定を希望する場合は、令和元年10月1日～11月29日の公募期間を設定するので、所定期間内に様式1（先駆け審査指定制度対象品目指定申請書）（別紙及び根拠資料を含む。）により厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課（以下「医療機器審査課」という。）に当該候補品目の指定

申請をすること。様式1は紙媒体（正本1部、副本4部）及び電子媒体で郵送又は持参により提出すること。（令和元年11月29日必着）

なお、1社で複数申請する場合は、まとめて提出すること。

郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2  
厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課  
先駆け審査指定制度担当宛て

## （2）ヒアリング

（1）により申請された各品目について、令和元年11月4日～令和2年1月17日までを目処に医療機器審査課においてヒアリングを実施する。ヒアリングは様式1及びその根拠資料に基づき実施する。ヒアリングで申請資料の修正等の指示があった場合には、その指示に応じること。

## （3）予備的審査

今回の試行では指定申請が多く行われる可能性があることから、先駆け審査指定に係る評価を適当な期間内に完了するため、また、特定の分野で候補品目が過度に多くならないようにするため、医療機器審査課で予備的審査を行うことがある。

## （4）候補品目の評価及び指定

予備的審査を実施した場合には通過した候補品目、予備的審査を実施しなかった場合には全候補品目に対して、申請資料をPMDAと共有し、PMDAの評価も踏まえた上で、特に優れていると判断されたものについて医療機器審査課で最終的な指定の可否の判断を行い、公表する。なお、これまでの指定品目も含め、特定の分野ごとの総指定数も考慮する。また、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に選定結果を報告する。

## 4. 指定された医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の優先的な取扱い及び留意事項

### （1）優先相談

PMDAで実施されている対面助言等で、他の医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品に優先した取扱いを受けることができる。

### （2）事前評価の充実

PMDAで実施されている先駆け総合評価相談を受けることができる。ただし、申請から承認までの期間を短縮させるために（例えば、医療機器では6か月以内）申請前からこれらの枠組みを積極的に活用する必要があることから、コンシェルジュに相談し、指定を受けた後から承認申請までに、原則、全ての相談区分で先駆け総合評価相談を利用すること。

例えば、品質管理や信頼性調査については、承認申請後速やかに日程調整・調査が実施可能となるように、早期の段階から当該調査に必要な情報等を準備することを含め、積極的に相談等の枠組みを活用することに意義があると考えられる。

### (3) 優先審査

指定品目はその内容に鑑み、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。以下「医薬品医療機器法」という。）第 23 条の 2 の 5 第 9 項及び第 23 条の 25 第 7 項に規定する「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」に該当するため、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

### (4) コンシェルジュ

厚生労働省及び PMDA の連絡調整を行うことができる適当な者として、PMDA において指名される者が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、申請者及び承認審査関係部署との調整を行う。指定後 1 週間を目安に当該対象品目に係るコンシェルジュを対象品目の先駆け審査指定を受けた者に連絡する。

## 5. 指定の取消し

指定の取り消しは、2. の指定の要件のいずれかに該当しないことが明確になった時点で、先駆け審査指定を受けた者が指定の要件を充足しない旨コンシェルジュを通じて医療機器審査課に報告する。医療機器審査課はその後速やかに薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

なお、医療機器審査課に指定要件を充足しない旨の報告がされた日をもって、4. に掲げる優先的な取扱いは停止することとし、薬事・食品衛生審議会薬事分科会への報告日をもって指定を取消すものとする。

## 6. その他

(1) 「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について」（令和元年 9 月 6 日付け薬生薬審発 0906 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）に基づき先駆け審査指定を受けた医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するコンパニオン診断薬等（体外診断用医薬品又は医療機器）については、当該指定を受けた医薬品の開発・承認に遅延が生じないように、2. の指定の要件及び 3. 指定の手續に関わらず、先駆け審査指定制度の指定を受けることがある。その場合、5. 指定の取消しについては、指定を受けた医薬品の取扱いに準ずることとする。

(2) 今後の運用等は、試行的実施の状況等を踏まえ、別途示すこととする。

## 医療機器先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

申請者名		
承認番号※ <sup>1</sup>		
名称	一般的名称※ <sup>2</sup>	
	販売名※ <sup>3</sup>	
予定される使用目的又は効果※ <sup>4</sup>		
形状、構造及び原理		
予定される使用方法※ <sup>5</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>6</sup>		
指定要件 1	治療法の画期性	
指定要件 2	対象疾患の重篤性	
指定要件 3	対象疾患に係る著明な有効性	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制	
ヒアリング希望日※ <sup>7</sup>	第 1 希望	
	第 2 希望	
	第 3 希望	
	第 4 希望	
	第 5 希望	
	第 6 希望	
担当者連絡先	氏名	
	部署名	
	電話番号	
	FAX 番号	
	E-mail	
特記事項		

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

令和元年〇月〇日

住所 〒 法人にあつては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※<sup>1</sup>～※<sup>7</sup>までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※<sup>1</sup>：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※<sup>2</sup>：一般的名称が決まっている場合には「新設」と記載。

※<sup>3</sup>：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している使用目的又は効果を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している使用方法を記載。

※<sup>6</sup>：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※<sup>7</sup>：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。令和 2 年 1 月 17 日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。



## 医療機器の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
指定要件1	治療法の画期性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件2	対象疾患の重篤性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患
	(対象疾患の概要 <sup>※4</sup> )	
指定要件3	対象疾患に係る極めて高い有効性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる <sup>※5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
指定要件4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	
	(開発に関する進捗状況・予定の概況 <sup>※6</sup> )	

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

## 体外診断用医薬品先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

申請者名		
承認番号※ <sup>1</sup>		
名称	一般的名称※ <sup>2</sup>	
	販売名※ <sup>3</sup>	
予定される使用目的※ <sup>4</sup>		
形状、構造及び原理		
反応系に関与する成分		
予定される使用方法※ <sup>5</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>6</sup>		
指定要件 1	診断法の画期性	
指定要件 2	対象疾患の重篤性	
指定要件 3	対象疾患に係る著明な有効性	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制	
ヒアリング希望日※ <sup>7</sup>	第 1 希望	
	第 2 希望	
	第 3 希望	
	第 4 希望	
	第 5 希望	
	第 6 希望	
担当者連絡先	氏名	
	部署名	
	電話番号	
	FAX 番号	
	E-mail	
特記事項		

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

令和元年〇月〇日

住所 〒 法人にあつては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※<sup>1</sup>～※<sup>7</sup>までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載すること可。

※<sup>1</sup>：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※<sup>2</sup>：一般的名称が決まっている場合には「新設」と記載。

※<sup>3</sup>：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している使用目的を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している使用方法を記載。

※<sup>6</sup>：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付すること可。

※<sup>7</sup>：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。令和 2 年 1 月 17 日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

## 体外診断用医薬品の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
指定要件1	診断法の画期性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> 新規測定項目を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件2	対象疾患の重篤性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患
	(対象疾患の概要 <sup>※4</sup> )	
指定要件3	対象疾患に係る極めて高い有効性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の診断法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の診断法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる <sup>※5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
指定要件4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	
		(開発に関する進捗状況・予定の概況 <sup>※6</sup> )

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

## 再生医療等製品先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

申請者名		
承認番号※ <sup>1</sup>		
名称	一般的名称※ <sup>2</sup>	
	販売名※ <sup>3</sup>	
予定される効能、効果又は性能※ <sup>4</sup>		
形状、構造、成分、分量又は本質		
予定される用法及び用量又は使用方法※ <sup>5</sup>		
作用機序等※ <sup>6</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>7</sup>		
指定要件 1	治療法の画期性	
指定要件 2	対象疾患の重篤性	
指定要件 3	対象疾患に係る著明な有効性	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制	
ヒアリング希望日※ <sup>8</sup>	第 1 希望	
	第 2 希望	
	第 3 希望	
	第 4 希望	
	第 5 希望	
	第 6 希望	
担当者連絡先	氏名	
	部署名	
	電話番号	
	FAX 番号	
	E-mail	
特記事項		

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

令和元年〇月〇日

住所 〒 法人にあっては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあっては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※<sup>1</sup>～※<sup>8</sup>までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※<sup>1</sup>：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※<sup>2</sup>：一般的名称が決まっていない場合には「治験識別記号等」を記載。

※<sup>3</sup>：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している効能、効果又は性能を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している用法及び用量又は使用方法を記載。複数の用量を検討中の場合には、主たる用法・用量と考えているものを記載し、その他の用法・用量も併記。

※<sup>6</sup>：作用機序を記載。特に既存の製品との相違点が明確になるように類似していると思われるものを網羅的に例示した上で、違いを記載。

※<sup>7</sup>：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※<sup>8</sup>：ヒアリング希望日時については、1時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。令和2年1月17日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

## 再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
指定要件1	治療法の画期性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規作用機序を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件2	対象疾患の重篤性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患
	(対象疾患の概要 <sup>※4</sup> )	
指定要件3	対象疾患に係る極めて高い有効性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる <sup>※5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
指定要件4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	
		(開発に関する進捗状況・予定の概況 <sup>※6</sup> )

※1：一般的名称が決まっていない場合には「治験識別記号等」を記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

第二 3つのアクションプラン

二. 戦略市場創造プラン

テーマ1: 国民の「健康寿命」の延伸

(3) 新たに講ずべき具体的施策

V) その他

②世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器等の実用化の推進(「先駆けパッケージ戦略」)

早期の治験段階で著明な有効性が見込まれるとして指定した医薬品等について、実用化までの承認審査期間の半減(12か月から6か月へ短縮)を目指す「先駆け審査指定制度」の創設など、各種施策をパッケージで推進することにより、世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患(希少がん、難病等重篤な疾患)等の革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、日本の早期実用化を目指す。

1



先駆けパッケージ戦略

～世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器等の実用化を促進～

世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患等(希少がん、難病等重篤な疾患)に対し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等を日本で早期に実用化すべく、基礎研究から臨床研究・治験、審査・安全対策、保険適用、国際展開までを一環として支援する戦略パッケージを推進。

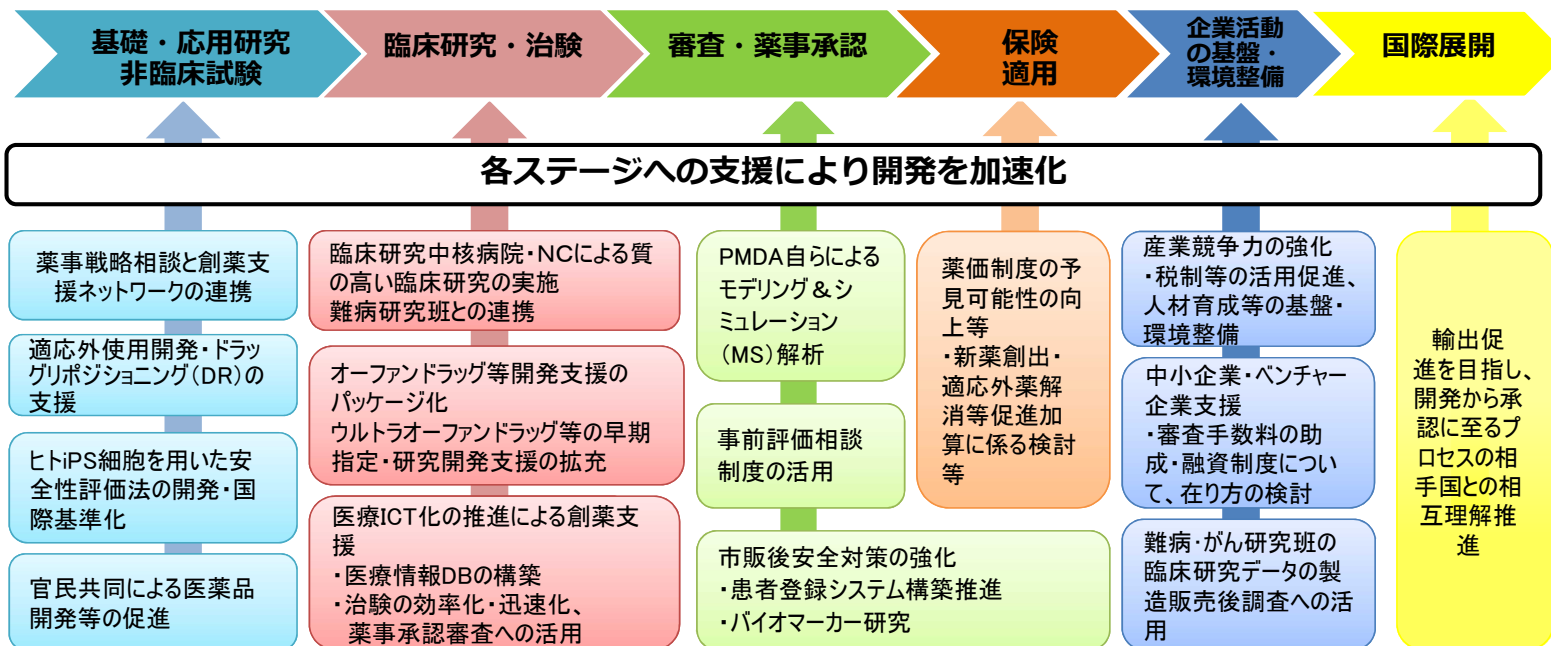
重点施策 I

先駆け審査指定制度

重点施策 II

未承認薬迅速実用化スキーム

(未承認薬等会議の対象範囲の拡大)



PMDAの体制強化(相談・審査・安全対策等の体制強化と質の向上)

レギュラトリーサイエンスの推進(最先端技術の評価手法の開発やガイドラインの作成等)

2

# 先駆け審査指定制度

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

## 指定基準

○画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を対象とした医薬品等について、以下の2要件を基に指定

1. 世界に先駆けて開発され、日本に最初(世界同時申請も可)に申請が計画されること(開発初期からPMDAの相談を受けていることが望ましい)
2. 作用機序等の非臨床試験データ及び開発初期(第Ⅰ相から前期第Ⅱ相まで)の臨床試験データから、既存の治療法に比した大幅な改善等、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれること

## 指定制度の内容

: 承認取得までの期間の短縮に関するもの

: その他開発促進に関する取組

### ①優先相談

〔 2か月 → 1か月 〕

○ 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

### ②事前評価の充実

〔 実質的な審査の前倒し 〕

○ 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

### ③優先審査

〔 12か月 → 6か月 〕

○ 総審査期間の目標を、6か月に。  
※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

### ④審査パートナー制度

〔 PMDA版コンシェルジュ 〕

○ 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

〔 再審査期間の延長 〕

○ 再審査期間の延長を含めた製造販売後の安全対策、海外への情報発信、学会との連携等の充実

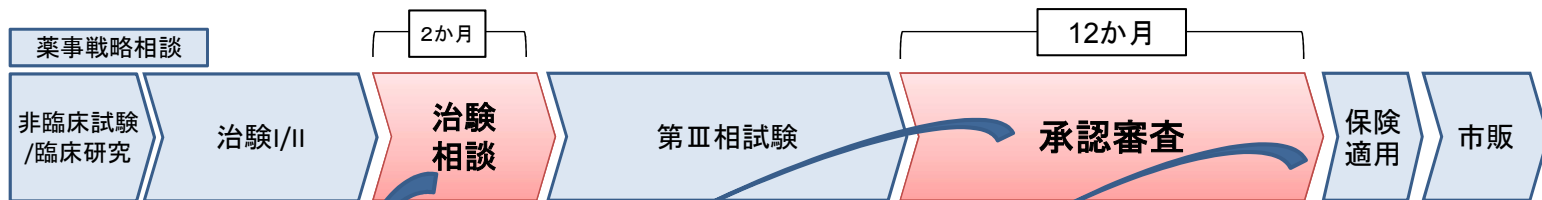
## 指定手続

1. 申請者が審査管理課に申請し、PMDAの評価を受け、60日以内に指定の可否を通知。
2. 審査管理課が申請者に指定の申請を打診し、申請があった場合、PMDAの評価を受け、30日以内に指定の可否を通知。

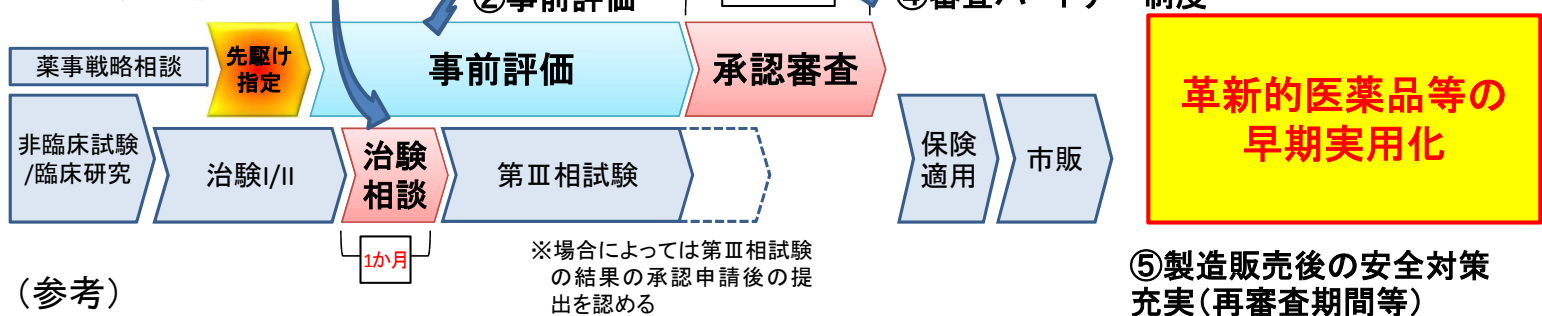
3

## 先駆け審査指定制度のイメージ

### 【通常の承認審査の場合】

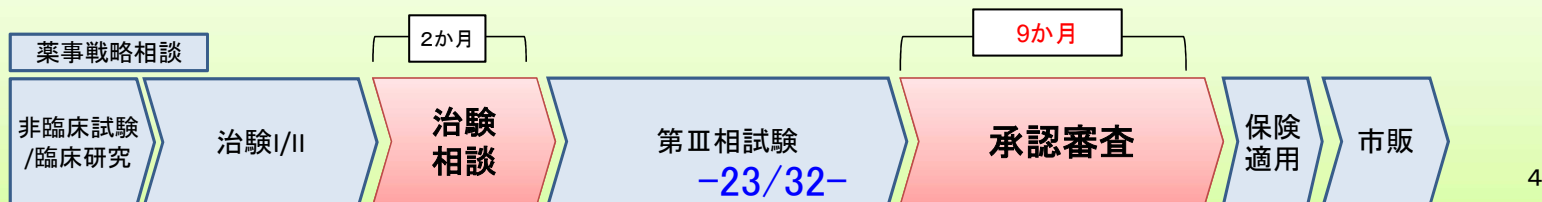


### 【先駆け指定を受ける場合】



(参考)

### 【優先審査の場合】



4

# 1. 指定基準

## ①治療方法の画期性について

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること（既承認と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患に適応するのは初めてであるもの、革新的な薬物送達システムを用いているものなどで、その結果、大幅な改善が見込まれるものも含む。）

## ②一刻も早い実用化が求められている疾患について

以下のいずれかの疾患に該当するもの

- ・生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

## ③対象疾患に係る著明な有効性について

既承認薬が存在しない又は既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれること（著しい安全性の向上が見込まれる場合も含む）

## ④世界に先駆けて日本で早期開発・申請されるものについて

日本における早期からの開発を重視し、世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のもの。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下のいずれか若しくは両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・FIH試験が日本で行われたもの、
- ・POC試験が日本で行われたもの

※指定段階で、世界で一番早く日本に申請を目指していることが確認できれば、他国の開発優遇制度との重複指定は問題ない。

5

# 2. 制度の内容

## ①優先相談 [ 2か月 → 1か月 ]

⇒優先対面助言として、搬入資料を用意した上で随時募集対応とすることで、事実上1ヶ月で実施する（資料搬入は4週間前）。

## ②事前評価の充実 [ 実質的な審査の前倒し ]

⇒半期に1回募集し、選択しているところ、先駆け審査指定を受けた品目は原則として、全て事前評価可能とする。

⇒精度の高い相談資料及び確定的な相談記録の要求は時間と負荷が増加するため、相談資料・相談結果記録をより簡便なものとする新たな相談枠を設定する。

## ③優先審査 [ 12か月 → 6か月 ]

⇒審査、GMP調査、信頼性調査のスケジュールを厳密に管理することで、総審査期間の目標を6か月に短縮する。

## ④審査パートナー制度 [ PMDA版コンシェルジュ ]

⇒専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定し、節目毎に進捗確認の面会、督促指示等を行い、必要な部署との連絡調整を行うことにより、円滑な開発を促進する。

## ⑤製造販売後の安全対策充実 [ 再審査期間の延長 ]

⇒法律の範囲内で合理的に設定（次24/32参照）。

6



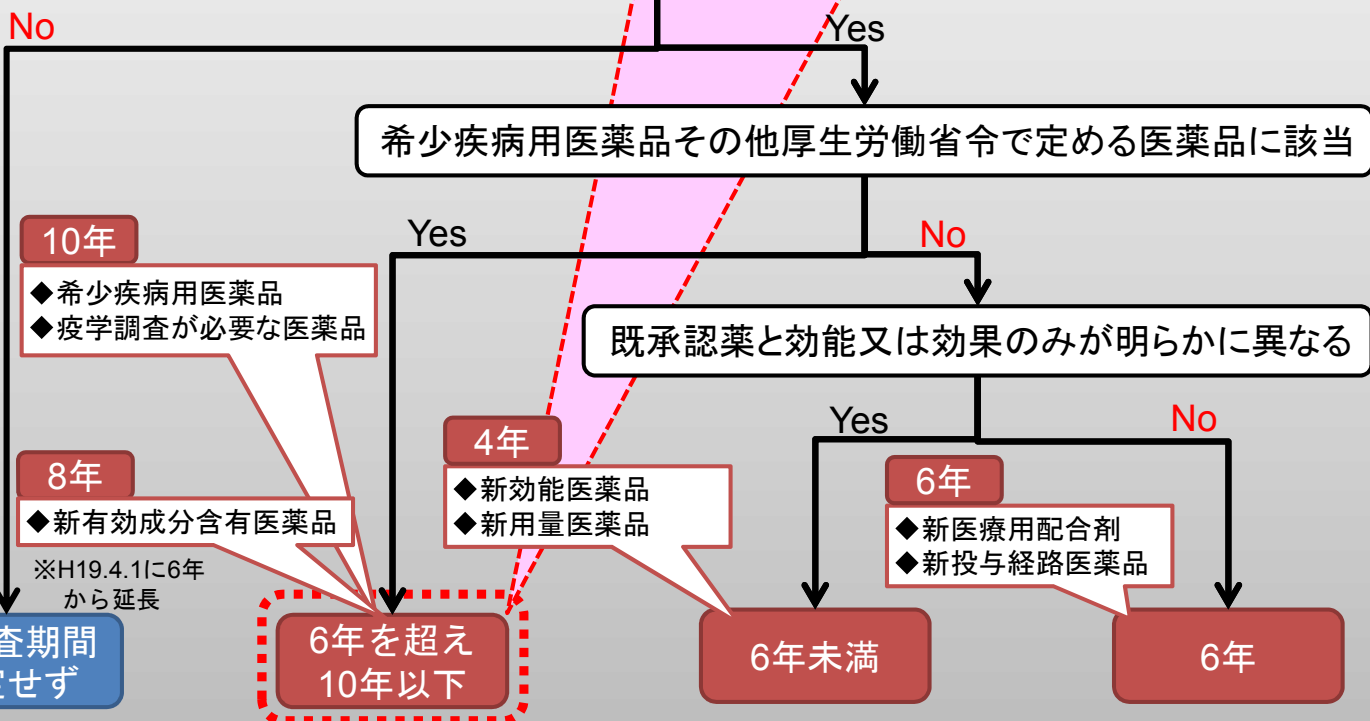
## 2. 制度の内容

### ～⑤製造販売後の安全対策充実～

#### 現状の再審査期間

「六年を超える期間当該医薬品の副作用によるものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又はその使用によるものと疑われる感染症その他の使用の成績等に関する調査が必要性」を評価して、6～10年で設定

既承認薬と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が、明らかに異なる



## 3. 指定手続き

### ステップ1：試行運用開始と公募

- ◆ PMDAの特定の審査部に案件が集中した場合、事務処理が滞り結果として有効なサービスの実現が困難となる恐れがあるため、初年度は試行として、事前評価相談と同様に公募形式から制度運用を開始する。
- ◆ 平成27年度始めに通知を発出し、1ヶ月程度の周知期間の後に、候補品目を公募する。

### ステップ2：候補品目に関するヒアリングと予備的選別

- ◆ 応募された候補品目に関するヒアリングを審査管理課にて実施し、指定基準に該当する可能性があるものを予備的に選別するとともに、評価用の資料の整備を行う。

### ステップ3：評価と順位付け

- ◆ PMDAの審査部別に応募案件を集計評価し、指定基準への適合性を確認し、適合した中でも優先順位をつける。特に優れていると判断されたものを選定する。

### ステップ4：指定と分科会報告

- ◆ 評価結果に基づいて、先駆け審査指定品目の指定するとともに公表。
- ◆ 指定結果について直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

※指定基準に該当しないことが明確になった場合には指定を取消し、直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告。

医薬品① CNT-01 (申請者：大阪大学医学部附属病院)

予定効能・効果

予定効能・効果

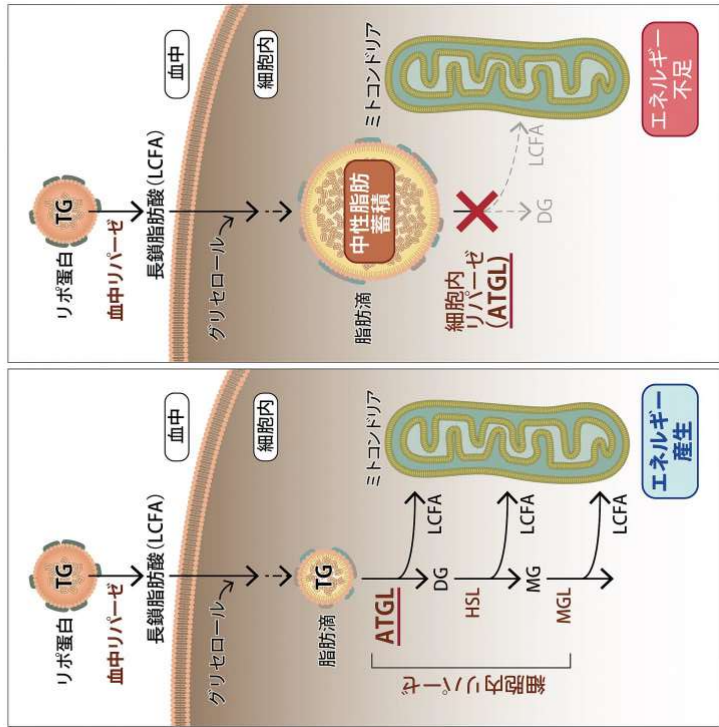
中性脂肪蓄積心血管症の症状及び予後改善

- ・ 中性脂肪蓄積心血管症 (TGCV) に対する初めての治療薬となり得る。
- ・ 第Ⅱa相試験等において、細胞内中性脂肪代謝の改善等が認められた。

作用機序等

TGCVの病態とトリカプリンの効果(仮説)

正常 ← トリカプリン — TGCV



CNT-01(トリカプリン、カプリン酸のトリグリセリド(TG)体)より遊離されるカプリン酸は、細胞内で長鎖脂肪酸(LCFA)とのキメラTGを形成して、ホルモン感受性リパーゼ(HSL)や脂肪組織トリグリセリドリパーゼ(ATGL)等の基質となるなどTG分解を促進して、TGCVにおける細胞内TG代謝異常を改善する

## 医薬品② エクリズマブ（遺伝子組換え）（申請者：アレクシオンファーマ合同会社）

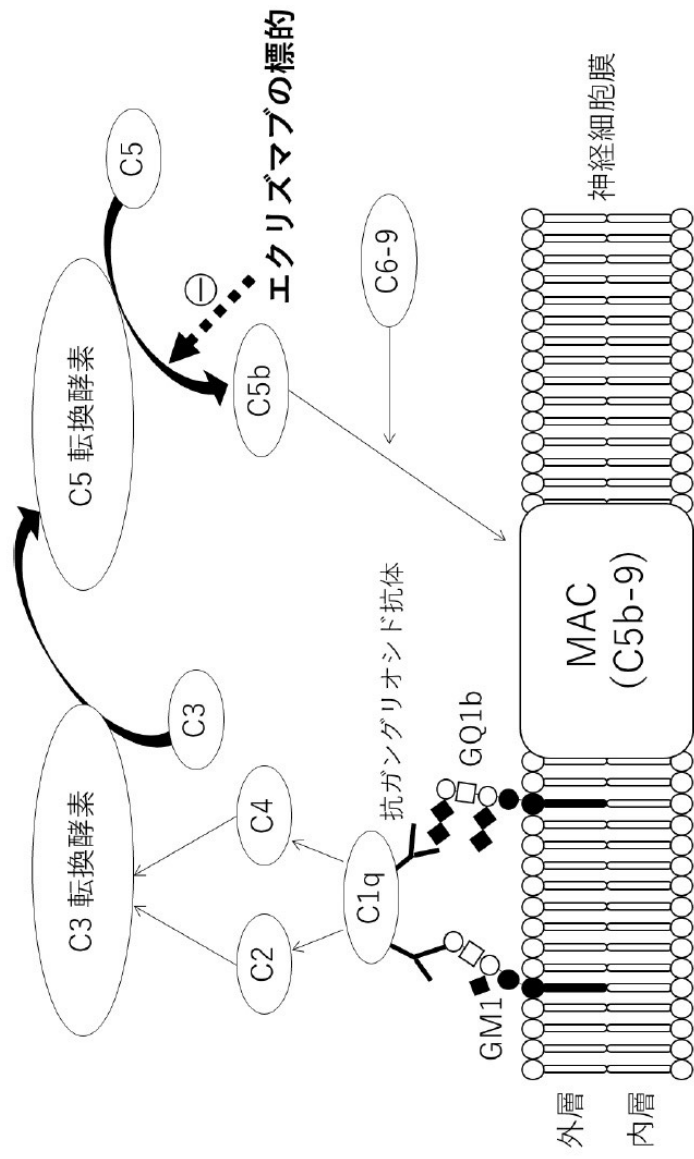
### 予定効能・効果

予定効能・効果  
ギラン・バレー症候群

- ・ エクリズマブ（遺伝子組換え）はこれまでの臨床試験成績から高い有効性が期待できる。

### 作用機序等

- ・ エクリズマブ（遺伝子組換え）がC5と結合することで、補体活性化に伴うC5のC5aとC5bへの開裂を阻害する。
- ・ C5の関与する補体カスケードを効果的に遮断することにより、炎症誘発性メデイエーターの放出及び細胞溶解性の孔形成（MAC形成）を抑制する。



# 医薬品③ M7824 (申請者：グラクソ・スミスクライン株式会社)

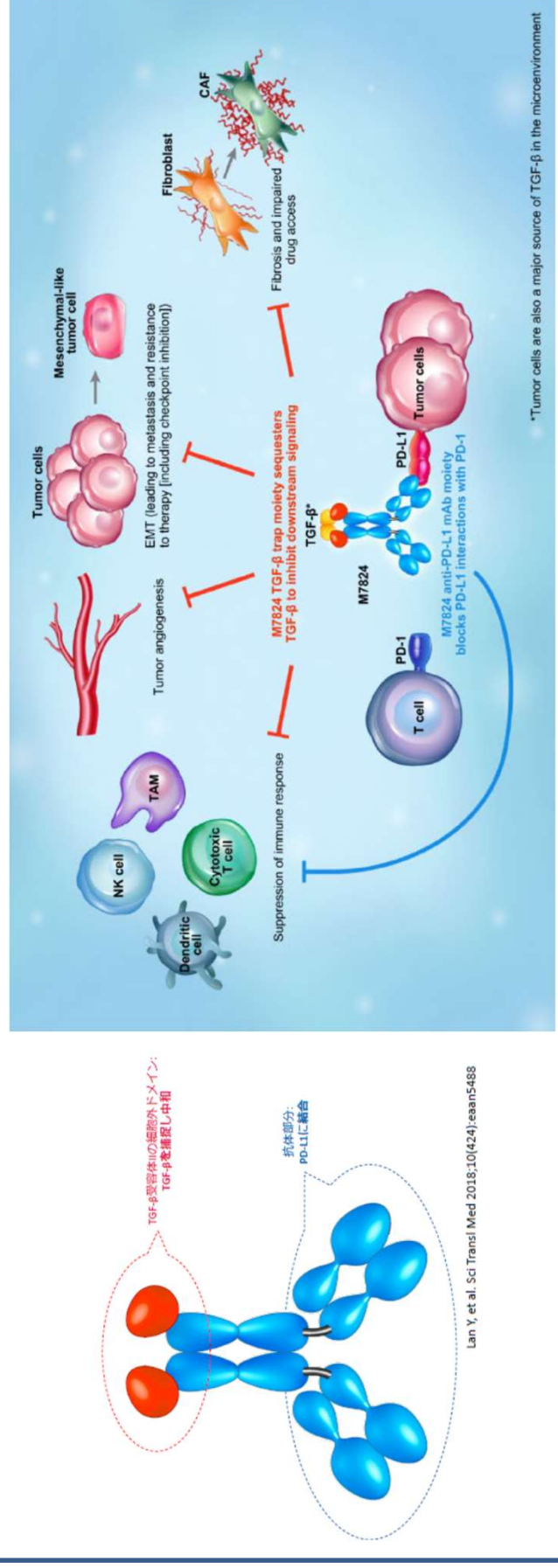
## 予定効能・効果

予定効能・効果  
胆道癌

- M7824はこれまでの臨床試験成績から高い有効性が期待できる。

## 作用機序等

- PD-L1に対する免疫グロブリンG1(IgG1)サブクラスのモノクローナル抗体の各重鎖のC末端に、フレキシブルなリンカーを介してTGFβR IIの細胞外ドメインを共有結合させた二重機能性の融合タンパク
- TGFβの中和作用及びPD-L1阻害作用によって腫瘍微小環境における免疫抑制機構を阻害する



# 機器① 脳動脈瘤治療用多孔化カバードステント

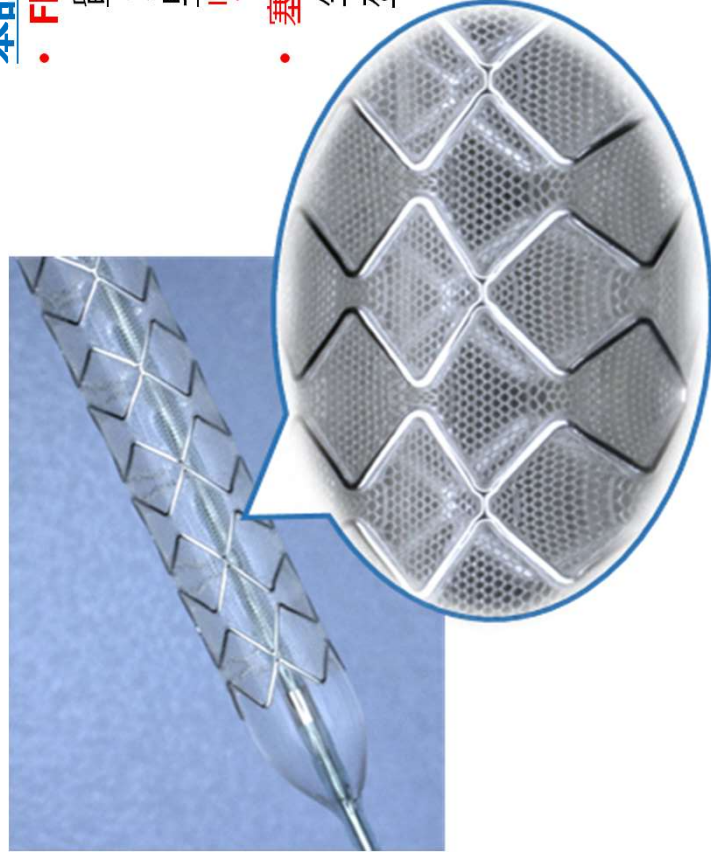
申請者 : 株式会社グッドマン  
 品目名 : 多孔化カバードステント (仮称)  
 予定効能 : 未破裂脳動脈瘤に対して、主要な側枝を温存しつつ、血栓化過程を促進する瘤内の血流安定化を図ることで瘤の塞栓、器質化を高め、瘤の破裂リスクを低減する。

## 国立循環器病研究センターとの共同開発

最大径 7.0mm 以上のワイドネック型又は紡錘状の動脈瘤は、従来の血管内治療 (脳動脈瘤コイル塞栓術) や外科的治療 (クリッピング術、バイパス併用母血管閉塞術) では治療が困難

### 本品の特徴

- ・ 流体力学に基づいて緻密に設計されたステントストラット
- ・ 微細孔の多孔化ポリウレタン製薄膜が内膜形成の土台となる
- ・ バルーン拡張型デバイス

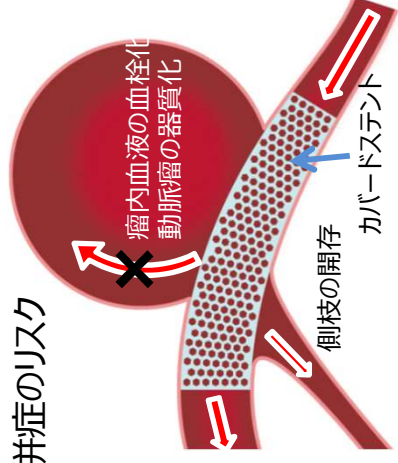


### 既存血管内治療の主な問題点

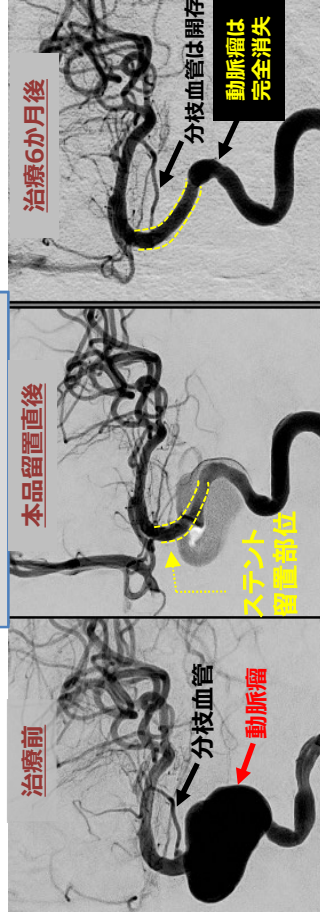
- ・ 血管内治療 (コイル塞栓術 等)
  - 動脈瘤の不完全閉塞、再開通、増大
  - 塞栓性・出血性合併症のリスク

### 本品に期待される効果

- ・ **Flow isolation 効果**  
 留置直後より瘤内への流入血流を大幅に抑制、それに伴う瘤内血液の早期血栓化により出血性合併症のリスクを回避
- ・ **塞栓性合併症のリスク回避**  
 生体親和性の高い薄膜が内膜形成を促進、側枝の開存も保持



治療の代表症例 (内頸動脈)



## 機器② テイラーメイド方式心臓サポートネット

申請者：株式会社iCorNet研究所

品名：心臓サポートネット(仮称)

予定効能：拡張型心筋症に適應し、心臓リモデリング防止することにより心不全進行を防止する



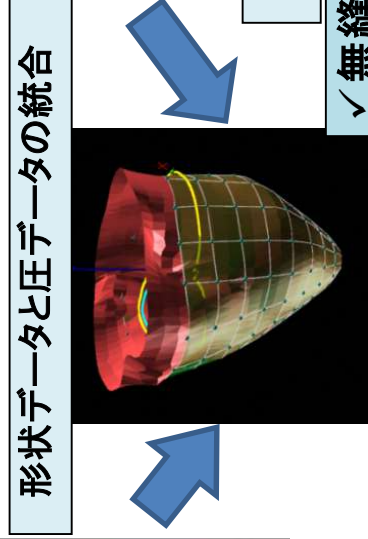
心臓画像



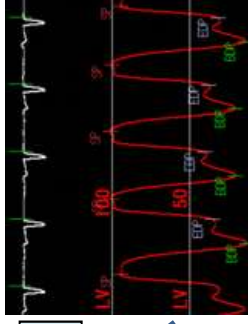
拡張期

心室全体

患者毎の3次元心臓モデル



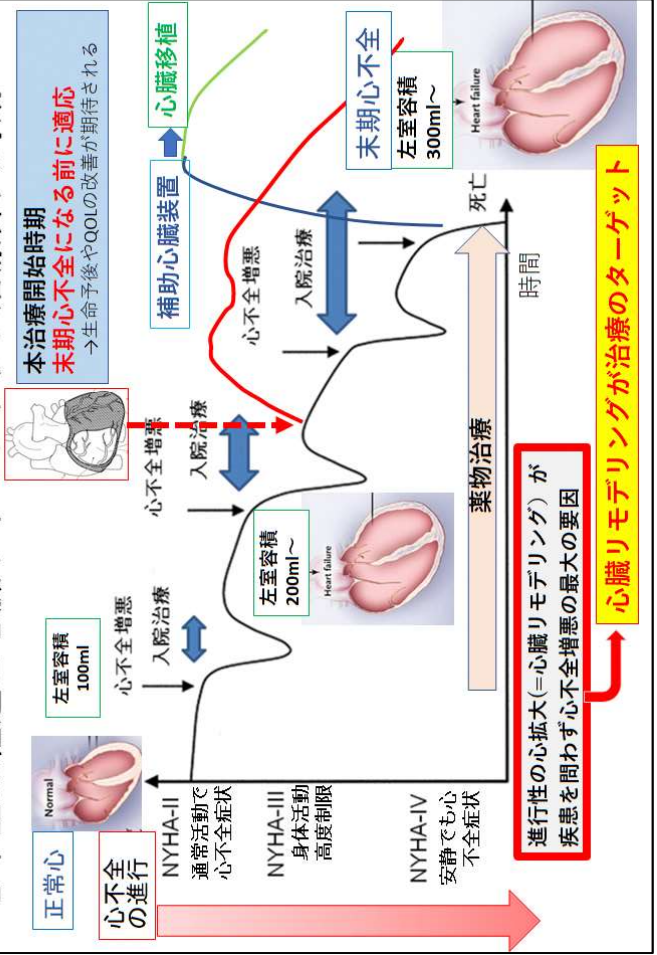
形状データと圧データの統合



心臓カテーテル検査  
(拡張末期圧計測)

✓無縫製コンピュータ編み機  
で製造

### 心不全の経過と心臓サポートネット治療介入時期



⇒患者毎の形状により装着

性が向上し、低侵襲・  
手術時間短縮に寄与

✓右室穴あき構造

⇒右室拡張能障害回避  
(右心負荷を回避)

✓左心室へ最適に着圧する  
ように設計

⇒左室への十分な着圧

→ 確実な心臓リモデリング  
防止



右室穴あき構造  
心臓サポートネット

# 機器③ 造血器腫瘍遺伝子パネル検査

申請者：大塚製薬株式会社

品目名：造血器腫瘍遺伝子パネル検査（仮称）

予定される使用目的：検体より抽出したDNA・RNA中の造血器腫瘍遺伝子異常の検出（日本血液学会の造血器腫瘍ゲノム検査ガイドラインに基づく造血器腫瘍遺伝子のプロファイリング）

## 背景

造血器腫瘍では、造血器腫瘍特有の様々な遺伝子異常が診断・予後予測・治療方法の選択に重要であり、広範なゲノム情報が取得できる網羅的な遺伝子検査法が必要とされている。

## 本検査の特徴

- ✓ 腫瘍/正常DNAペア解析と腫瘍RNA解析により、造血器腫瘍に関わる遺伝子変異・再構成・融合遺伝子などの網羅的検出を、高精度に実現する次世代シーケンサーを利用したパネル検査
- ✓ 小児を含む全年齢を検査対象とし、高い割合で診断・治療・予後予測に貢献

## サンプル

腫瘍部  
(末梢血、FFPE等)



抽出  
DNA

抽出  
RNA

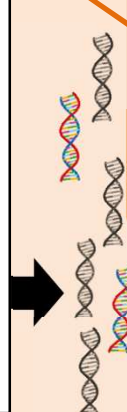
正常部(口腔粘膜)



抽出  
DNA

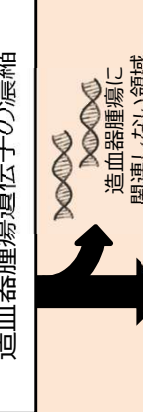
## ライブラリ調製

抽出核酸断片化・RNAの逆転写



カスタム  
キャプチャ  
試薬

キャプチャ試薬による  
造血器腫瘍遺伝子の濃縮



造血器腫瘍遺伝子の  
濃縮ライブラリ

シーケンシング

## 多項目の網羅的検出を可能にする試薬設計

### DNA由来ライブラリの遺伝子異常

1. 遺伝子変異  
CEBPA, IDH1/2, FLT3変異 (AML)  
SF3B1変異 (MDS)  
EZH2変異 (B-NHL) etc.  
再構成 (IgH関連など)、構造異常  
IgH再構成の同時多項目測定 (MM)  
IgH-IL3再構成 (ALL) etc.  
3. コピー数変化  
17p13欠失 (CLL) etc.

### RNA由来ライブラリの遺伝子異常

1. 多くのパートナー-既知の融合  
Major/minor BCR-ABL1  
RUNX1-RUNX1T1  
FIP1L1-PDGFRα  
NPM1-ALK etc.  
2. パートナーが多様な融合  
KMT2A, NTRK3, ABL1 etc.

## シーケンシング

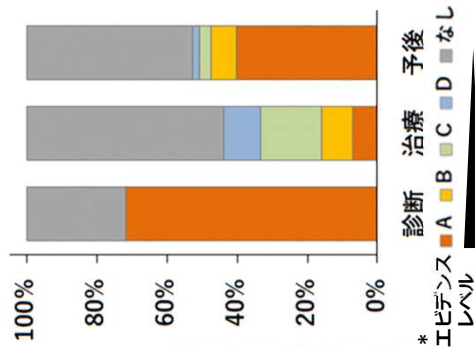


## データ解析



造血器腫瘍で実績のある Genomon\*

## 臨床的有用性の高い遺伝子異常が検出される割合



\* 造血器腫瘍ゲノム検査ガイドラインにおける臨床的エビデンスレベル



\* Genomon：東京大学が開発した、シーケンシングデータのマップング・解析を行い、遺伝子異常候補の一覧を出力するソフトウェア

# 再生 誘導型抑制性T細胞（申請者：株式会社JUNTEN BIO）

順天堂大学・日本移植学会の産学協同事業

予定効能・効果

## 肝移植後の免疫抑制剤の減量・中断

先行臨床研究の成績

- ◆肝移植10例：70%（10人中7人）で免疫抑制剤から離脱
- ◆臨床上問題となるような副作用は認められていない

作用機序等

