

先駆け審査指定制度（具体的な制度の概要）

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。

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、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、医薬品・医療機器では通常の半分の6ヶ月間で承認）を目指す「先駆け審査指定制度」を平成27年4月1日に創設。

指定の考え方

- 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、
 1. 世界に先駆けて開発され、日本に最初に申請が計画されること。
(世界同時申請も可。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。

➡ ①画期性、②対象疾患の重篤性、③高い有効性、④日本で早期に開発・申請

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。

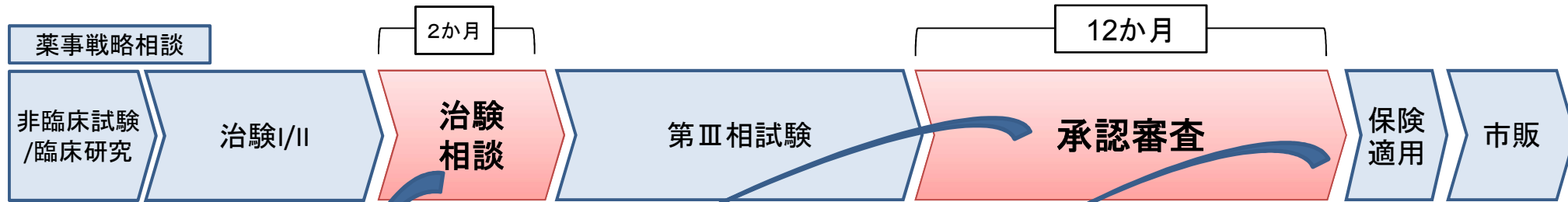
⑤製造販売後の安全対策充実

〔 再審査期間の延長 〕

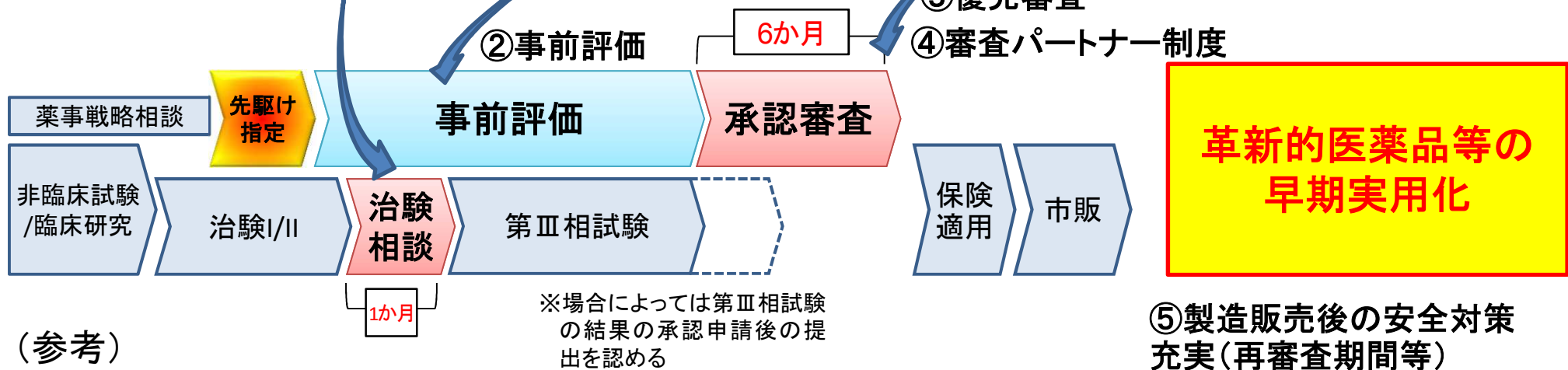
- 通常、新有効成分含有医薬品の再審査期間が8年であるところを、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

先駆け審査指定制度のイメージ

【通常の承認審査の場合】

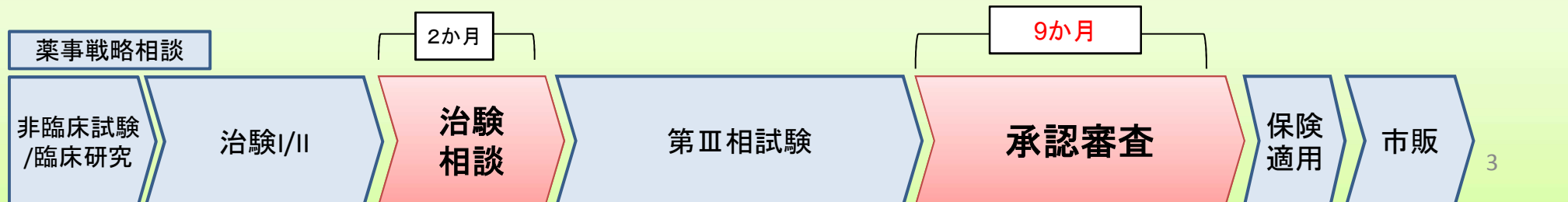


【先駆け指定を受けた場合】



(参考)

【優先審査の場合】



1. 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。

2. 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予定のもの（同時申請も含む）。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

指定品目一覧

○平成27年10月27日付で以下の医薬品6品目を先駆け審査指定制度の対象品目に指定。

No.	品目名	予定効能・効果	申請者
1	シロリムス(NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ(株)
2	NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	日本新薬(株)
3	S-033188	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	塩野義製薬(株)
4	BCX7353	遺伝性血管浮腫の患者を対象とした血管性浮腫の発作管理	(株)Integrated Development Associates
5	ASP2215	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	アステラス製薬(株)
6	ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)	治療切除不能な進行・再発の胃癌	MSD(株)

※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。

指定品目一覧

○平成28年2月10日付で

以下の医療機器2品目、再生医療等製品3品目を先駆け審査指定制度の対象品目に指定。

<医療機器>

No.	医療機器の名称	品目概要
1	チタンブリッジ(甲状軟骨形成術2型)	発声時に声帯が過剰に閉鎖することで声に障害の出る内転型痙攣性発声障害において、その閉鎖を防止する手術法(甲状軟骨形成術2型)で用いられるチタン製の蝶番型プレートであり、複数の国内大学と共同でノーベルファーマ(株)が開発
2	癒着防止吸収性バリア	トレハロースを腹腔内全体に注入し、腹腔内の細胞膜に結合(水素結合)させることで、臓器や腹膜の術後癒着を低減させるものであり、東京大学・大学院工学系研究科バイオエンジニアリング専攻・鄭 雄一教授らのシーズを元に、(株)大塚製薬工場が開発

<再生医療等製品>

No.	再生医療等製品の名称	品目概要
1	STR01(自家骨髄間葉系幹細胞)	脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的とする、患者自身の骨髄から採取した骨髄液から分離、培養した間葉系幹細胞であり、札幌医科大学・医学部附属フロンティア医学研究所・神経再生医療学部門・本望 修教授のシーズを元に、本大学と共同でニプロ(株)が開発
2	G47Δ	悪性脳腫瘍(神経膠腫)への適応を目的とした、制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型であり、東京大学・医科学研究所・先端がん治療分野・藤堂 具紀教授のシーズを元に、藤堂教授と共同で第一三共(株)が開発
3	自家心臓内幹細胞	小児先天性心疾患(機能的単心室症)患者に実施する外科的修復術後の心機能改善を目的とした、患者自身の心臓から採取した組織から分離、培養した心臓内幹細胞懸濁液であり、岡山大学病院・新医療研究開発センター再生医療部・王 英正教授のシーズを元に、(株)日本再生医療が開発

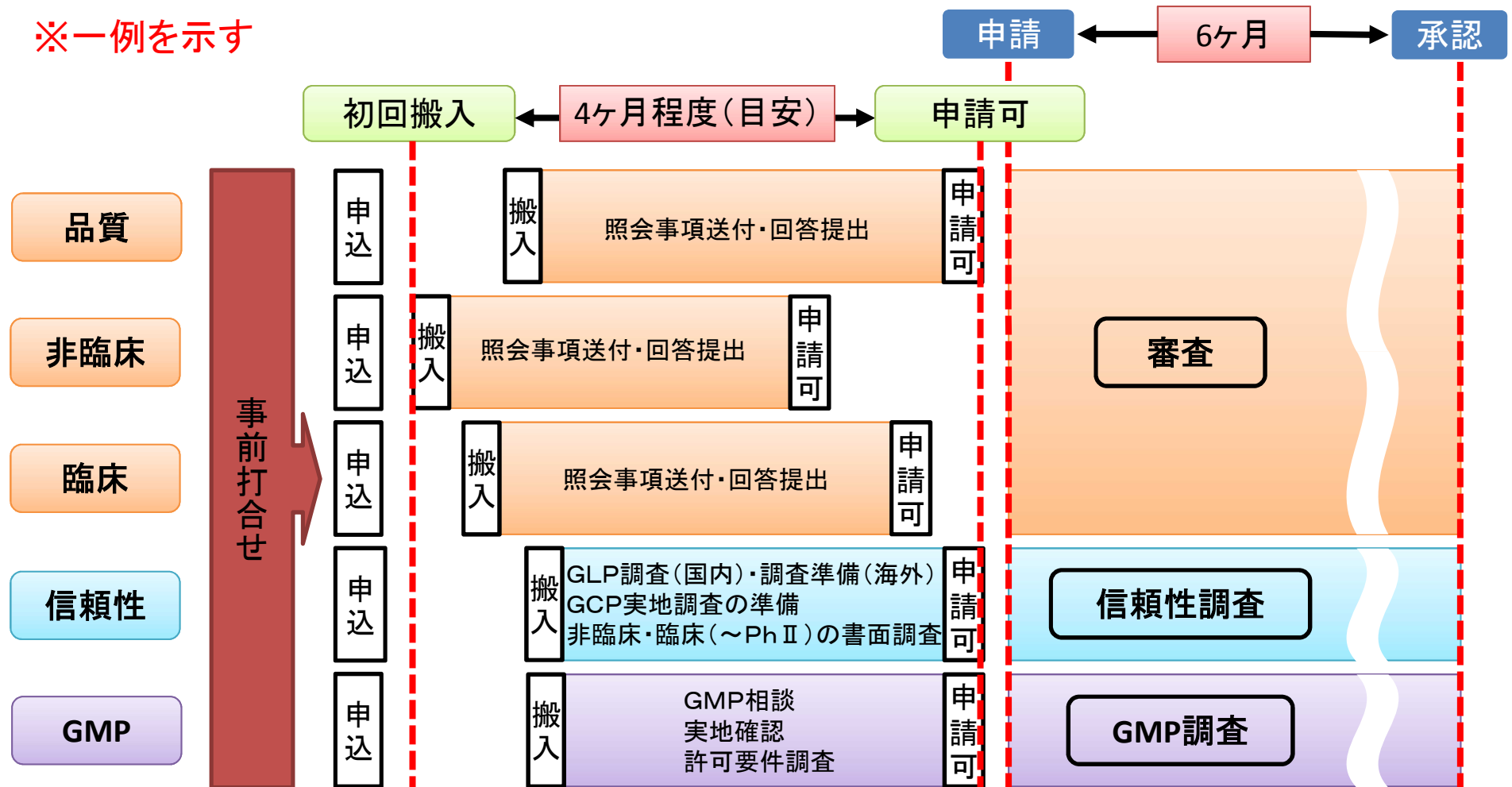
新医薬品の先駆け総合評価相談

- ・ 先駆け審査指定制度における優先審査を円滑に行うため、審査・調査と切れ目のない事前の評価等を行うもの
- ・ 既存の事前評価相談とは別に、先駆け審査指定制度に特化した相談枠として新たに設置

対象品目	先駆け審査指定を受けた品目
相談区分	品質、非臨床、臨床、信頼性、GMP ※全区分の実施を原則とする
主な 相談資料	【品質／非臨床／臨床】 ・CTDモジュール2(案)、又はモジュール3～5の結果を踏まえて説明及び考察を行った資料 ・CTDモジュール3～5 【信頼性／GMP】 提出が必要な資料を個別に信頼性保証部又は品質管理部に相談 ※各相談において、相談資料を分割して提出することも可(事前の確認が必要)
相談記録	申請確認文書＝申請可とする旨＋解決すべき照会事項を記載したもの
期間	最初の相談区分の資料搬入から最後の相談区分の申請確認文書の伝達までは、4ヶ月程度を目安とする ※申請確認文書の伝達は申請後となる場合もある

先駆け総合評価相談の流れ(医薬品の場合)

※一例を示す



- 相談に先立ち、PMDAの審査パートナーと事前打合せを行い、相談の進め方(提出資料、相談スケジュール等)を調整
- それぞれの相談を円滑に進めるため、審査パートナーとの連携を綿密に行うことが重要