

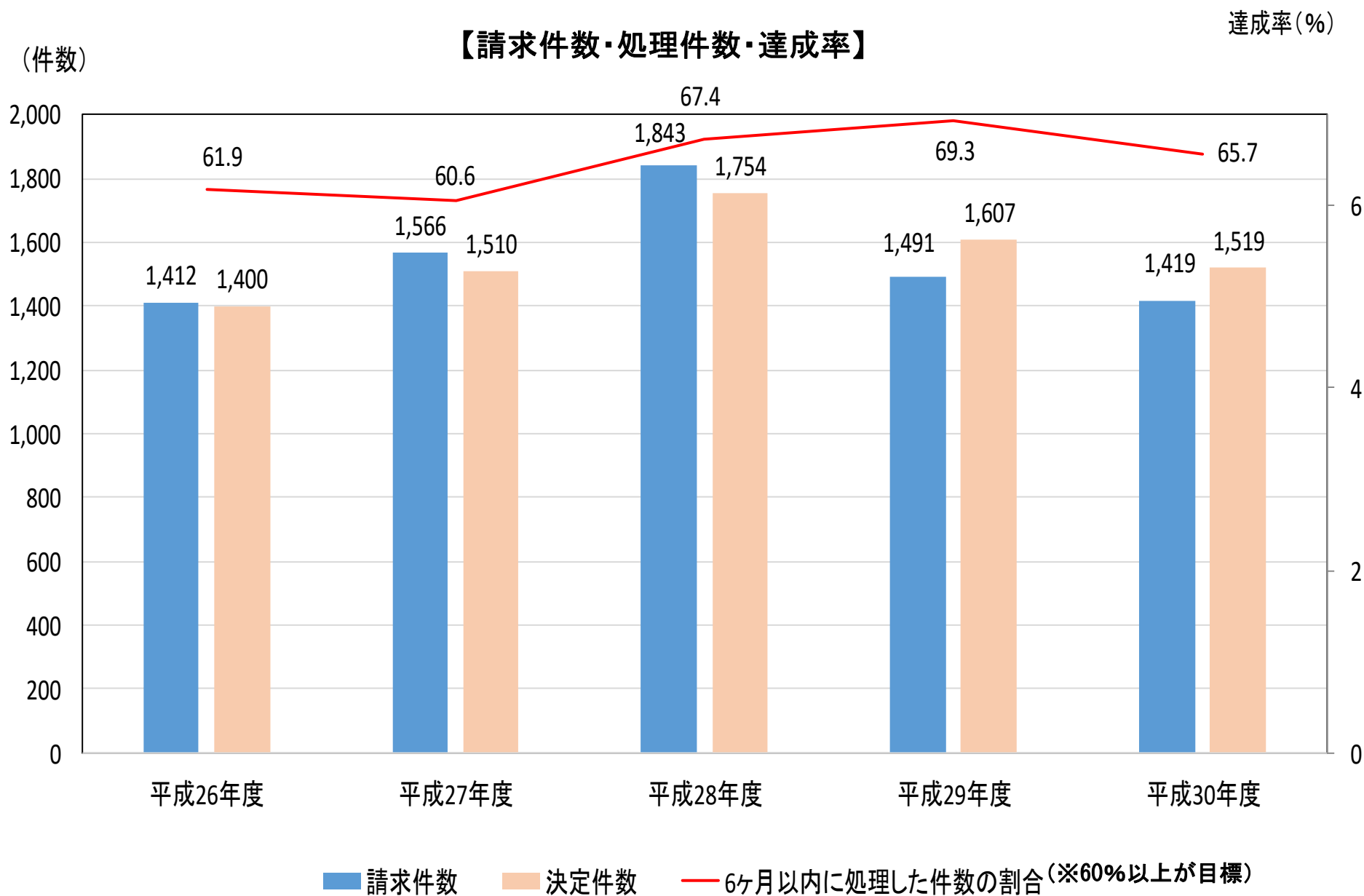
- 平成30年度業務実績評価説明 補足資料
- 中期目標期間(平成26-30年度)  
評価説明 補足資料



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

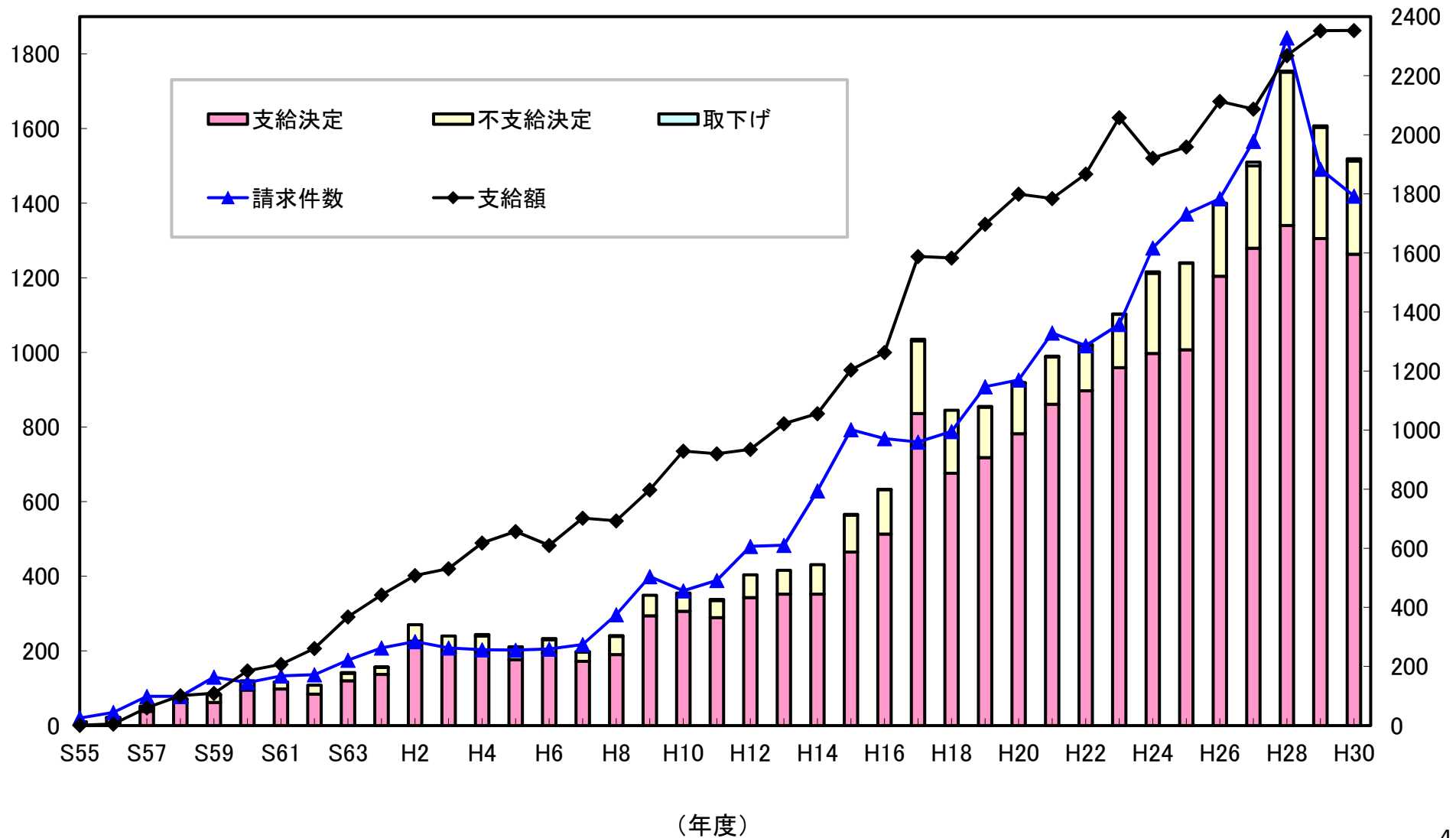
## 1-2 業務の迅速な処理及び体制整備(救済)

# 迅速な救済事案の処理（副作用被害救済業務）



# 迅速な救済事案の処理（副作用被害救済業務）

年度別支給件数及び支給額の推移 金額(百万円)



# 副作用被害救済 給付種類別支給実績

(単位:千円)

種類	平成26年度		平成27年度		平成28年度		平成29年度		平成30年度	
	件数	支給金額	件数	支給金額	件数	支給金額	件数	支給金額	件数	支給金額
医療費	1,108	123,987	1,146	118,235	1,190	136,997	1,178	118,173	1,156	117,788
医療手当	1,151	95,457	1,220	112,040	1,269	120,109	1,240	109,652	1,206	100,214
障害年金	37	943,939	47	1,002,305	53	1,082,599	45	1,156,881	35	1,194,996
障害児養育年金	2	38,965	8	43,675	6	42,153	4	35,676	2	32,673
遺族年金	31	585,626	23	580,934	31	607,497	36	642,861	27	642,762
遺族一時金	45	310,806	32	218,891	38	263,243	38	272,887	35	252,050
葬祭料	72	14,507	53	10,822	73	14,944	75	15,415	62	12,742
合計	2,446	2,113,286	2,529	2,086,902	2,660	2,267,542	2,616	2,351,545	2,523	2,353,225

注1: 件数は、当該年度の支給決定件数であり、支給金額は新規及び継続者に対する給付額である。

注2: 支給金額については、単位未満は四捨五入してあるので、数値の合計は必ずしも一致しない。

# 副作用救済制度及び感染等救済制度の実績

## 副作用被害救済制度の実績

年度	26年度	27年度	28年度	29年度	30年度
請求件数	1,412 < 39>	1,566 < 152>	1,843 < 334>	1,491 < 141>	1,419 < 86>
決定件数	1,400 < 4>	1,510 < 75>	1,754 < 314>	1,607 < 223>	1,519 < 111>
支給決定	1,204 < 2>	1,279 < 56>	1,340 < 117>	1,305 < 93>	1,263 < 56>
不支給決定	192 < 2>	221 < 18>	411 < 196>	298 < 130>	250 < 55>
取下げ件数	4 < 0>	10 < 1>	3 < 1>	4 < 0>	6 < 0>
支給額	2,113百万円	2,087百万円	2,268百万円	2,352百万円	2,353百万円
6カ月以内 処理件数 達成率	867 61.9%	915 60.6%	1,182 67.4%	1,113 69.3%	998 65.7%
処理期間(中央値)	5.7月	5.6月	5.3月	5.3月	5.4月

注1) 請求・決定件数欄にある< >内は、HPV事例の数値であり、内数である。

注2) 達成率は、当該年度中に決定されたもののうち、6ヶ月以内に処理できたものの割合である(6カ月以内処理の割合の目標値は60%以上)。

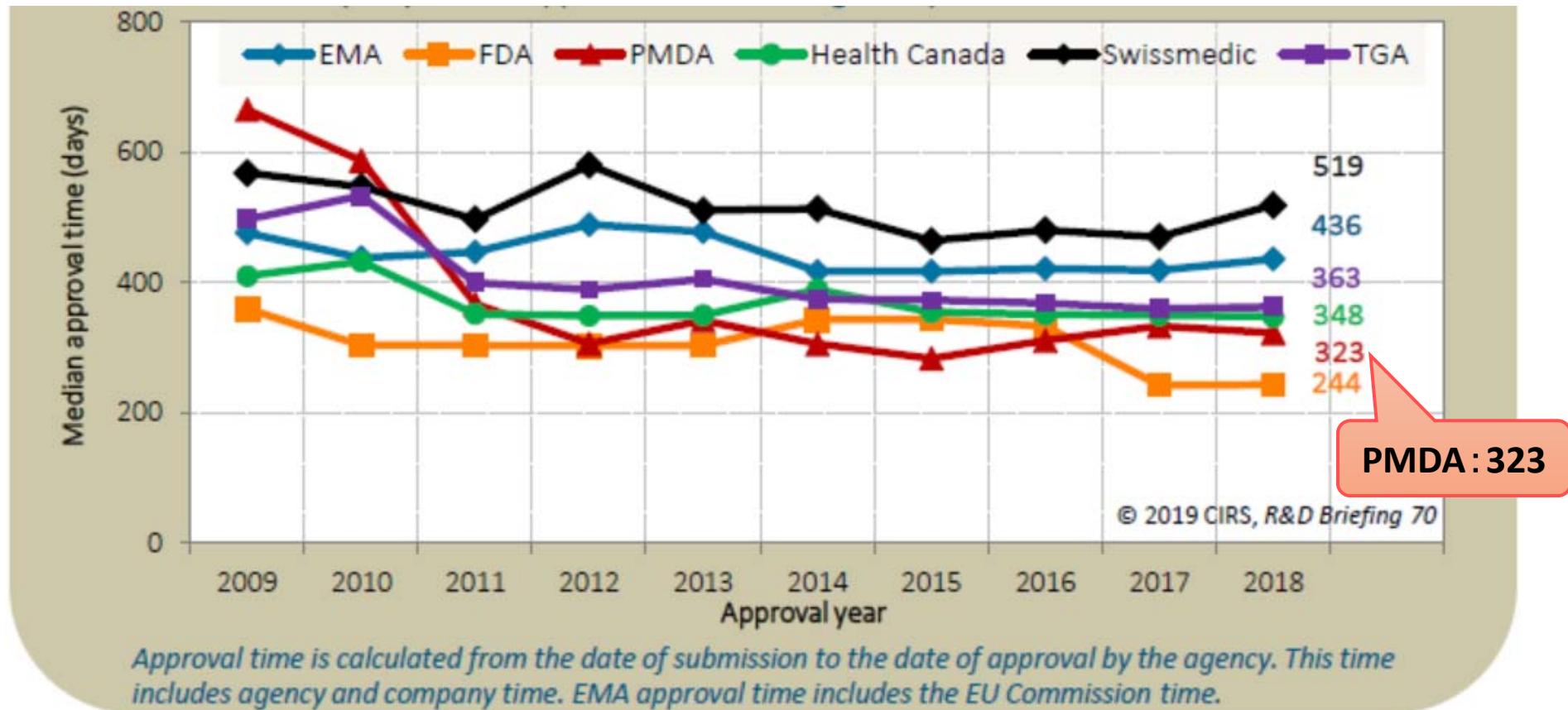
## 感染等被害救済制度の実績

年度	26年度	27年度	28年度	29年度	30年度
請求件数	3	6	1	3	7
決定件数	7	2	5	2	7
支給決定	6	1	3	2	6
不支給決定	1	1	2	0	1
取下げ件数	0	0	0	0	0
支給額	3,239千円	2,563千円	1,306千円	587千円	7,838千円
6カ月以内 処理件数 達成率	3 42.9%	1 50.0%	1 20.0%	1 50.0%	6 85.7%
処理期間(中央値)	6.3月	7.5月	10.0月	10.2月	4.6月

## 1-5 業務の迅速な処理及び体制整備(医薬品)

# 2009-2018年における新有効成分の審査期間（中央値）の比較

New active substance (NAS) median approval time for six regulatory authorities in 2009-2018



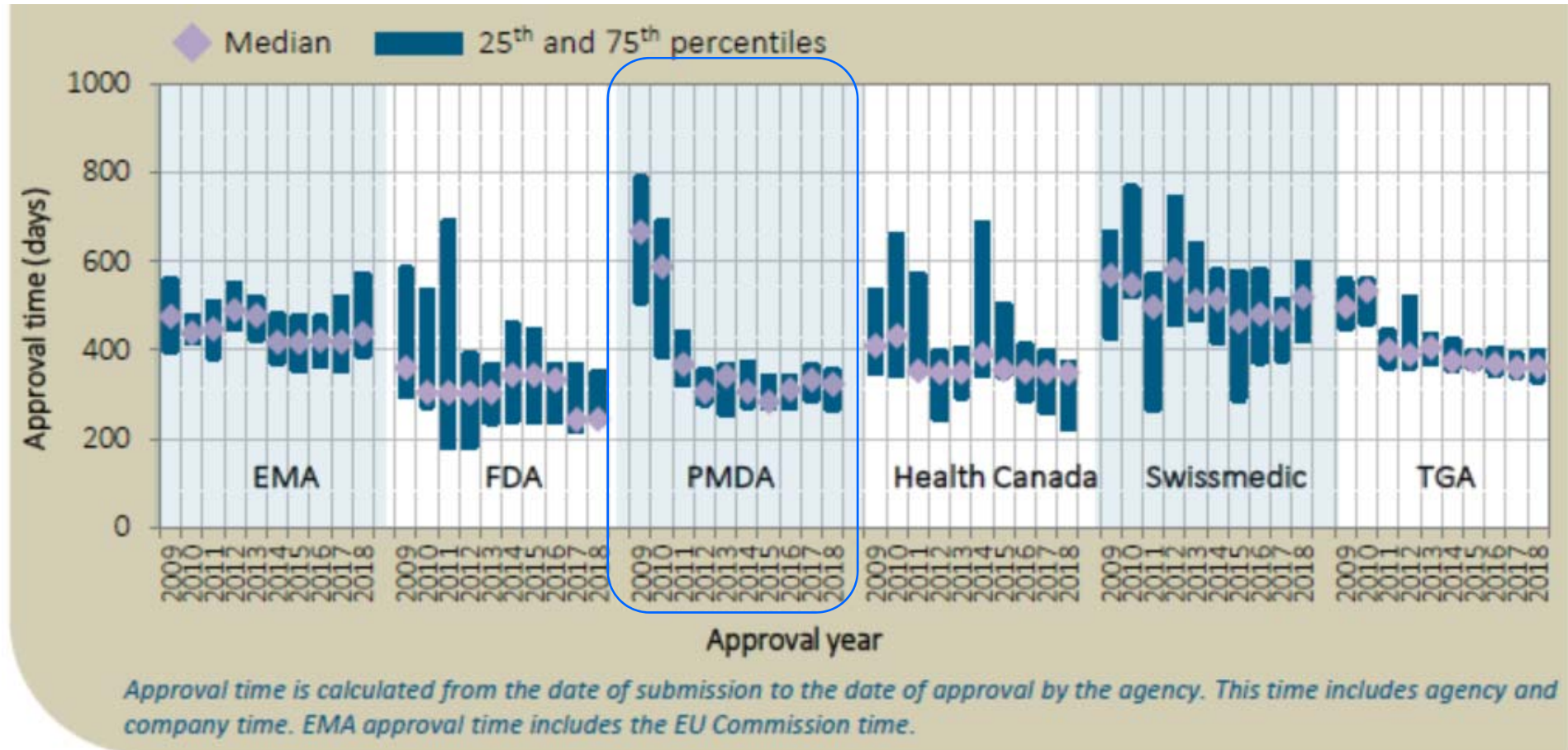
In 2018, FDA (CDER and CBER) approved the highest number of NASs (60), followed by EMA (40), Health Canada (32), PMDA (32), Swissmedic (31), and TGA (29).

**PMDAは2011年から世界最速レベルの審査期間を堅持  
2014～2016年には、3年連続で、PMDAが新有効成分の審査期間（中央値）世界最速を達成**



# 2009-2018年における新有効成分の審査期間（25-75%タイル値）の比較

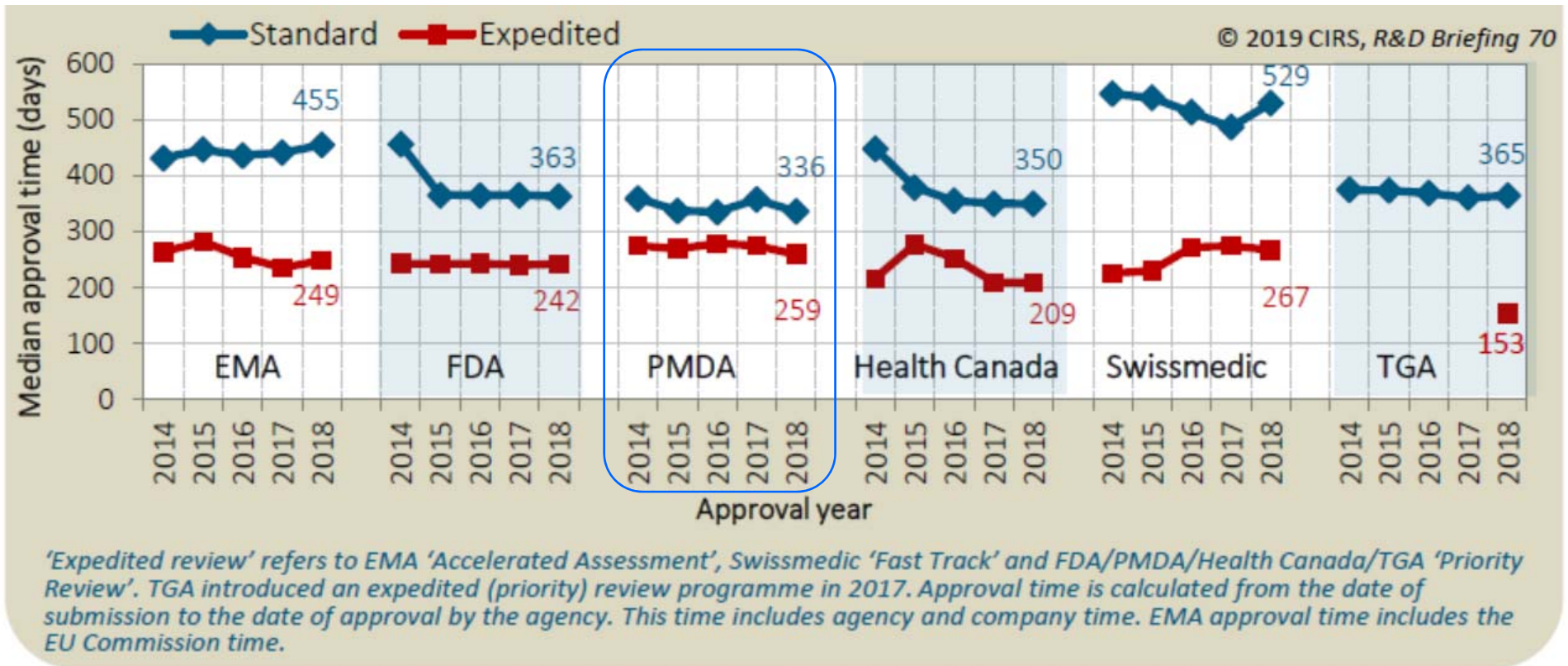
NAS approval time for six regulatory authorities in 2009-2018



2011年以降、PMDAの審査期間は25%タイル値と75%タイル値に大きな差がなく、予見性をもった審査を継続  
第四期中期目標期間では、審査の「質」の向上にも注力

# 2014-2018年における新有効成分の 通常品目と優先審査品目の審査期間の比較

NAS median approval time by review type for six regulatory authorities in 2014-2018



通常品目の審査期間は2018年では日本が世界最速であり、  
優先審査品目においても世界最速レベル

# 先駆け審査指定制度 承認品目一覧（その1）

H31年3月末時点

## 医薬品

指定日	販売名（一般名）	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 効能又は効果	承認日
H27.10.27	ゾフルーザ錠10mg、同錠20mg （バロキサビルマルボキシル）	塩野義製薬（株）	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	H30.2.23
H27.10.27	ラパリムスゲル0.2% （シロリムス）	ノーベルファーマ （株）	結節性硬化症に伴う皮膚病変	H30.3.23
H27.10.27	ゾスパタ錠40mg （ギルテリチニブフマル酸塩）	アステラス製薬 （株）	再発又は難治性のFLT3遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	H30.9.21
H30.3.27	ビンダケルカプセル20mg （タファミジスメグルミン）	ファイザー（株）	トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型） ※効能追加	H31.3.26

平成30年度に新たに承認された品目

# 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。

平成30年度も引き続き当該制度を試行的に実施した。

## 指定基準

※医薬品の例

1. 治療薬の画期性:原則として、既承認薬と異なる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に適応するのは初めてであるものを含む。)
2. 対象疾患の重篤性:生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく社会生活が困難な状態が継続している疾患であること。
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又は既承認薬に比べて有効性の大幅な改善が期待できること。
4. 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思(同時申請も含む。)

## 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 ]

- 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 承認品目（医薬品）

医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能・効果
ゾフルーザ錠10mg、同錠20mg 一般名: バロキサビル マルボキシル (塩野義製薬株式会社)	インフルエンザウイルスが細胞内で増殖する際のウイルスmRNA合成に必要なキャップ依存性エンドヌクレアーゼを阻害し、インフルエンザウイルスの増殖を抑制する新規作用機序のインフルエンザ治療薬。	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症

- 塩野義製薬株式会社で創製された、日本オリジンの新規作用機序である抗インフルエンザウイルス治療薬

＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- ・平成27年10月、先駆け審査品目(医薬品)に指定。
- ・平成29年10月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年2月、新有効成分含有医薬品として承認。

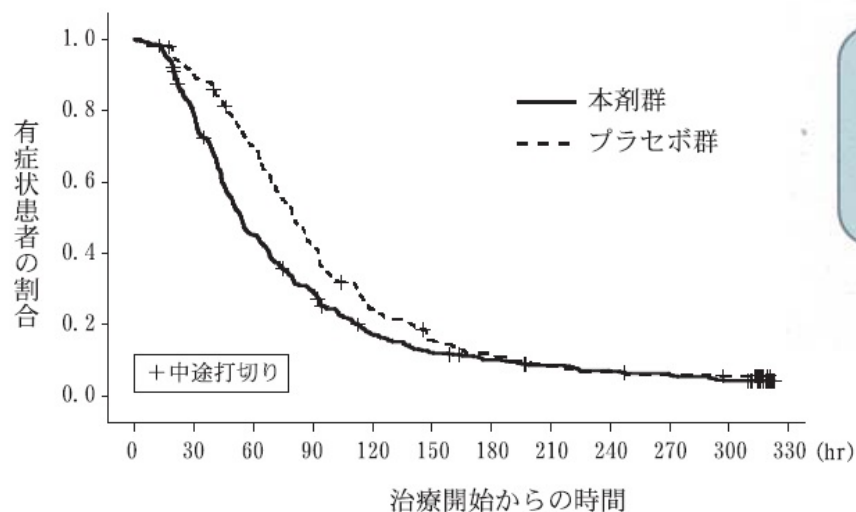


図1 国際共同第Ⅲ相臨床試験での Kaplan-Meier 曲線  
ゾフルーザ錠添付文書臨床成績の項から引用

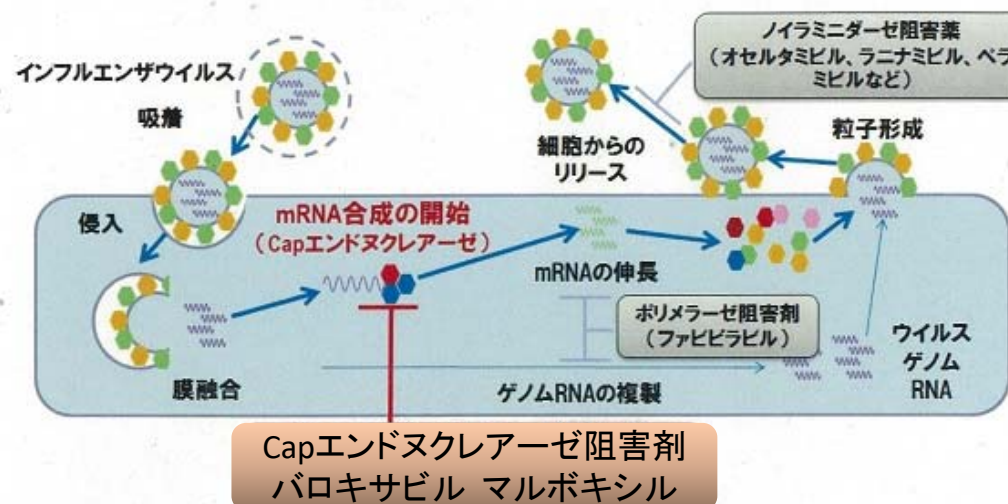


図2 塩野義製薬株式会社プレスリリース資料から引用、一部改変

# 先駆け審査指定制度 承認品目（医薬品）

医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能・効果
ラパリムスゲル0.2% 一般名: シロリムス (ノーベルファーマ株式会社)	結節性硬化症は常染色体優性遺伝性疾患であり、原因遺伝子 <i>TSC1</i> 及び <i>TSC2</i> の異常により、下流の mTOR が恒常的に活性化され細胞増殖等が促進されることで全身の皮膚等に過誤腫(良性の腫瘍)が生じる難治性疾患。本品目は、mTOR 阻害作用を有する外用剤であり、顔面等皮膚病変での細胞増殖を抑える。従来のレーザー、液体窒素を用いた冷凍凝固術又は外科的治療等の侵襲性の高い治療法に代わる非侵襲的治療を目的として開発された。	結節性硬化症に伴う皮膚病変

- 大阪大学大学院医学系研究科金田眞理講師らによる厚生労働省及びAMED革新的医療技術創出拠点の支援を受けた研究成果を基にノーベルファーマ株式会社が開発。国内外で結節性硬化症に伴う皮膚病変の適応を有する薬剤はなかった。

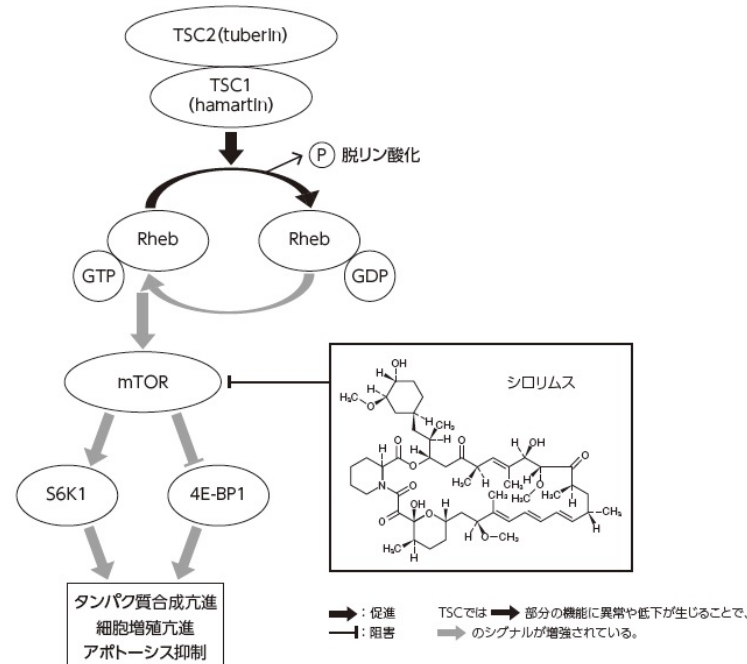
<先駆け審査指定制度に係る経過>

- ・平成27年10月、先駆け審査品目(医薬品)に指定。
- ・平成29年10月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年3月、新投与経路医薬品として承認。



図1 大阪大学プレスリリース 図2 ラパリムスゲルインタビューフォームよりそれぞれ引用

図2 シロリムスの作用部位



# 先駆け審査指定制度 承認品目（医薬品）

医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能・効果
ゾスパタ錠40mg 一般名:ギルテリチニブフマル酸塩 (アステラス製薬株式会社)	FLT3(FMS様チロシンキナーゼ3)等のチロシンキナーゼに対する阻害作用を有する低分子化合物。FLT3を介したシグナル伝達を阻害することにより、FLT3遺伝子変異陽性の腫瘍の増殖を抑制すると考えられている、新規作用機序の急性骨髄性白血病治療薬。	再発又は難治性のFLT3遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病

- アステラス製薬株式会社及び寿製薬株式会社により創製された、日本オリジンの新規作用機序である急性骨髄性白血病治療薬

<先駆け審査指定制度に係る経過>

- ・平成27年10月、先駆け審査品目(医薬品)に指定。
- ・平成30年3月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年9月、新有効成分含有医薬品として承認。

表 国際共同第III相臨床成績(第1回中間解析結果)

効果	本薬群 (例数(割合)) (142例、日本人18例を含む)
CR*1	27/142例 (19.0%)
CRh*2	13/142例 (9.2%)
CR+CRh (CR+CRh率[95%CI](%))	40/142例 (28.2% [20.9, 36.3])

\*1) CRは、骨髄の正常造血細胞が再生し、形態学的に白血病細胞が認められず、骨髄中の芽球数が5%未満、好中球絶対数が $1.0 \times 10^9/L$ 以上、かつ血小板数が $100 \times 10^9/L$ 以上であり、赤血球及び血小板輸血を行っておらず、髄外性白血病が認められていない状態。

\*2) CRhは、骨髄中の芽球数が5%未満、好中球絶対数が $0.5 \times 10^9/L$ 以上、かつ血小板数が $50 \times 10^9/L$ 以上であり、髄外性白血病が認められていない状態。

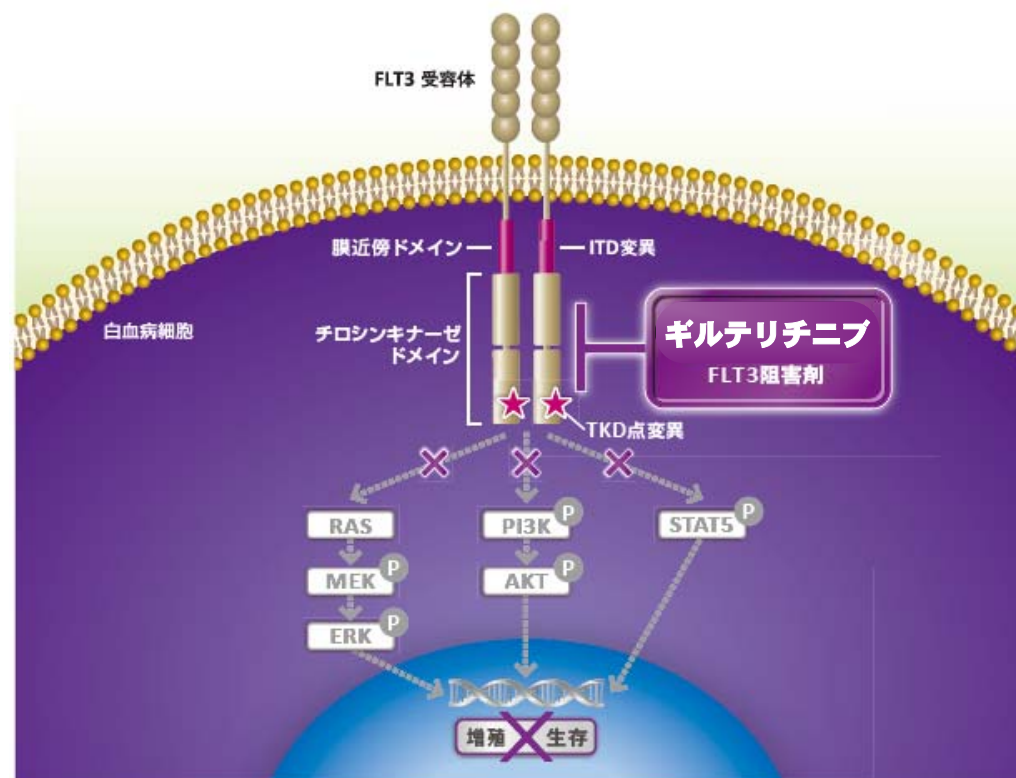


図 ギルテリチニブの作用部位・作用機序

表:ゾスパタ錠40mg添付文書臨床成績の項を踏まえ、作成した表。 図:アステラス製薬株式会社から提供、一部改変。

# 先駆け審査指定制度 承認品目（医薬品）

医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能・効果
ビンダケルカプセル20mg 一般名：タファミジスメグルミン (ファイザー株式会社)	トランスサイレチン型心アミロイドーシス(ATTR-CM)は、トランスサイレチン(TTR)由来のアミロイドの組織沈着を病因とするアミロイドーシスの一種であり、主に心筋にアミロイドが沈着して機能障害を生じる疾患。本品目は、TTRの4量体に結合して単量体への解離を抑制(安定化)することで、TTRの変性及びアミロイド繊維の形成を抑制する。	トランスサイレチン型心アミロイドーシス(野生型及び変異型) ※効能追加

- 米国FoldRx社(現Pfizer社)により開発され、本邦では2013年9月に「トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーの末梢神経障害の進行抑制」の効能・効果で承認された、TTR型アミロイドーシス治療薬

＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- ・平成30年3月、先駆け審査品目(医薬品)に指定。
- ・平成30年11月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成31年3月、新効能・新用量医薬品として承認。

表 国際共同第Ⅲ相試験成績

ATTR-CMIにおけるタファミジスメグルミンの有効性(30カ月時)

	タファミジスメグルミン 併合群 <sup>a)</sup> (n=264)	プラセボ群(n=177)
30カ月時点の生存症 例数(%) <sup>b), c)</sup>	186例 (70.5%)	101(57.1%)
1年あたりの心血管事 象に関連して入院した 回数(平均値) <sup>b), c), d)</sup>	0.297	0.455
p値 <sup>e)</sup>	0.0006	

a)タファミジスメグルミン80mgを1日1回投与した群(n=176)と同20mgを同様に投与した群(n=88)を併合した群

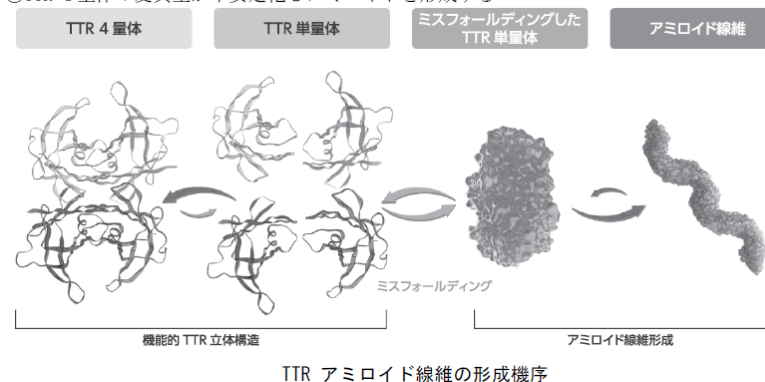
b)主要評価項目の構成要素の投与30カ月後の要約統計量

c)心臓移植又は人工心臓の埋め込みは、死亡と扱った

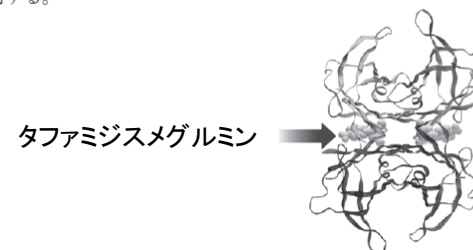
d)30カ月時点の生存例における平均値

e)Finkelstein-Schoenfeld法によるp値

①TTR 4量体の変異型が不安定化しアミロイドを形成する



②タファミジスがTTR 4量体のサイロキシン結合部に結合して4量体を安定化させ、アミロイド形成を抑制する。



野生型 TTR とタファミジス複合体の結晶構造 (三次元リボンダイアグラム図)

図 TTRアミロイド繊維の形成機序とタファミジスメグルミンの作用機序

表、図ともにビンダケルカプセル インタビューフォームから引用、一部改変。

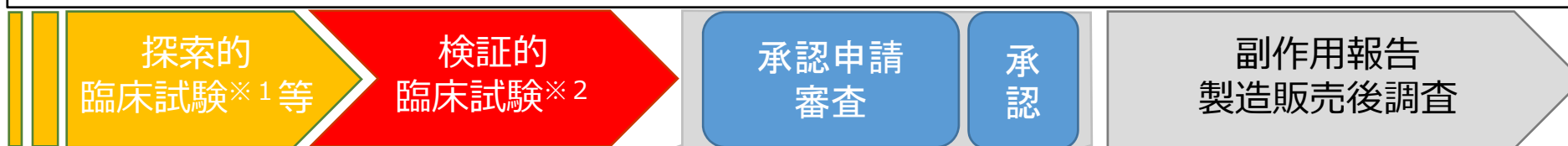


# 医薬品の条件付き早期承認制度に係るPMDAの対応について

## 制度の趣旨

重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件により付与する取扱いを整理・明確化し、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高い医薬品を早期に実用化する。

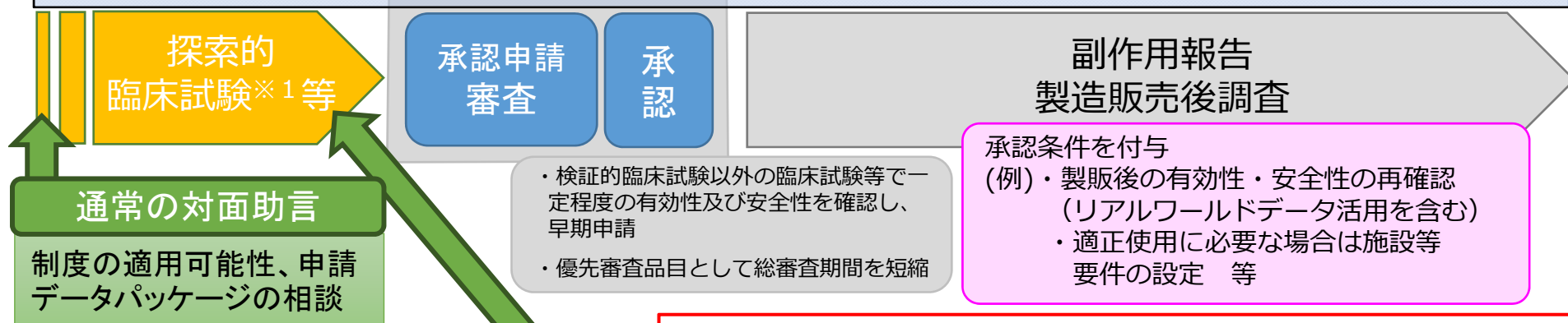
## 通常の承認審査



※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験

※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定した用法・用量等での医薬品の有効性・安全性を検証する試験

## 条件付き早期承認制度



承認条件を付与  
(例)・製販後の有効性・安全性の再確認  
(リアルワールドデータ活用を含む)  
・適正使用に必要な場合は施設等要件の設定 等

## 条件付き早期承認制度での承認実績(平成30年度)

- ・ ロルラチニブ「ALKチロシンキナーゼ阻害剤に抵抗性又は不耐容のALK融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌」(ファイザー株式会社)
- ・ ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)「がん化学療法後に増悪した進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性(MSI-High)を有する固形癌(標準的な治療が困難な場合に限る)」(MSD株式会社)

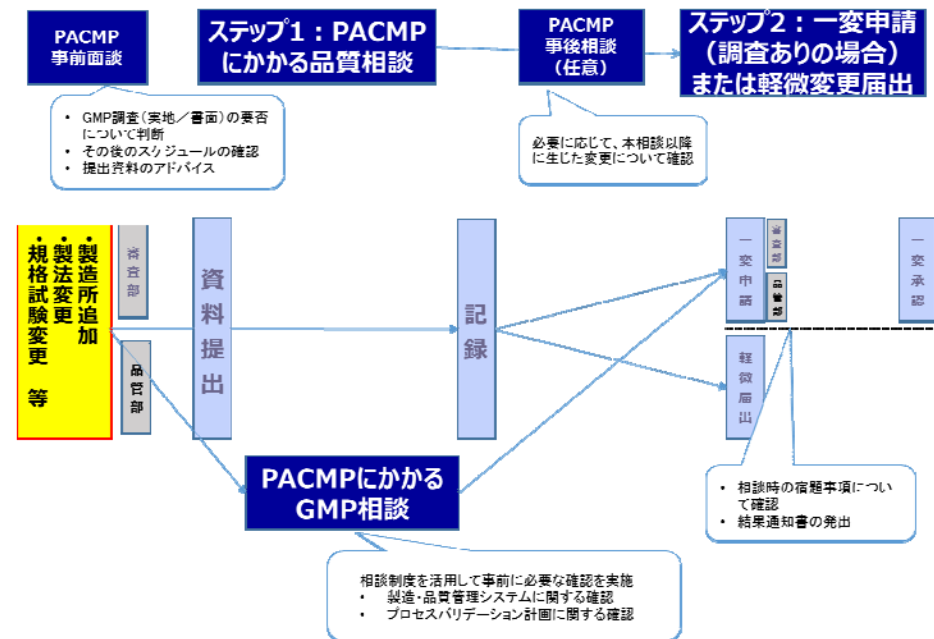
# 医薬品の品質に係る承認事項の変更に係る取扱い等について 承認後変更管理実施計画書（Post-Approval Change Management Protocol） を用いた承認事項の変更手続き制度の試行等

## 検討の経緯

- ICHにおいてQ12（医薬品のライフサイクルマネジメント）が採択され、PACMP(Post-Approval Change Management Protocol：承認後変更管理実施計画書）を用いた承認事項の変更手続き制度が議論されている
  - ※製造販売業者等と規制当局があらかじめ、製造方法等の変更内容、変更内容に対する評価方法及び判定基準等を記したPACMPを合意しておき、その後、合意された評価方法に従って変更後の医薬品の品質確認を行い、予定された結果が得られた場合は、品質に係る承認事項を予定していた案へ迅速に変更できる制度  
欧米では既に同制度が導入されている
- 医薬品の製造販売承認書に即した製造等の徹底図り、更に製造等の円滑な変更管理を推進する観点から、平成30年4月から一部の品目について試行を開始（審査部のリソースも勘案しながら実施）

## 試行の対象

- 医療用医薬品（除体外診断薬）の一変
- （必要な場合）GMP適合性調査の調査権者がPMDAのみ
- ICH Q10に基づき、医薬品の品質を管理するシステムを適切に運用していること
- 記載整備届出書の確認が終了していること
- 当該変更の評価に当たって非臨床・臨床試験の提出が必要ないこと
- CTDで資料が提出できること
- MFに係る変更は除く



# 申請電子データ提出の実績と利用例（平成30年度）

試験データ提出品目数

33

## 実際に行った解析等の事例

### ① 初回面談事前打合せの前

- 主要な解析の再現
- 審査の論点に関する解析
  - 効能・効果、用法・用量の妥当性 等
- 審査の論点抽出のための解析
  - 有効性、安全性に影響を与える因子の検討

審査の道筋をより早い段階でつけることができる。

### ② 初回面談事前打合せの後

- 実施した解析内容を共有した上で議論及び検討
- 照会事項に関連する解析

### ③ 専門協議前後

- 専門委員のコメントを受けての追加解析

- 焦点を絞った明確な照会事項を送付できる。
- 申請者及び専門委員とのよりスムーズなやりとりにつながる。

## 1-6 業務の迅速な処理及び体制整備 (医療機器・再生医療等製品)

# 先駆け審査指定制度 承認品目一覧（再生医療等製品・医療機器）

H31年3月末時点

## 再生医療等製品

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 効能、効果又は性能	承認日	備考
H28.2.10	ステミラック注	ニプロ(株)	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA 機能障害尺度がA、B 又はC の患者に限る。	H30.12.28	条件期限付き承認

平成30年度に新たに承認された品目

## 医療機器

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 使用目的又は効果	承認日	備考
H28.2.10	チタンブリッジ	ノーベルファーマ(株)	内転型痙攣性発声障害における症状の改善	H29.12.15	

## 体外診断用医薬品

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 使用目的又は効果	承認日	備考
H28.2.10	OncoGuide NCCオンコパネル システム	シスメックス(株)	本品は、固形がん患者を対象とした腫瘍組織の包括的なゲノムプロファイルを取得する。	H30.12.25	解析プログラム(医療機器)とセットで、医療機器としての承認

平成30年度に新たに承認された品目

# 先駆け審査指定制度 条件及び期限付き承認品目（再生医療等製品）

再生医療等製品の名称 (申請者)	品目の概要	効能、効果又は性能
ステミラック注 一般的名称:ヒト(自己)骨髄 由来間葉系幹細胞 (ニプロ株式会社)	本品は、(1)主構成体として、患者自身から採取した骨髄液中の間葉系幹細胞を体外で培養・増殖させ凍結保存した細胞、(2)副構成体として、骨髄採取キット及び採血キットから構成されるヒト細胞加工製品である。	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。 ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。

- 本望修・札幌医科大学教授のシーズを元に、札幌医科大学とニプロ株式会社が共同で開発・製品化した、日本オリジンのヒト細胞加工製品。
- 薬事戦略相談(現RS戦略相談)等の対面助言を実施し、札幌医科大学で医師主導治験を実施。

## ＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- ・平成28年2月、先駆け審査品目(再生医療等製品)に指定。
- ・平成30年6月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年12月、再生医療等製品として条件及び期限付きで承認。

表 臨床試験成績(単施設単群、脊髄損傷受傷後220日目における投与直前からASIA機能障害尺度\*が1段階以上改善した症例の割合)

投与直前**のASIA機能障害尺度	1段階以上改善した症例数/解析対象症例数(割合)
A	5/6例(83.3%)
B	2/2例(100%)
C	5/5例(100%)
合計(A,B,C)	12/13例(92.3%)

\*)ASIA機能障害尺度(ASIA impairment scale):重症度別にA~Eの5段階に分類される。  
A:完全麻痺(S4~S5領域の運動・知覚機能の完全喪失)、B~D:不全麻痺、E:正常

\*\* )受傷後40±14日以内に本品は投与された。

表:ステミラック注添付文書臨床成績の項を踏まえ、作成した表。 図:ニプロ株式会社より提供。

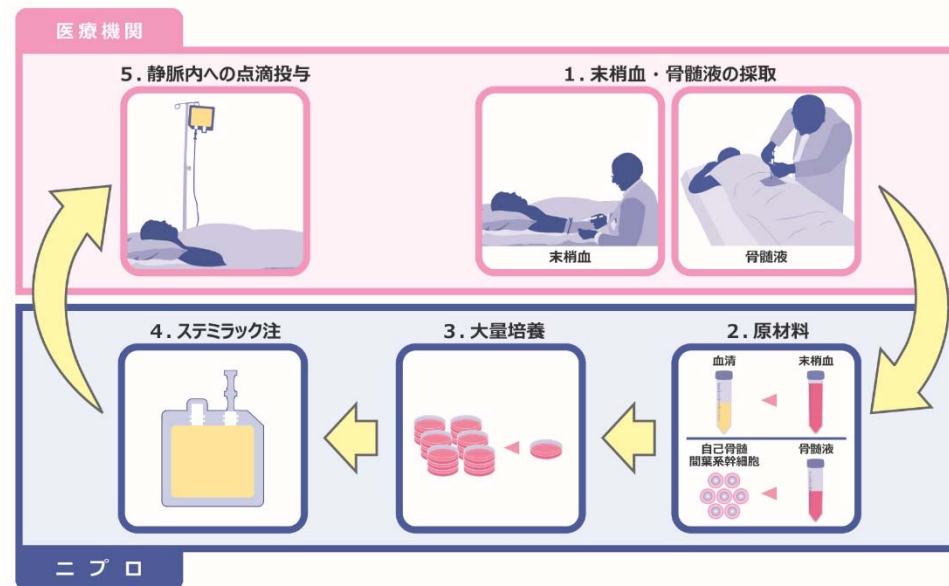


図 治療の流れ(概要)



# 先駆け審査指定制度 承認品目（医療機器）

医療機器の名称 (申請者)	品目の概要	内転型痙攣性発声障害について
チタンブリッジ (ノーベルファーマ 株式会社)	内転型痙攣性発声障害において、声門の過閉鎖を防止する手術法（甲状軟骨形成術2型）に用いられるチタン製の蝶番型プレート。希少疾病用医療機器に指定。	発声時に声門が過剰に閉鎖することで、声に障害（声の途切れ、詰まり、ふるえ、嗄声、締め付けられるような声、絞り出すような声）が出る若年女性に多い疾患であり、社会生活が困難になる場合がある。国内において、比較的侵襲性の低い永続的な治療法は確立されていない。

- 一色信彦・京都大学名誉教授のシーズを元に、世界に先駆けて、讃岐徹治先生（熊本大学（当時））とノーベルファーマ株式会社（東京都中央区）が共同で開発・製品化。株式会社若吉製作所（福井県鯖江市）が製造。
- 薬事戦略相談（現RS戦略相談）等の対面助言を実施し、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の支援を受け、熊本大学が中心となり複数の大学で医師主導治験を実施。

## ＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- ・平成28年2月、第1号先駆け審査品目（医療機器）に指定。
- ・平成29年6月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成29年12月、新医療機器として承認（制度対象品目の中で初の承認）。

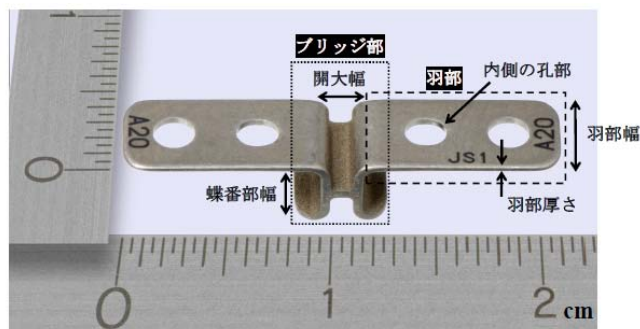
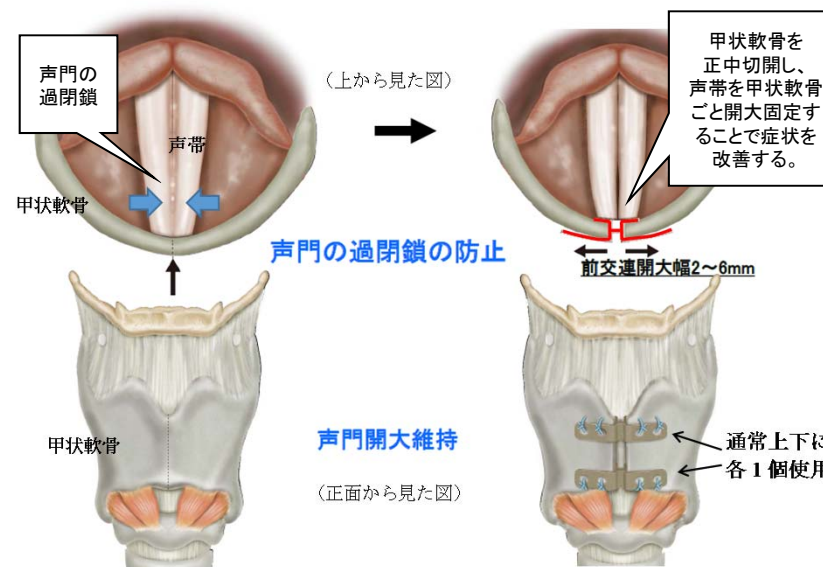


図1 チタンブリッジの外観(蝶番型ブリッジ構造)



熊本大学より提供された図を改変

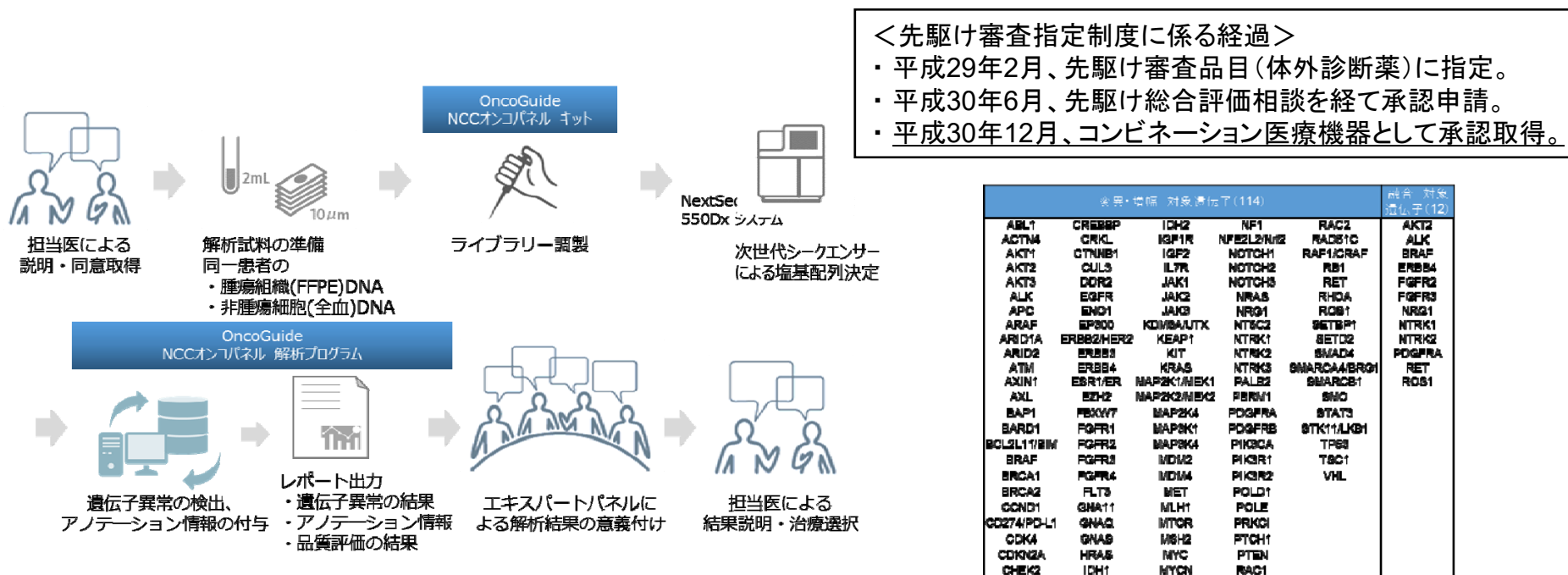
図2 チタンブリッジの使用方法及び甲状軟骨形成術2型

図1及び図2:チタンブリッジの審査報告書より引用

# 先駆け審査指定制度 承認品目（医療機器・体外診断薬）

製品の名称 [申請者]	品目の概要	使用目的 又は効果
OncoGuide NCCオンコパネル システム 一般的名称: 遺伝子変異解析 セット(がんゲノムプロファイ リング検査用) [シスメックス株式会社]	遺伝子解析プログラム(OncoGuide NCCオンコパネル 解析プログラム)及び プレートDNA調製試薬(OncoGuide NCCオンコパネル キット)より構成される コンビネーション医療機器であり、DNAシーケンサー(NextSeq 550Dx システ ム(イルミナ株式会社/別途届出))と組み合わせて使用される。解析の対象 となる遺伝子は、固形がんに関連する114遺伝子。 検出された遺伝子異常は、データベースを参照することで、臨床的情報等が 付与され、レポートとして出力される。	本品は、固形が ん患者を対象と した腫瘍組織 の包括的なゲノ ムプロファイル を取得する。

- 国立がん研究センターとシスメックス株式会社が共同開発した、日本発のがんゲノムプロファイリング検査用のシステム。



(左図) 本システムの使用イメージ (右図) 本システムの解析対象遺伝子 (シスメックス(株)より提供)



# AIを搭載した内視鏡画像診断支援プログラムの例

医療機器の名称等	品目の概要
<p><b>AIを搭載した医療機器 第1号</b> として 平成30年12月6日承認</p> <p>内視鏡画像診断支援ソフトウェア EndoBRAIN (サイバネットシステム株式会社)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 超拡大内視鏡画像により、大腸病変の腫瘍/非腫瘍の判別を支援する。</li> <li>● 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の支援を受け、昭和大学、名古屋大学、サイバネットシステム(株)が連携して開発。</li> </ul>



通常倍率

拡大内視鏡

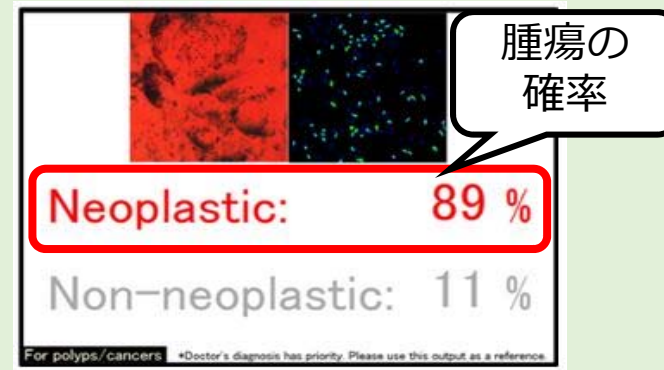
超拡大内視鏡  
(約500倍)

## 【臨床性能試験の結果 - 正診率など -】

評価項目	当該プログラム	非専門医
正診率（超拡大染色画像）	98%	69%
正診率（超拡大NBI画像）	96%	70%
感度（超拡大染色画像）	97%	71%
感度（超拡大NBI画像）	97%	62%

当該プログラム（EndBRAIN）が、  
医師の読影の補助を行う。

（表示例）

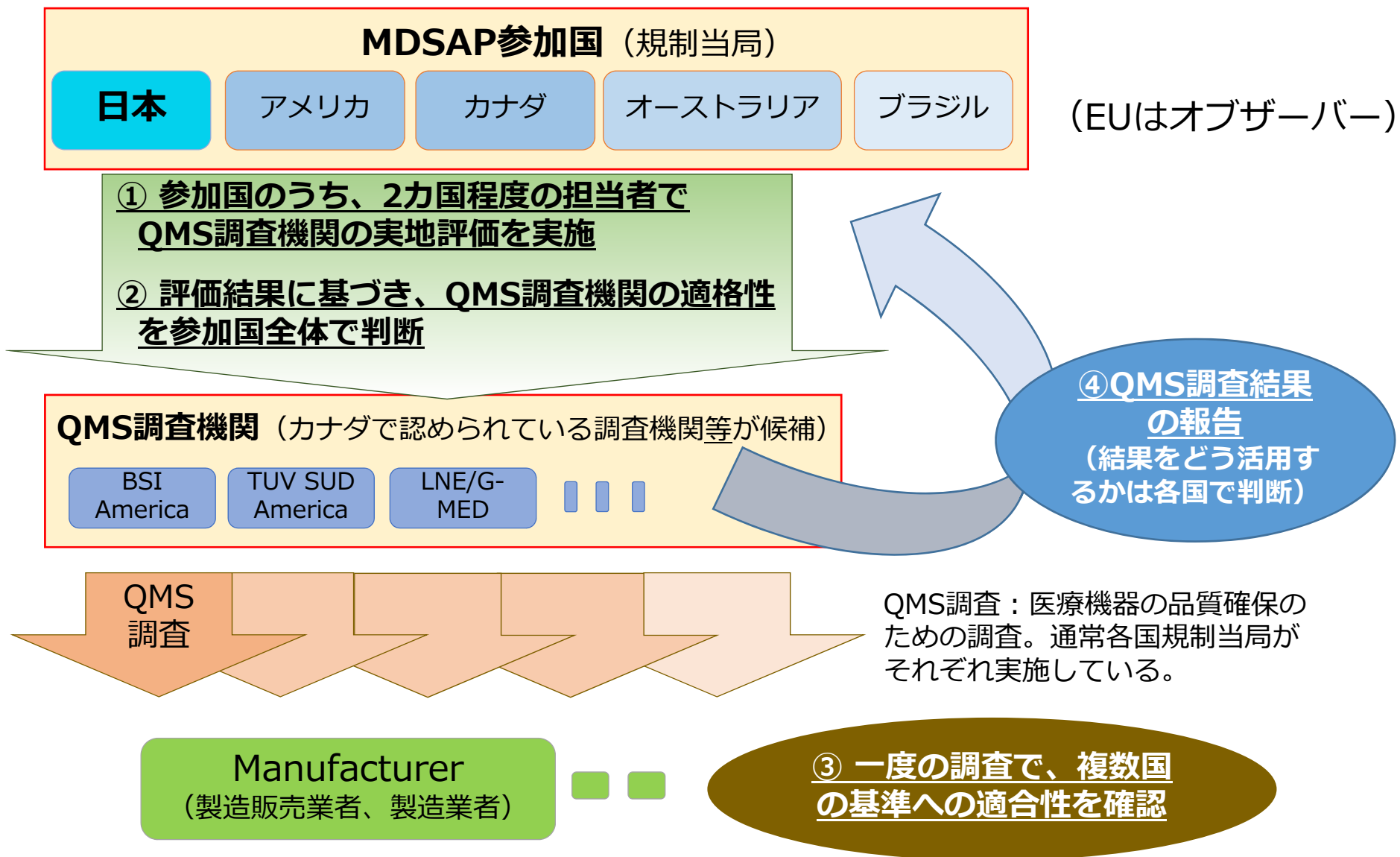


なお、市販後に自ら学習を繰り返し、  
性能が変化するタイプではない。

約6万枚の内視鏡画像を学習して、専門医に匹敵する正診率98%の精度を実現

# MDSAP の概要

## Medical Device Single Audit Program (医療機器単一調査プログラム)



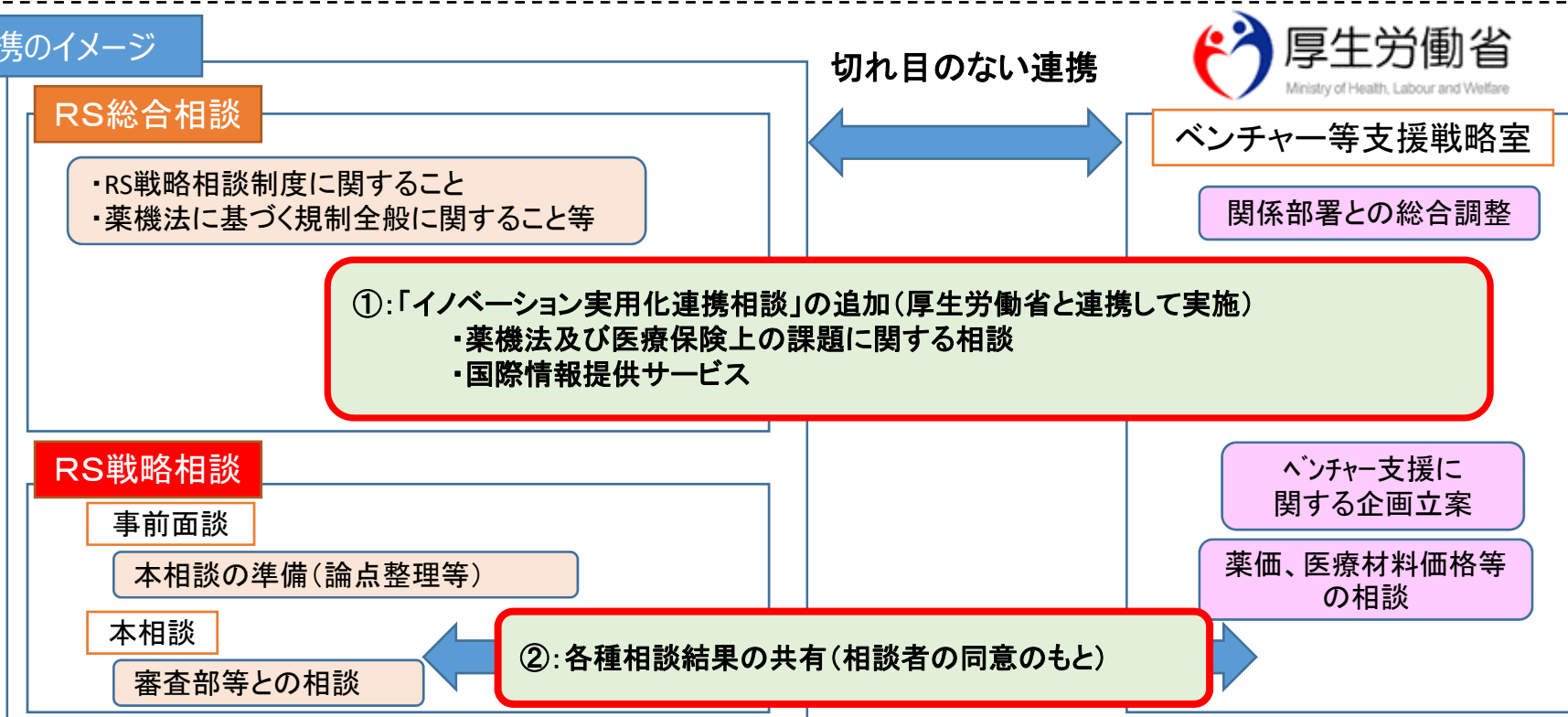
## 1-7 世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品の実用化促進のための支援

# PMDAのイノベーション実用化支援の取り組み状況 ～イノベーション実用化連携相談の導入等～

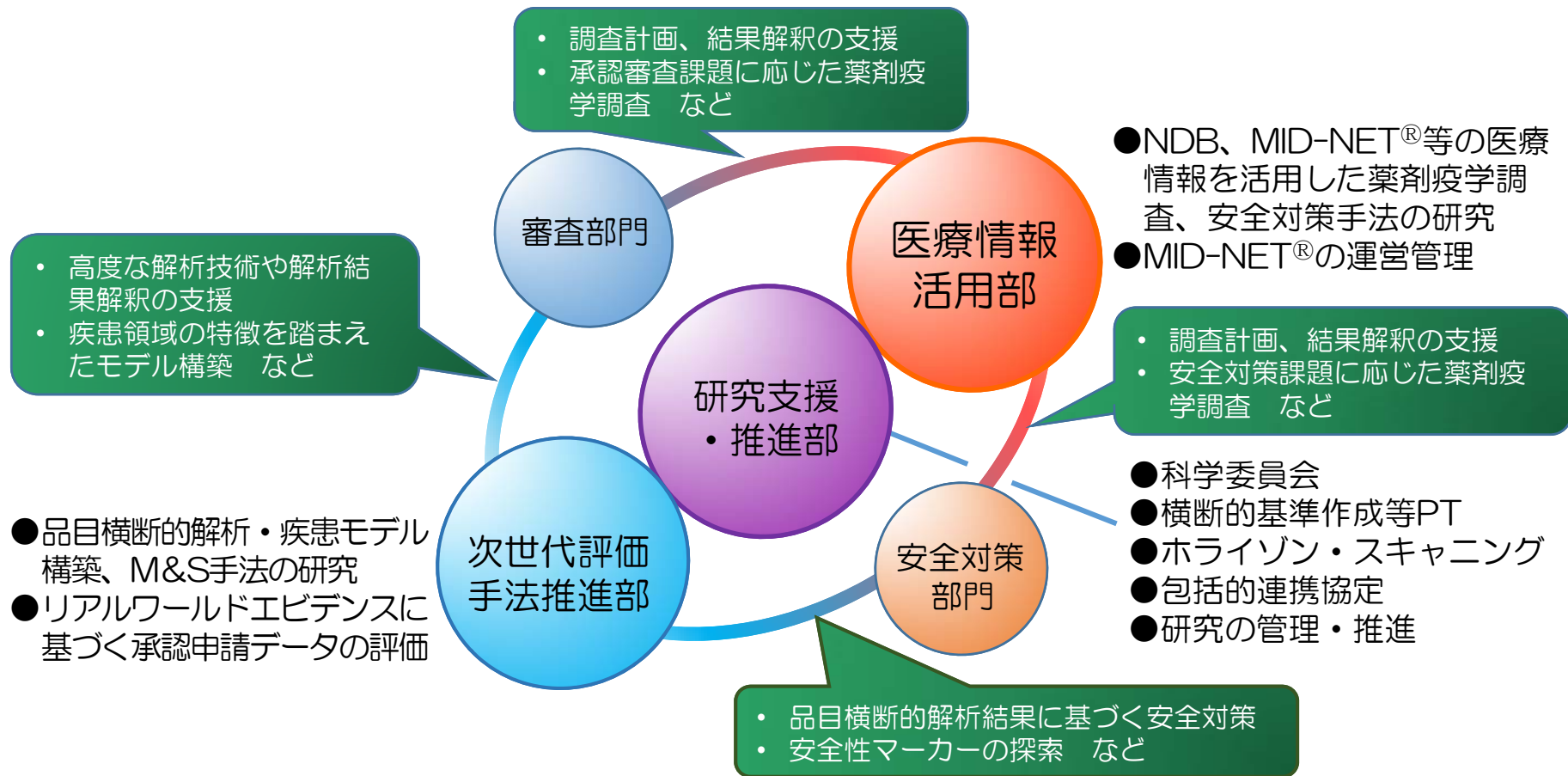
## 1.概要等

- 平成30年4月から、既成概念に収まらない革新的製品の各種相談の充実強化のため、RS総合相談に「イノベーション実用化連携相談」を追加し、厚生労働省医政局経済課ベンチャー等支援戦略室と情報共有しながら、説明、相談を行うこととした。
  - ・薬機法及び医療保険上の課題に関する相談：コンビネーション製品、異なる品目の併用・組合せ（新規検査に基づく新薬の投与など）、プログラム医療機器等の取り扱いなど、開発段階で予測される様々な課題に関する相談
  - ・海外の規制情報に係る相談：欧米に進出しようとする相談者に対し、欧米の公開情報に基づく規制情報を提供
- PMDAが実施した各相談の結果について、相談者の同意のもとでベンチャー等支援戦略室と共有することにより、承認審査から保険償還までの様々なステージで切れ目無く対応。

## 2.連携のイメージ



# レギュトリーサイエンスセンターの機能



- リアルワールドデータ、電子データを用いた承認審査と市販後調査・安全対策の連携強化
- アカデミア等外部機関との連携によるレギュトリーサイエンスの推進

**審査・安全対策の質の向上、革新的医薬品等の開発に資する  
ガイドライン等を積極的に発信する。**

# レギュラトリーサイエンスセンターの主な業務

## 1. PMDA業務に関連する先端科学技術への対応と情報発信

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品への活用が期待される先端科学技術の情報を積極的に収集し、ステークホルダーとの議論を踏まえて評価の考え方や規制のあり方等をまとめる。  
⇒ 科学委員会やホライゾン・スキャンニング等の実施

## 2. 申請電子データ・リアルワールドデータの活用推進

- 申請電子データの広範な活用
- 医療情報等のリアルワールドデータの広範な活用  
⇒ 申請電子データ及びリアルワールドデータから得られる情報を最大限に活用し、医薬品等のライフサイクルを通じた最適使用や革新的製品の開発への活用を目指す。

## 3. 人材育成

- 業務上の科学的課題への職員による対応とその成果の発信を支援する。
- クロスアポイントメント制度等を含めアカデミアとの連携を通じてRSの推進と人材交流・人材育成を図る。  
⇒ アカデミアとPMDA職員双方の知識獲得

レギュラトリーサイエンスセンターの取組みを通じて、  
製品開発や市販後安全対策等のさらなる効率化を促進



# 【PMDA科学委員会】報告書の公表

第2期、第3期科学委員会においては、計8つの専門部会での検討が行われ、8報の提言・報告書等が取りまとめられ、順次PMDAホームページで公表した。

このうち3報(※)は、英文学術誌へ投稿し、科学委員会の成果について、国内外へ情報発信した。

## 第2期（平成26年4月～平成28年3月）

- プラセボ対照試験の現状と考え方
- 抗悪性腫瘍薬開発における非臨床試験の活用に関する提言  
(※) 『Cancer Science』誌に英文概要版を投稿／採択  
“Report on the use of non-clinical studies in the regulatory evaluation of oncology drugs”
- 整形外科インプラントの強度評価への数値解析使用に関する報告書
- 医療機器の小児への適応評価のあり方に関する議論のまとめ
- 再生医療等製品の品質確保における基本の考え方に関する提言

## 第3期（平成28年4月～平成30年3月）

- 希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言2017  
—アカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点から—  
(※) 『Cancer Science』誌に英文概要版を投稿／採択  
“The Current State of Therapeutic Development for Rare Cancers in Japan, and Proposals for Improvement”
- アカデミアと企業との連携による創薬を促進するための課題と提言2017  
—日進月歩の科学の中で—
- AIを活用した医療診断システム・医療機器等に関する課題と提言2017  
(※) 『Advanced Biomedical Engineering』誌に英文概要版を投稿／採択  
“Regulatory Science on AI-based Medical Devices and Systems”

# 第4期科学委員会のテーマ

平成31年3月31日現在

## 1 薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価（AMR専門部会）

部会長：岩田 敏（国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 感染症部長）

副部会長：門田 淳一（大分大学医学部附属病院 病院長）

発生が稀な薬剤耐性菌による感染症の治療薬の有効性及び安全性に関する開発段階から製造販売後までの情報収集とその評価方法について留意点等を取りまとめ、今後の承認審査や治験相談に活用する。

## 2 ゲノム編集技術を応用した医薬品等のリスク評価の考え方 （ゲノム編集専門部会）

部会長：山口 照英（日本薬科大学 薬学部 客員教授）

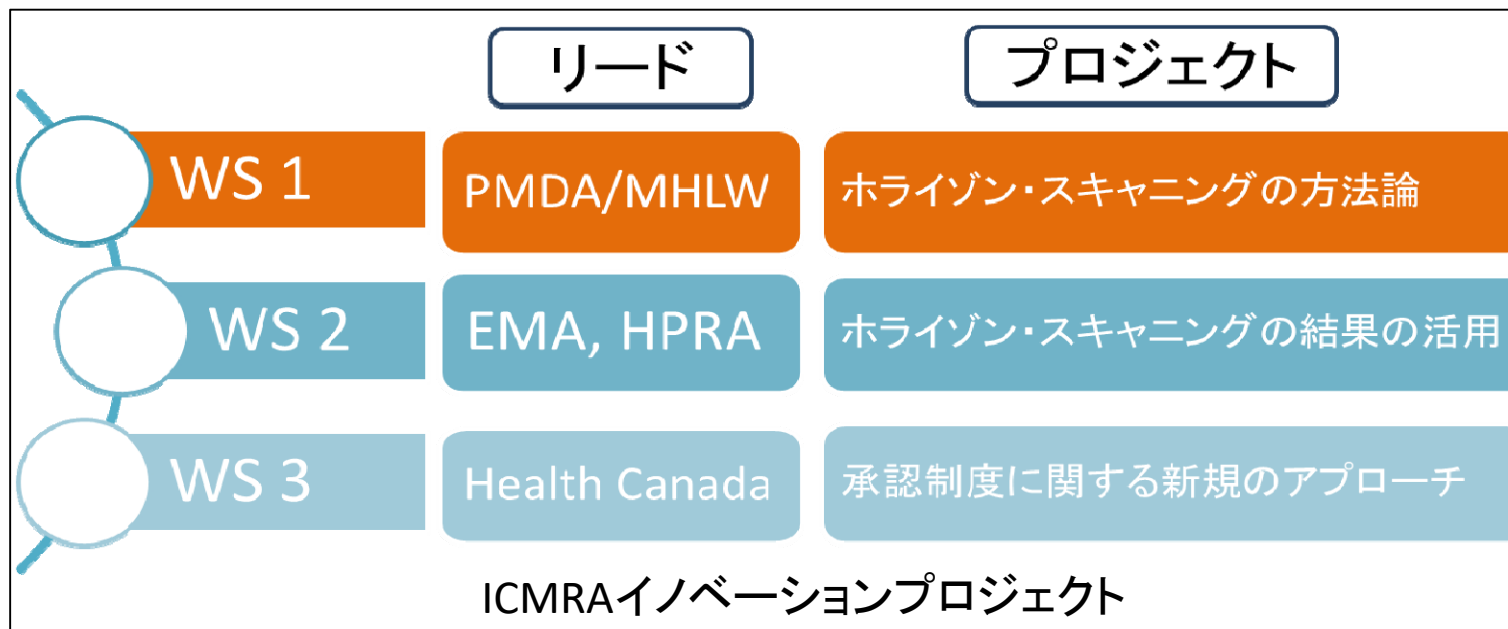
副部会長：小澤 敬也（自治医科大学 名誉教授／客員教授）

ゲノム編集技術応用した医薬品等が抱えるリスクとして考えられる、目的としないゲノムDNA部位に変異が入る可能性（オフターゲット）、全ての細胞で目的の変異が導入されない事象（モザイク）など、現在考えられ得るリスクを俯瞰し、それらをどのように評価できるのか、その考え方を取りまとめ、今後の承認審査や治験相談に活用する。



# ホライゾン・スキャンニング手法の検討に向けた情報収集

- 「ホライゾン・スキャンニング」とは、レギュラトリーサイエンスに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのか網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組である。
- 平成29年10月に京都で開催された、薬事規制当局の責任者が参加するICMRA (International Coalition of Medicines Regulatory Authorities; 薬事規制当局国際連携組織) 会合で、「イノベーションプロジェクト」を開始することが決定し、革新的技術に対する早期の規制対応に関わる3つの活動(WS1~3)が行われた。
- 特に、WS1では、各規制当局のホライゾン・スキャンニング手法を解析し、ベストプラクティスを見出し、規制当局が直面している共通の課題の解決法を探る、ホライゾン・スキャンニングの方法論が検討された。



平成30年度は、日本における薬事規制分野でのホライゾン・スキャンニング手法の検討に向けて、ICMRAでの活動の中で海外規制当局におけるホライゾン・スキャンニング手法について情報を収集するとともに、日本国内における薬事規制分野以外でのホライゾン・スキャンニングの取組について情報の収集を行った。

# 横断的基準作成等PTの活動成果

横断的PTの各WG活動並びに各専門分野において、H26年度からH30年度までの5ヶ年で、計46(内、H30年度においては9)の最新技術の評価等に係るガイドライン通知を作成し、厚労省からの発出に協力した。

(横断的PTの各WGがH30年度作成、発出に協力した主な通知等)

## コンパニオン診断薬WG

・「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する技術的ガイダンス等について」に関する質疑応答集(Q&A)について

(平成30年7月3日 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課、医療機器審査管理課事務連絡)

・コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する質疑応答集(Q&A)について(その2)

(平成30年7月20日 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課、医療機器審査管理課事務連絡)

・遺伝子検査システムに用いるDNA シークエンサー等を製造販売する際の取扱いに関する質疑応答集(Q&A)その2

(平成30年9月12日 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課、監視指導・麻薬対策課事務連絡)

## 国際共同治験WG

・国際共同治験の計画及びデザインに関する一般原則に関するガイドラインについて

(平成30年6月12日 薬生薬審発0612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)

## CIN対応WG

・医療機器の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について

(平成30年12月19日 薬生機審発1219第4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)

# ICH-E17ガイドライン（国際共同治験の計画及びデザインに関する一般原則）

目的: 世界各地域での承認申請において国際共同治験の受け入れ可能性を高めるため、国際共同治験の計画及びデザインの一般原則を示す。

## 国際共同治験のデザインに必要な地域間のばらつきに関する事前検討事項

- 地域間のばらつき、そのばらつきが内因性・外因性民族的要因によりどの程度説明できるか、そのばらつきが試験結果へ影響を及ぼす可能性があるかを慎重に検討すべき。
- 重要な内因性・外因性民族的要因は、国際共同治験の計画時に特定されているべきで、検証的国際共同治験においても収集されるべき。

評価項目の選択(特に主要評価項目)

被験者の選択

地域の併合、属性集団の併合に関する検討

統計解析計画(治験に参加する全ての地域と属性別集団からのデータに基づく治療効果の仮説検定、地域間の治療効果の一貫性評価を含む)

国際共同治験で使用する投与量の選択

症例数設定(各地域への配分を含む)

情報の収集、取り扱い方法の標準化

対照薬の選択

その他

適切なデザイン  
合意

試験の成功

参加各地域での承認申請

### 医薬品開発へのインパクト(ガイドラインより)

- 革新的な治療が早期に、異なる地域で、同時に使用可能となる。
- 臨床試験が、重複して各地域で実施される無駄が減る。
- グローバルでの同時開発が優先して検討されることにも繋がり、国際的整合化も推進される。
- 各地域・国におけるより良いエビデンスの収集につながる。

# ＜臨床・イノベーション・ネットワーク（CIN）推進プロジェクトへの参画＞ リアルワールドデータ（RWD）活用に向けて

## 国際的な動向 ～規制判断へのRWD活用の方向性～

- 21st Century Cures Act（米国）
- ICH GCP Renovation
  - E8「臨床試験の一般指針」の近代化
  - E6「医薬品の臨床試験の実施の基準（GCP）」の包括的見直し

## 患者レジストリ・データの活用（目指す将来像）

- ランダム化比較試験が困難な場合の対照群データ等 → 承認申請評価資料
- 製造販売後調査 → 再審査申請の評価資料

### 検討体制

PMDA

CIN対応WG

1) 臨床試験デザイン・疫学手法の検討

2) 信頼性基準等の検討

3) データ収集項目等の検討

4) 利活用に関する相談制度を新設  
(2019年度から開始)

方針確認等

厚生労働省

協力・調整

AMED

連携・協力

### ○横串研究班（横断的事項を検討）

- 林班：データ信頼性基準、試験デザイン 等
  - 武田班：レジストリ有効活用、倫理面の課題 等
  - 国土班：国内レジストリの整理・検索システム構築 等
- \* 群馬大学 大学院保健学研究科 林邦彦 教授  
 国立精神・神経医療研究センター 武田伸一 所長  
 国立国際医療研究センター 国土典宏 理事長

### ○レジストリ構築研究班（4課題）

- 筋ジストロフィー（国立精神・神経医療研究センター）
- 筋萎縮性側索硬化症（ALS）（名古屋大学）
- がん希少フラクシオン（国立がん研究センター）
- 脳神経外科学会データベース（日本脳神経外科学会）<sup>36</sup>

# 包括的連携協定に関する活動

アカデミア等と連携し、レギュラトリーサイエンスの推進と有効性・安全性・品質確保及びその信頼性保証において医療水準の向上に貢献するために、専門機関と広範な分野で協力・連携を進める体制を構築する。

## 包括的連携協定の例

### 人材交流（必須事項）

（PMDAへの恒常的な職員の出向、PMDAからの派遣等）

人材育成

共同研究

情報発信・普及啓発

客員教員派遣・受け入れ

学位審査参画

情報交換

PMDA職員の大学院入学・学位取得

大学院生の受け入れ・指導

教育課程編成参画

### ○ 協定締結数： 9施設

国立がん研究センター（平成28年2月）、広島大学（平成28年3月）、慶應義塾（平成28年3月）、筑波大学（平成28年3月）、国立精神・神経医療研究センター（平成28年7月）、東北大学（平成28年10月）、国立国際医療研究センター（平成29年3月）、国立循環器病研究センター（平成29年7月）、国立成育医療研究センター（平成30年1月）

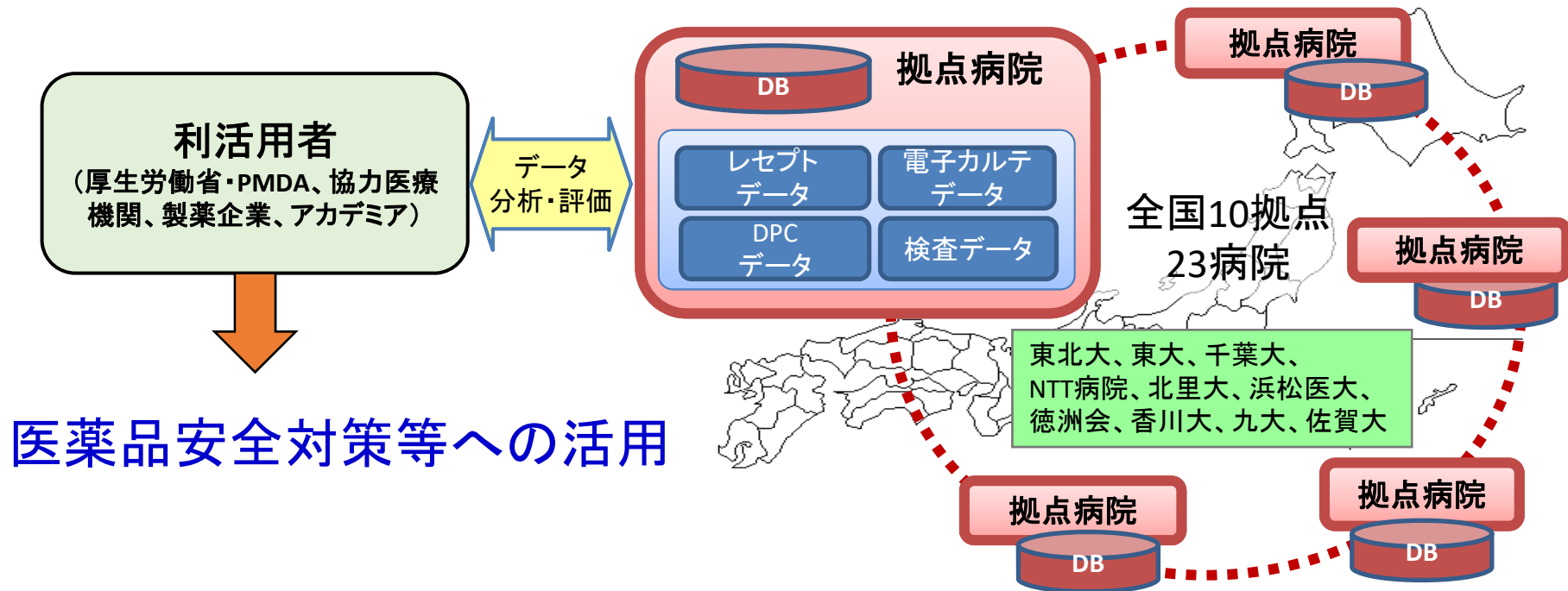
### ○ 連携事項の概要：

	平成28年度	平成29年度	平成30年度	備考
共同事業	1件	5件	10件	AMED研究事業における研究協力等
人材育成	10件	27件	54件	講師派遣、意見交換会、委員会見学等
人材交流	協定締結先から16名 PMDAから2名	協定締結先から17名 PMDAから3名	協定締結先から22名 PMDAから3名	

## 1－8 副作用・不具合情報収集の強化並びに 整理及び評価分析の体系化

# MID-NET<sup>®</sup> : 品質管理された医療情報データベース

専用ホームページ: <https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0001.html>



- 平成30年4月からPMDA及び協力医療機関の他、製薬企業やアカデミアによる利活用申出の受付を開始
  - ✓行政利活用33調査、製薬企業2社(ファイザー、第一三共)による製造販売後調査2品目、その他2調査(横浜市立大、MSD)が有識者会議での審議を経て利活用開始。
  - ※承認された利活用情報<https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0010.html>
- 継続的かつ網羅的な品質管理により、データの信頼性を確保し、平成30年12月時点で、約470万人分のデータが利活用可能
  - ✓GPSP(医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準)に対応した科学的な調査・試験が可能



# MID-NET®の特徴

- 多数の病院データを、ほぼリアルタイムで、1箇所から解析可能
  - 平成30年12月時点で、約470万人分超のデータが利活用可能
- 多数の種類データを利活用可能（電子カルテ情報、レセプト及びDPCのデータ）
  - 検体検査結果等をアウトカム定義に含めることで、より客観的な評価が可能
- データの信頼性が高いレベルで確保
  - 継続的かつ網羅的な品質管理によるデータ信頼性確保
  - データの特徴を把握した上で標準コード付与することでデータ統合の信頼性確保
  - 各種手順書等に基づく業務標準化による作業の信頼性確保
    - GPSP(医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準)に対応した科学的な調査・試験が可能





# 施行調査結果の公表

ORIGINAL REPORT

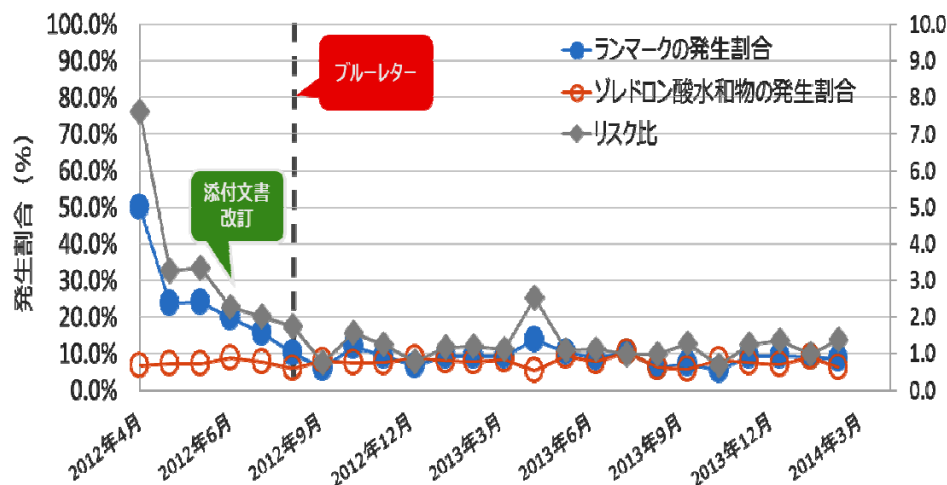
Pharmacoepidemiol Drug Saf. 2019;1-8.

## The utilization and challenges of Japan's MID-NET<sup>®</sup> medical information database network in postmarketing drug safety assessments: A summary of pilot pharmacoepidemiological studies

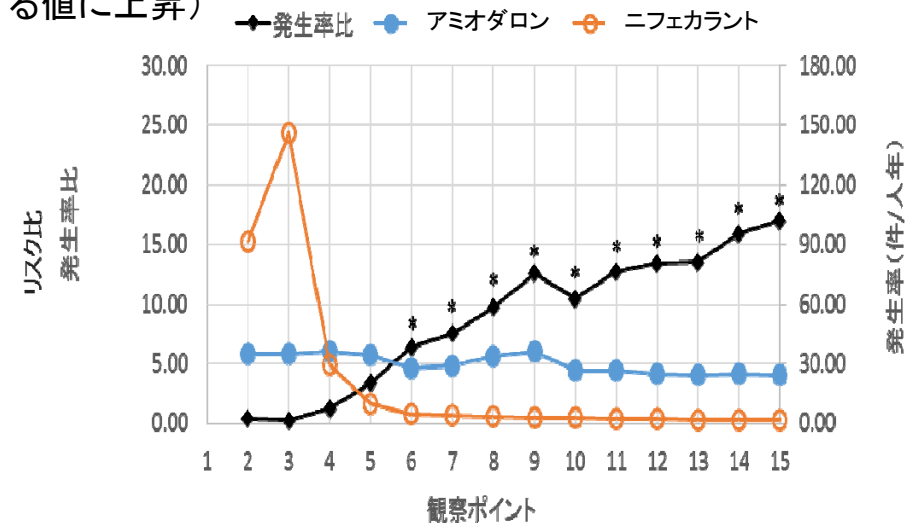
Kaori Yamada<sup>1</sup> | Maori Itoh<sup>1</sup> | Yoshiaki Fujimura<sup>2</sup> | Michio Kimura<sup>3</sup> | Koichiro Murata<sup>4</sup> | Naoki Nakashima<sup>5</sup> | Masaharu Nakayama<sup>6</sup> | Kazuhiko Ohe<sup>7</sup> | Takao Orii<sup>8</sup> | Eizaburo Sueoka<sup>9</sup> | Takahiro Suzuki<sup>10</sup> | Hideto Yokoi<sup>11</sup> | Chieko Ishiguro<sup>1</sup> | Yoshiaki Uyama<sup>1</sup> | on behalf of MID-NET<sup>®</sup> project group

DOI: 10.1002/pds.4777

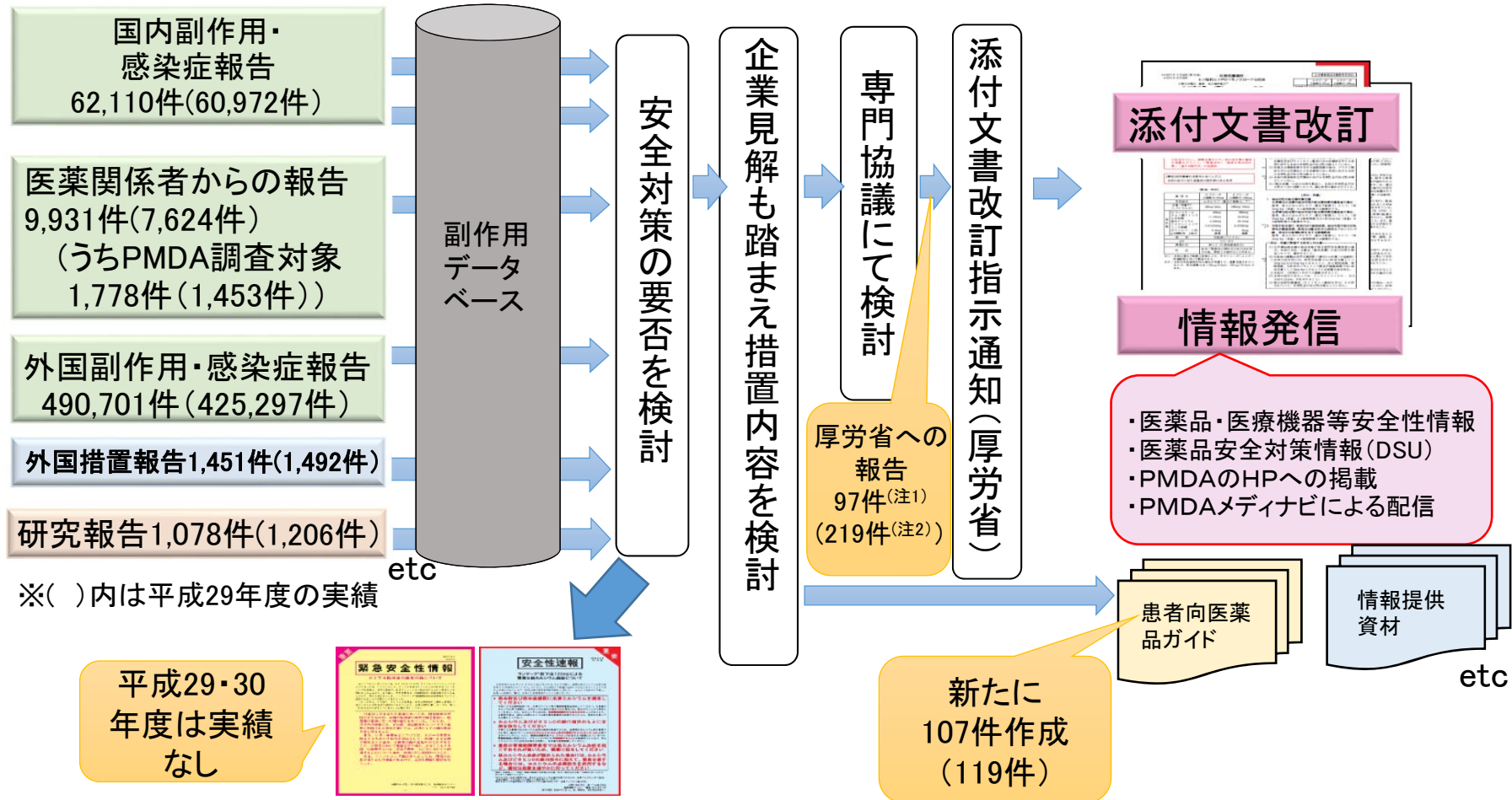
### ランマークによる低カルシウム血症発現リスク (血清補正カルシウム濃度が8.5mg/dL未満)



### アミオダロン等による肝機能検査値異常発現リスク (AST, ALT, ALPのいずれかが施設基準値上限の5倍を超える値に上昇)

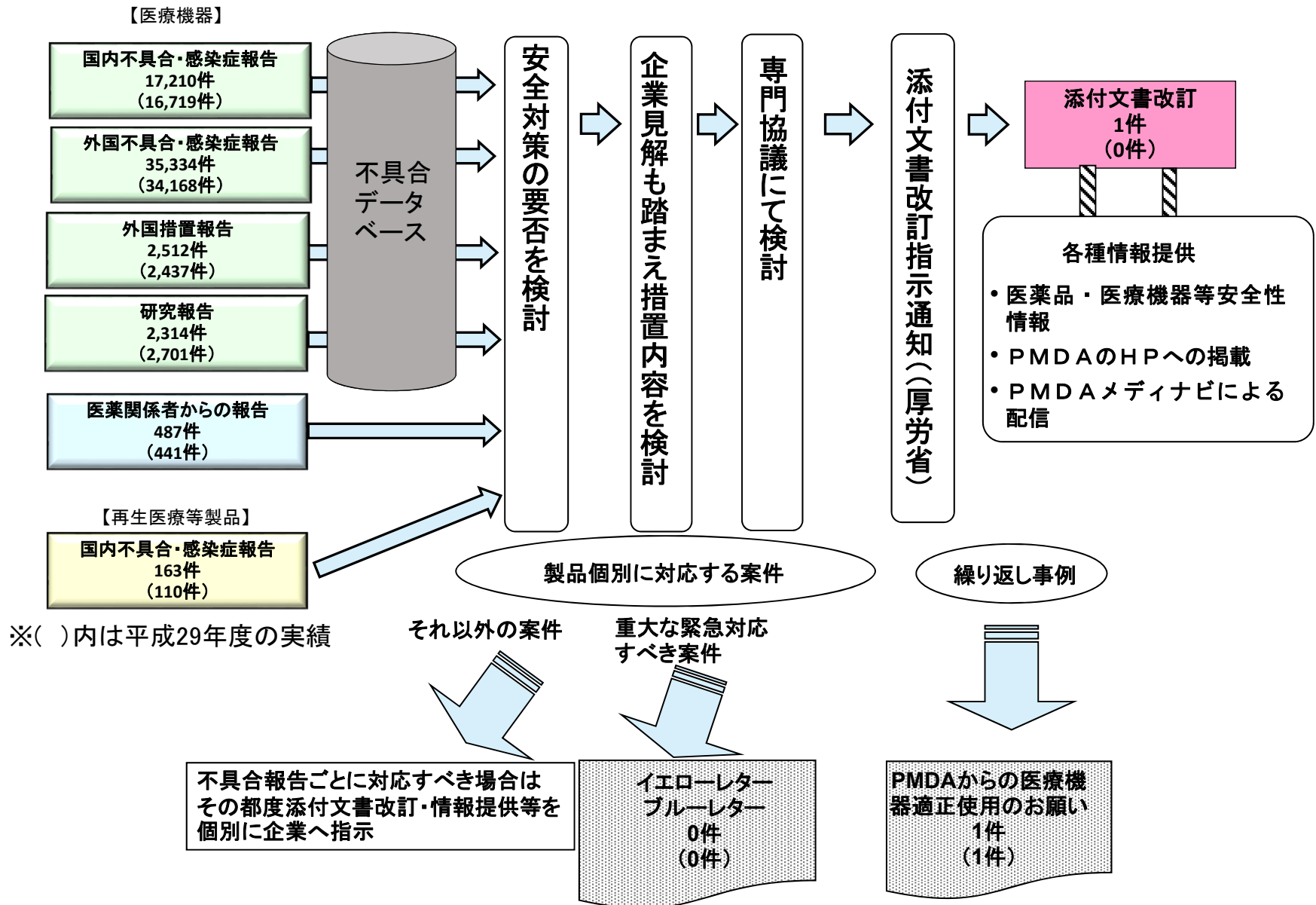


# 平成30年度 医薬品関係の主な実績

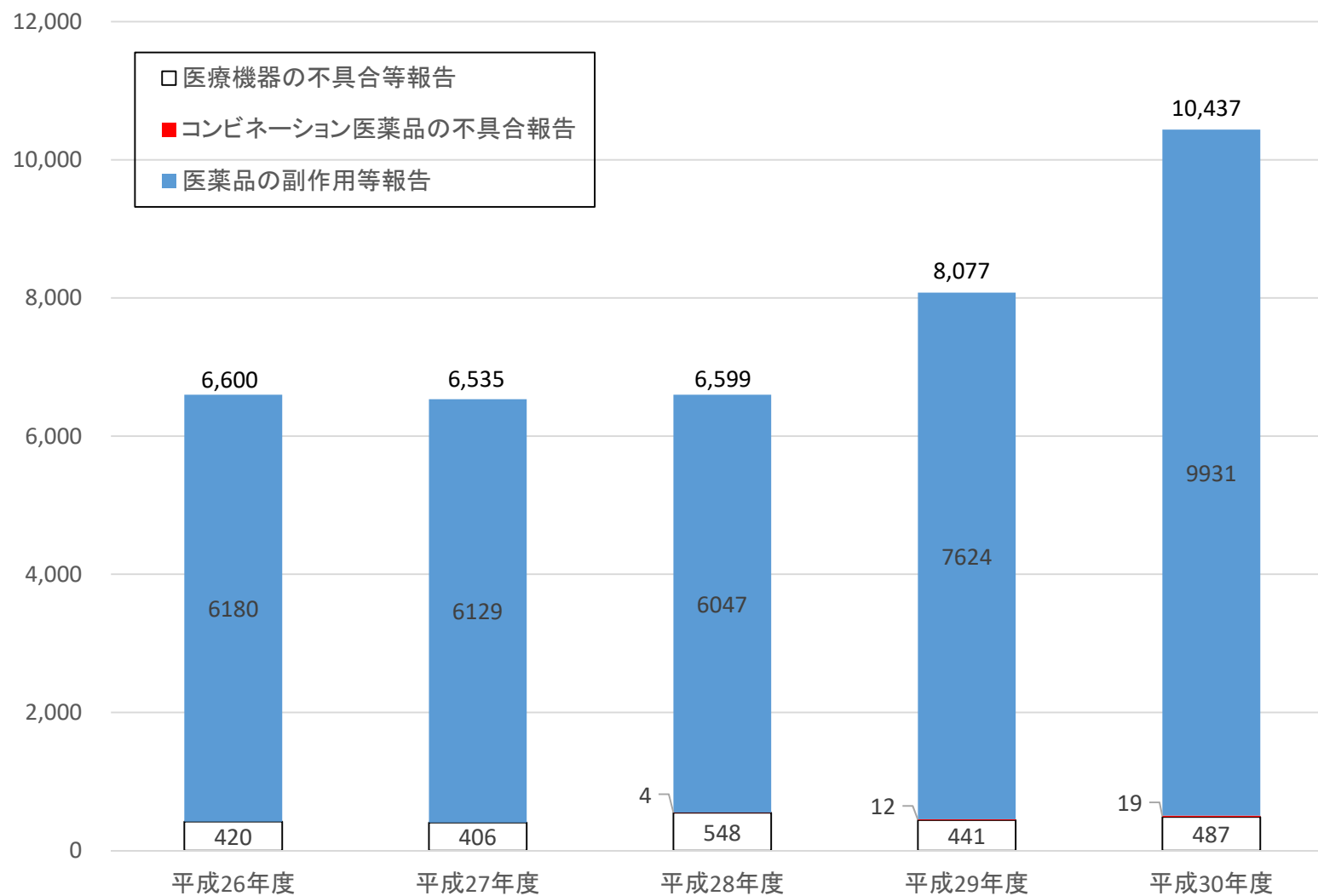


(注1)うち3件は、厚生労働省における検討の結果、添付文書の改訂の措置は行わないこととされた。  
(注2)医薬部外品1件を含む。

# 平成30年度 医療機器・再生医療等製品の主な実績

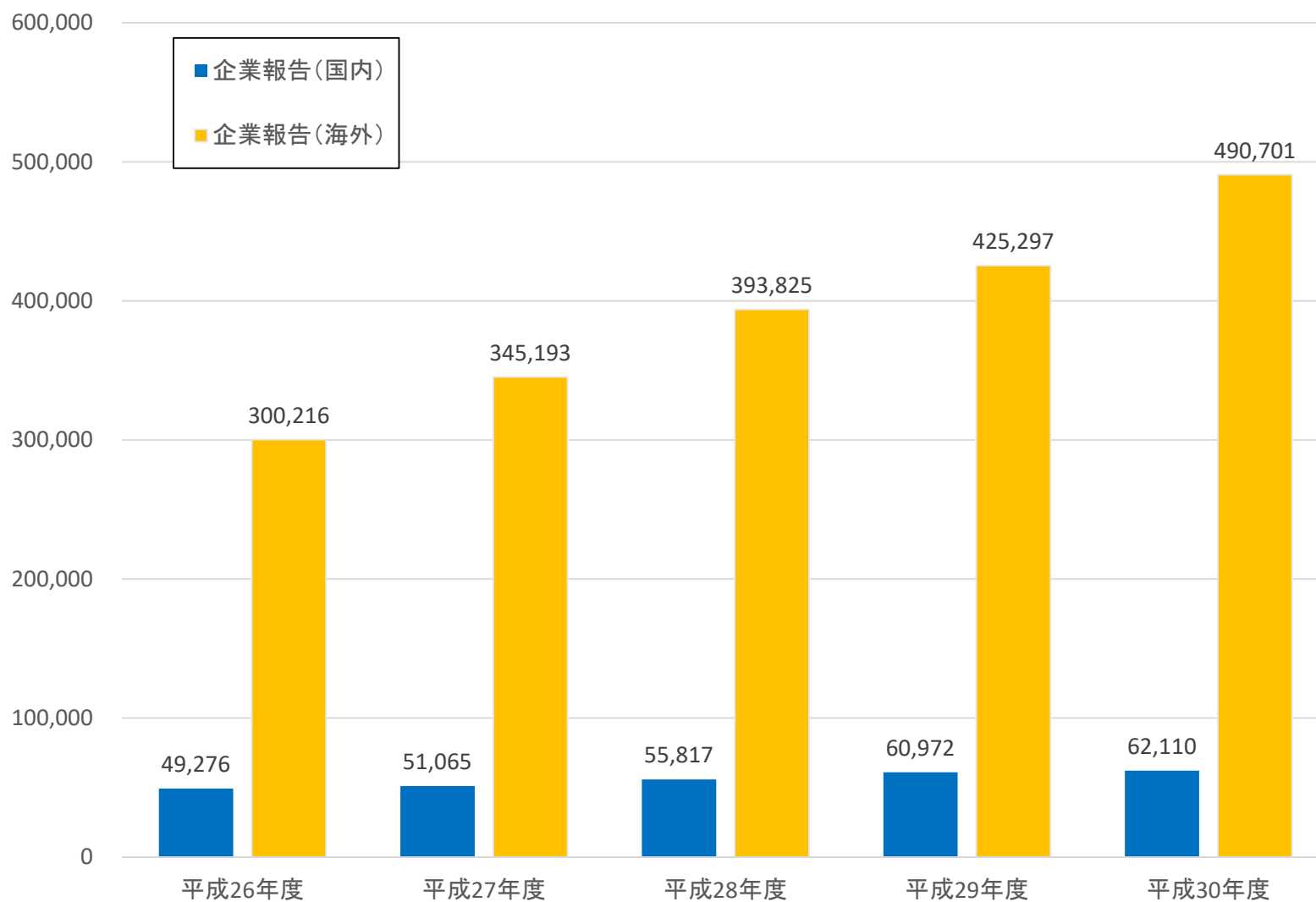


# 医薬関係者からの報告数の年次推移

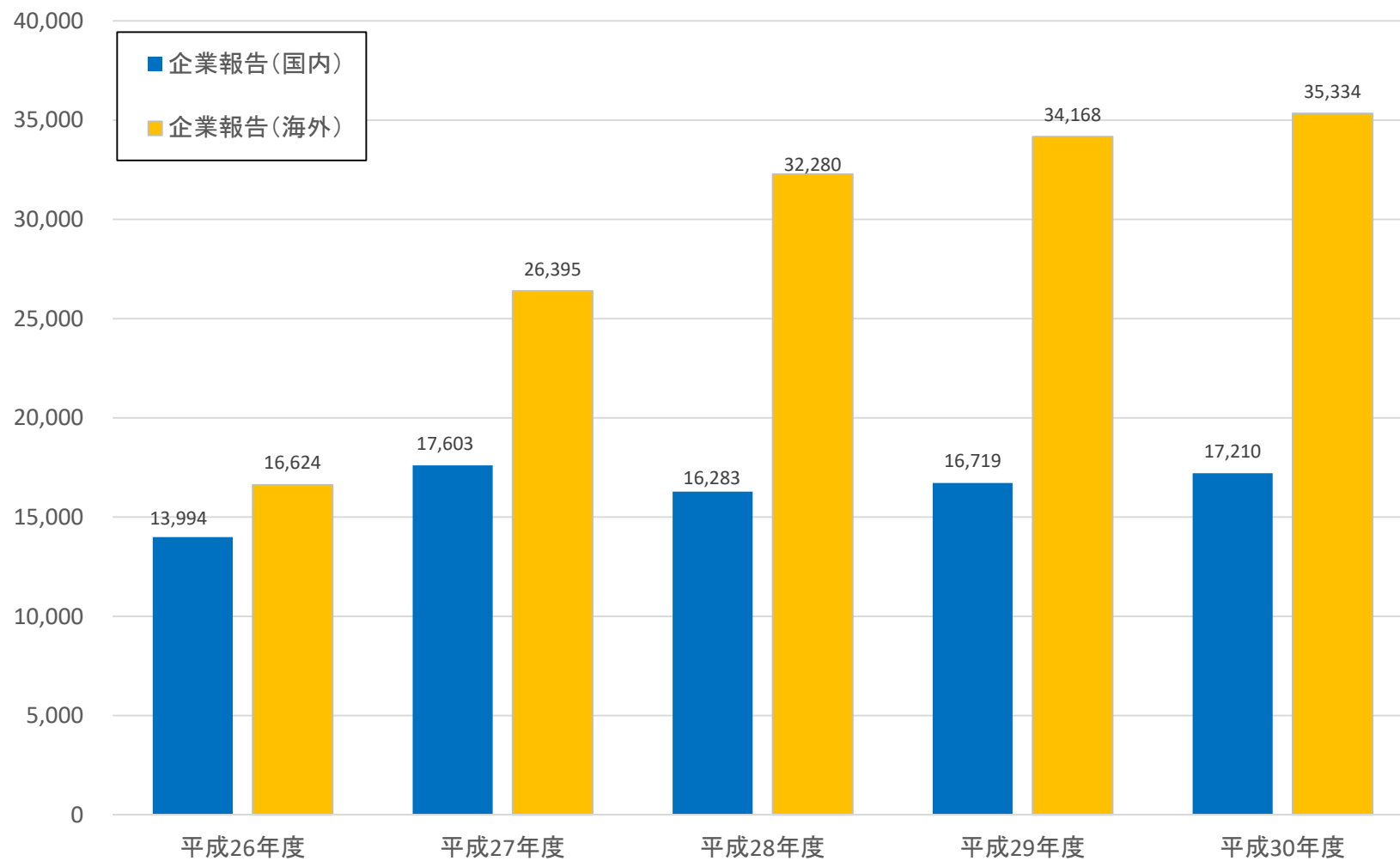


※ コンビネーション医薬品の不具合報告の義務化は平成28年11月25日からであり、平成26年11月25日から平成28年11月24日までは経過措置期間である。  
なお、平成26年度の報告件数は、平成26年11月25日の医薬品医療機器法施行後の件数である。

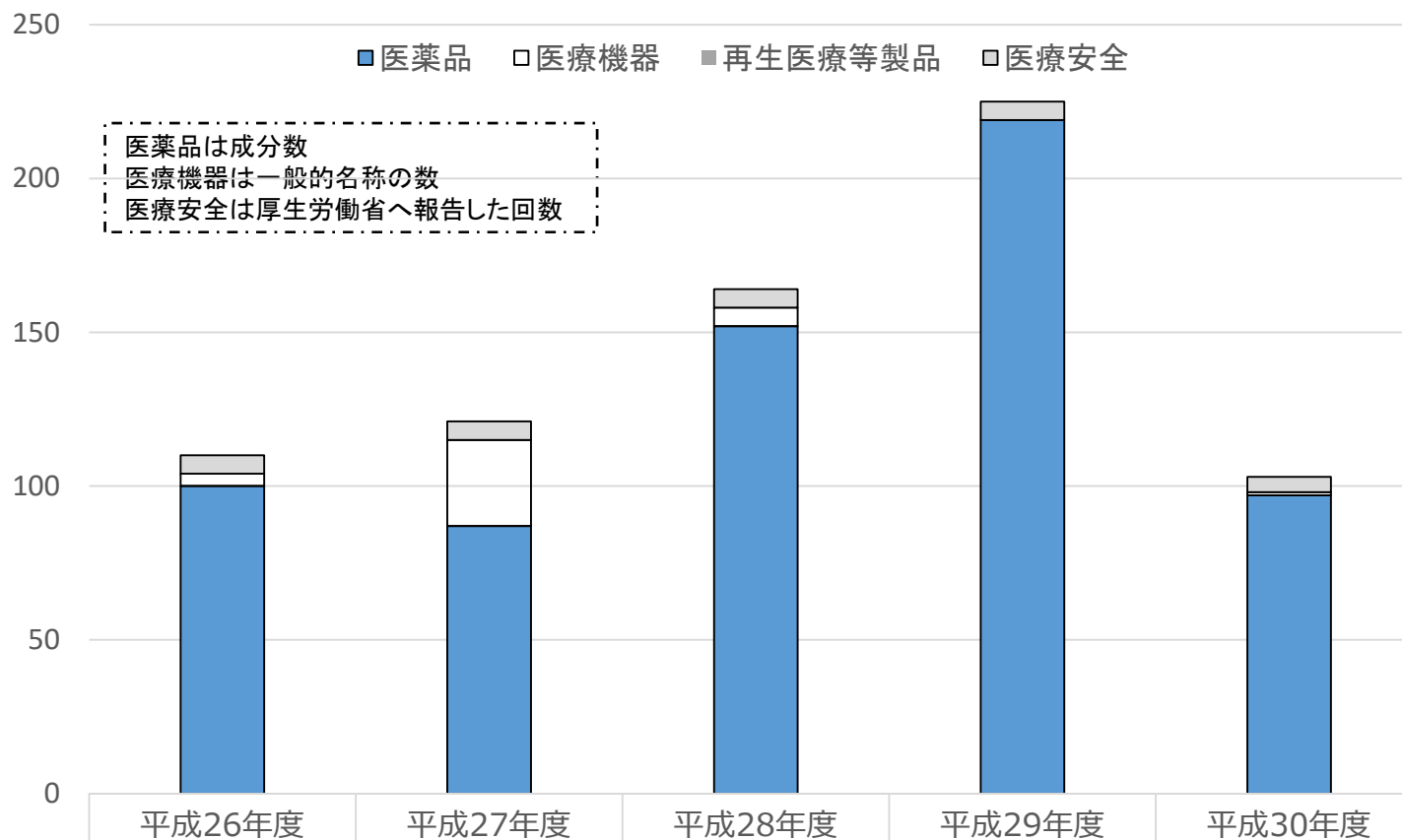
# 医薬品副作用・感染症報告数の年次推移



# 医療機器不具合・感染症報告数の年次推移



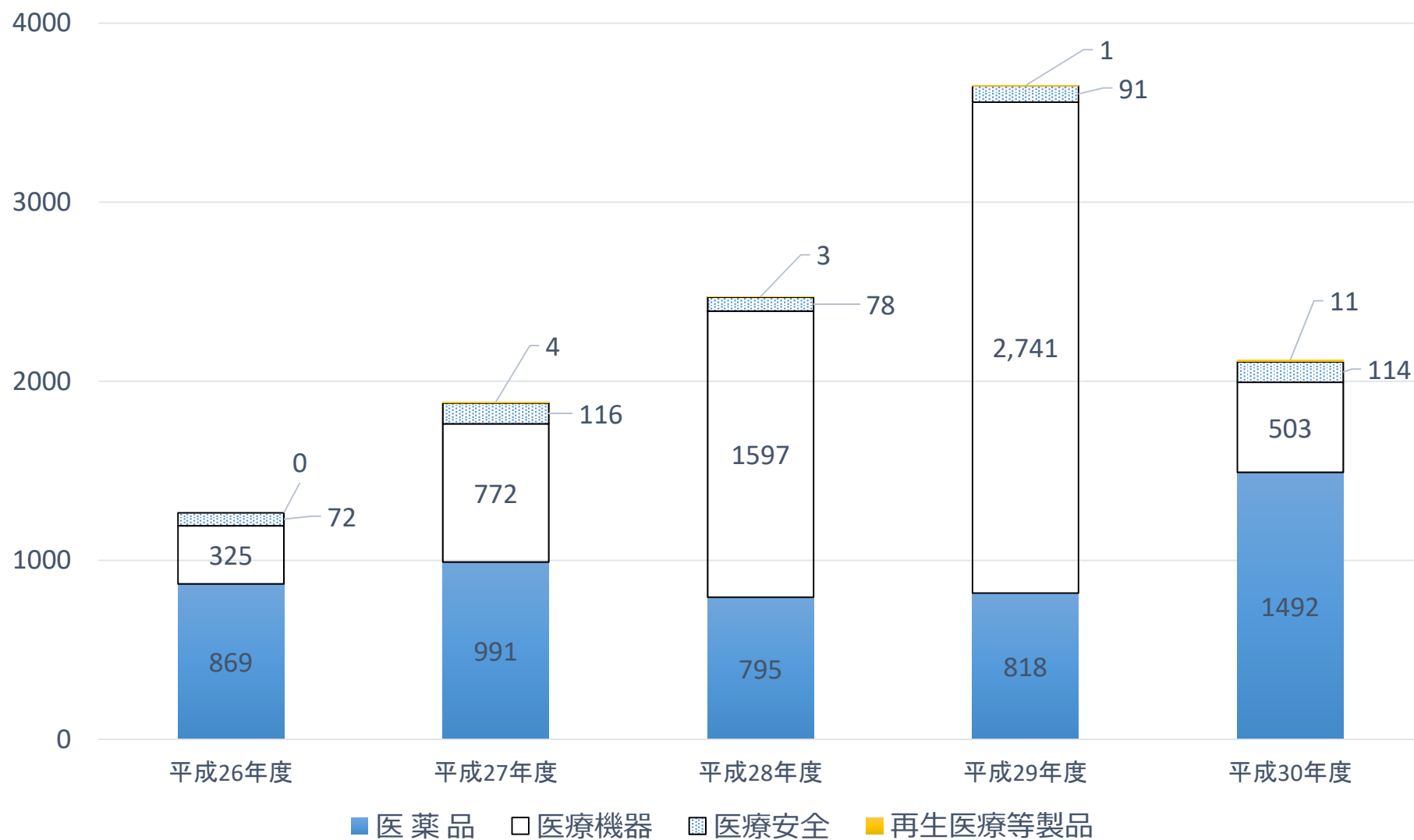
# 添付文書の改訂等の措置が必要なものとして 厚生労働省に報告した件数の年次推移



	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度
□ 医療安全	6	6	6	6	5
■ 再生医療等製品	0	0	0	0	0
□ 医療機器	4	28	6	0	1
■ 医薬品	100	87	152	219※	97

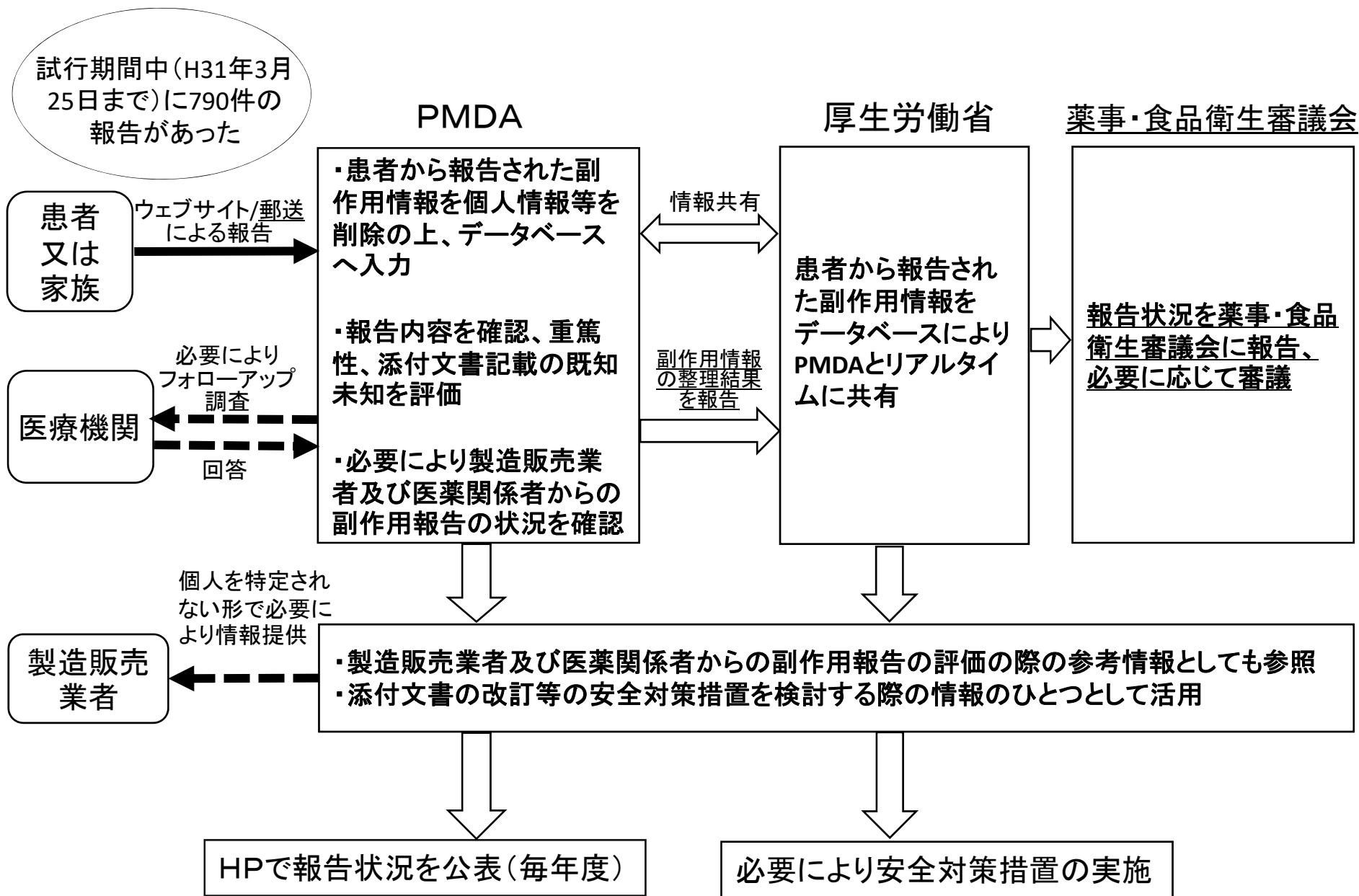
※ 医薬部外品1件を含む

# 企業からの各種相談件数



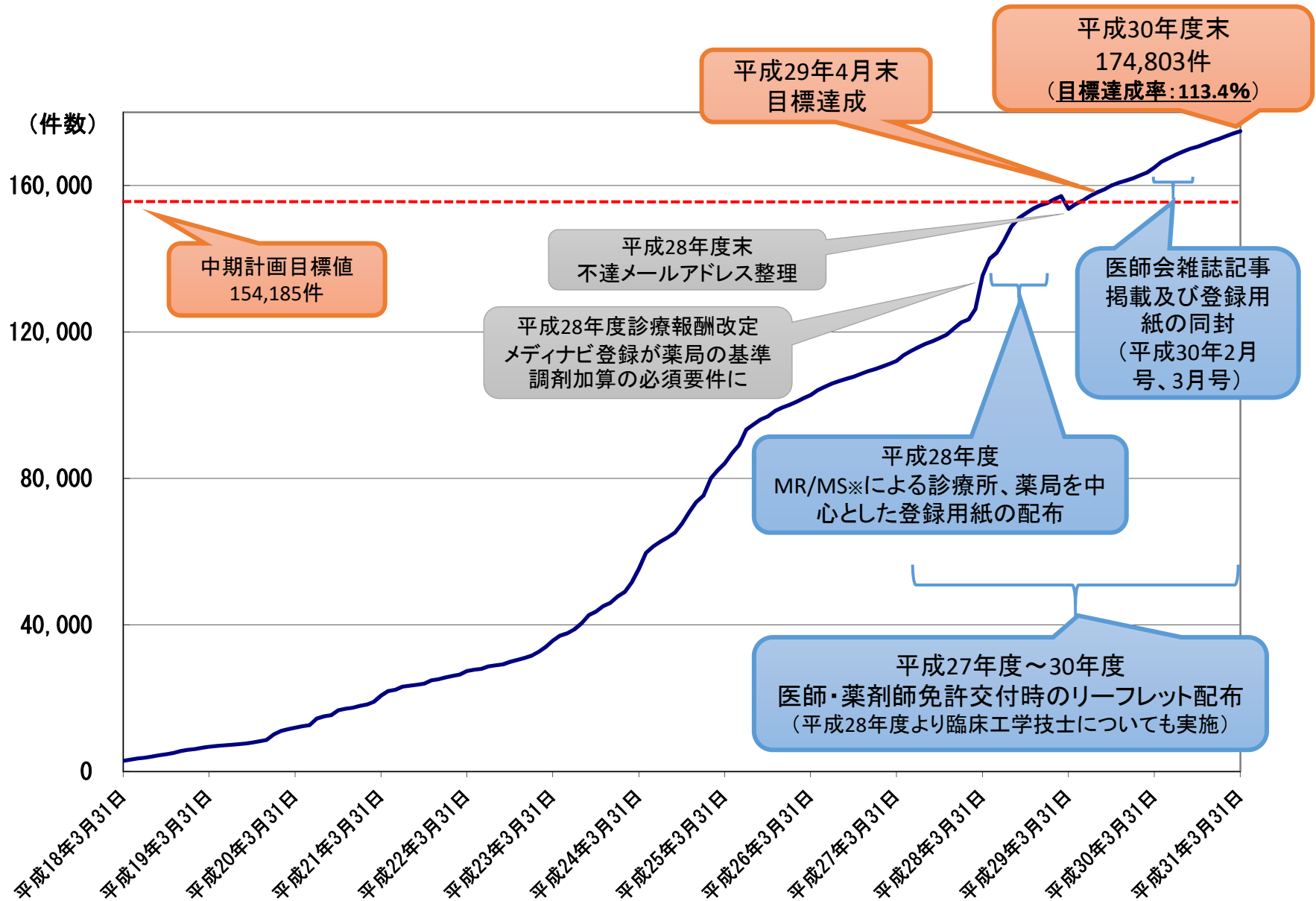


# 患者副作用報告の概要



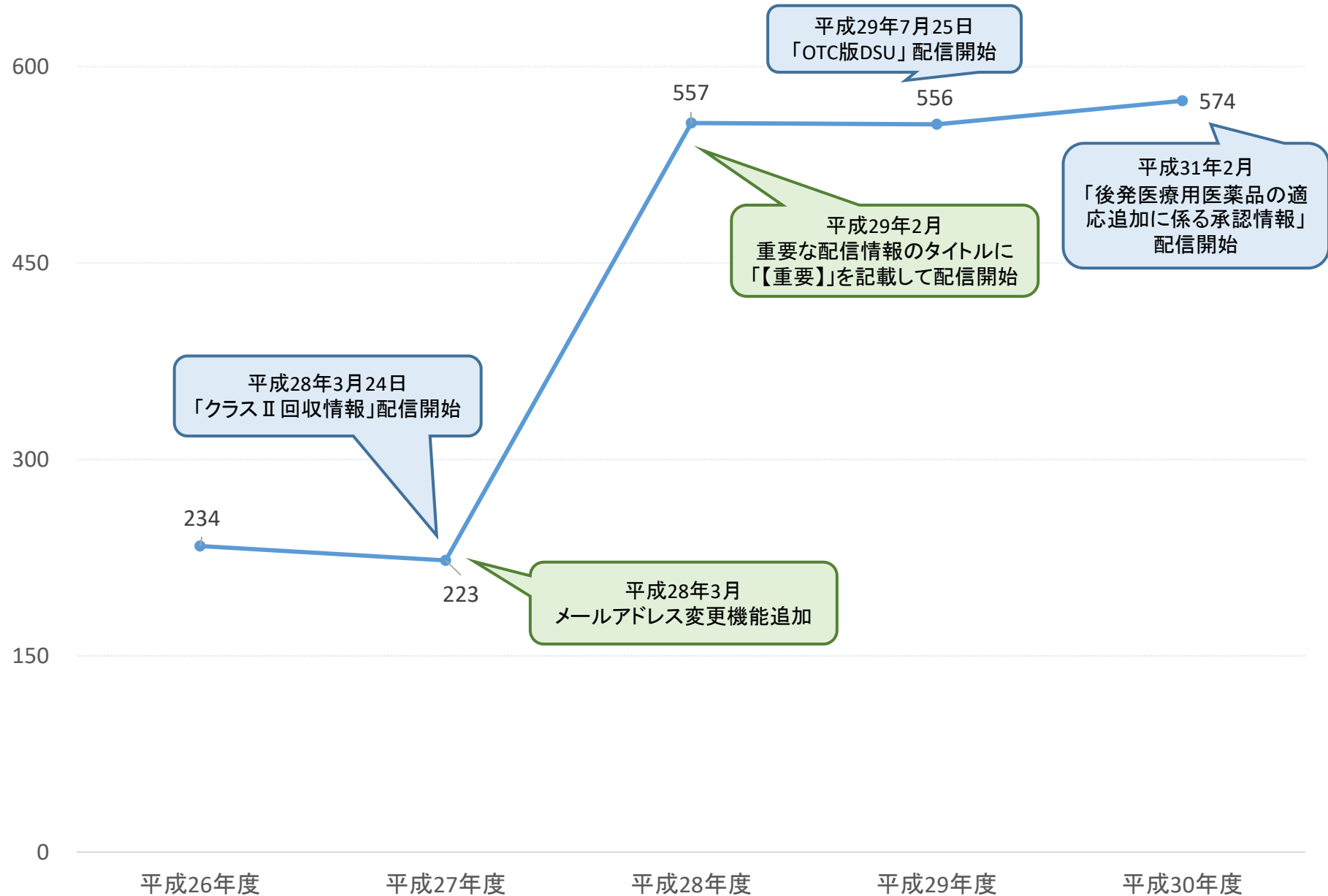
## 1-9 企業・医療関係者への安全性情報の提供 とフォローアップ、患者・一般消費者への安全性 情報の提供

# PMDAメディナビ登録件数の推移

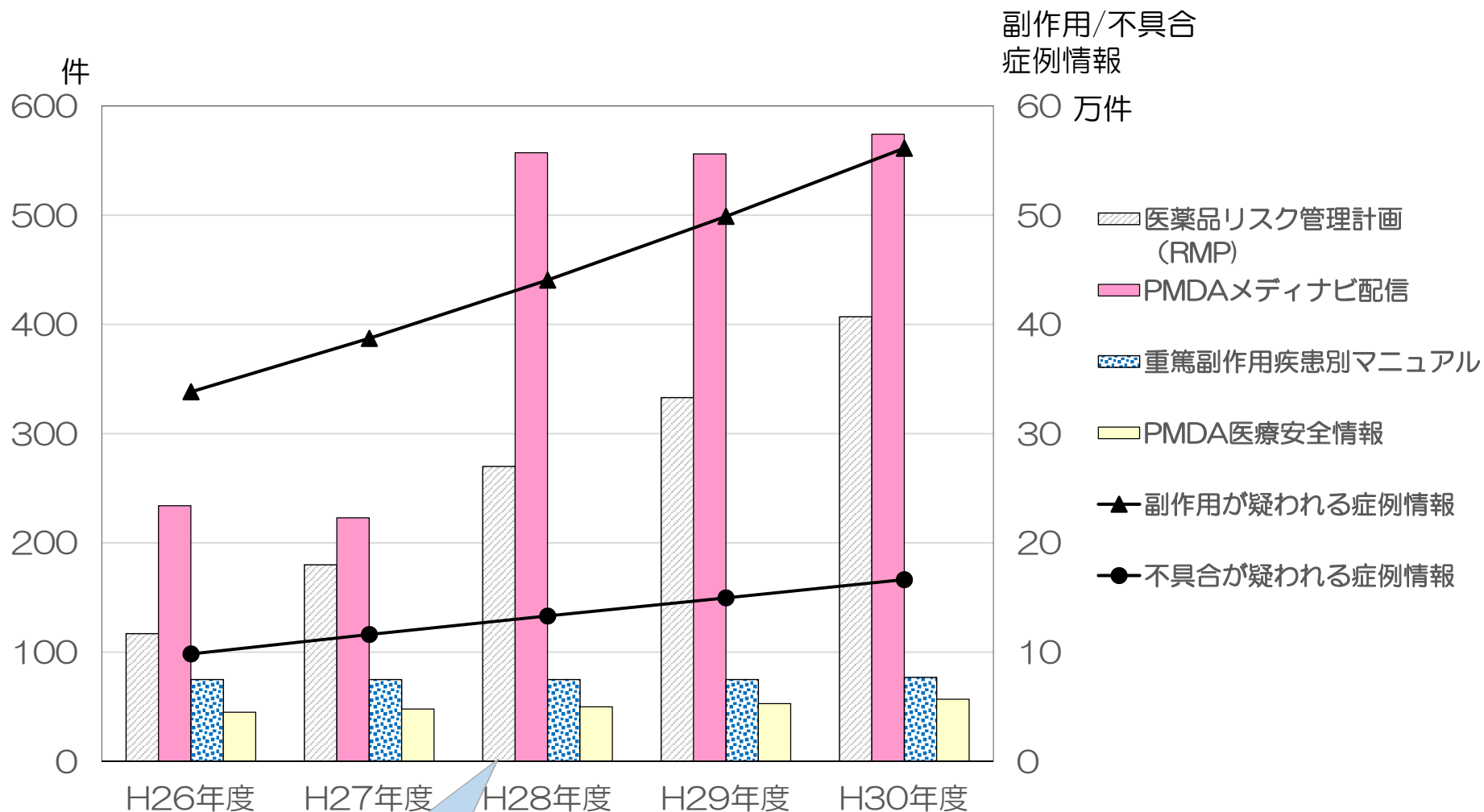


※ MRは医薬情報担当者、MSは医薬品卸売販売担当者

# PMDAメディナビの配信件数

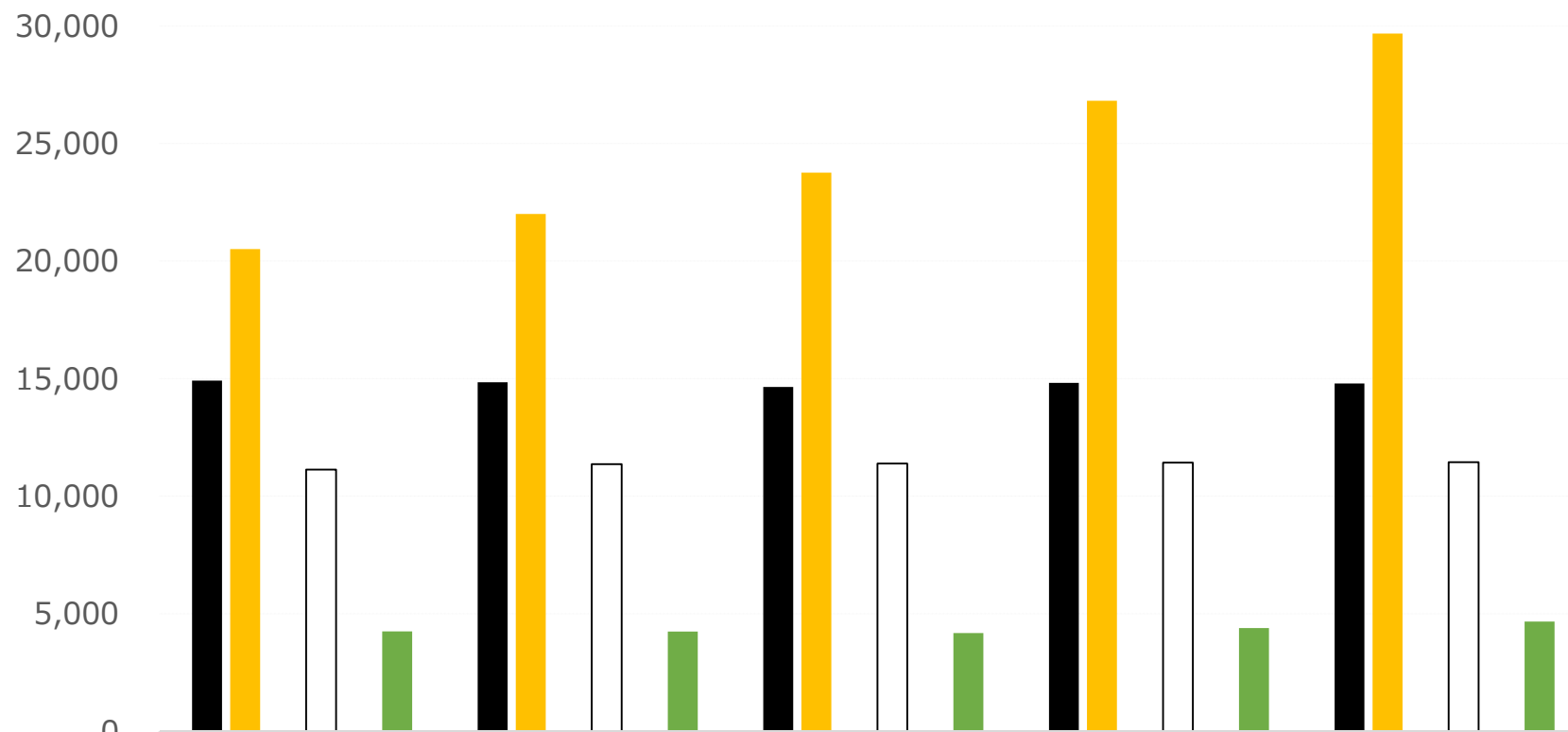


# 主な情報のホームページ掲載件数の推移



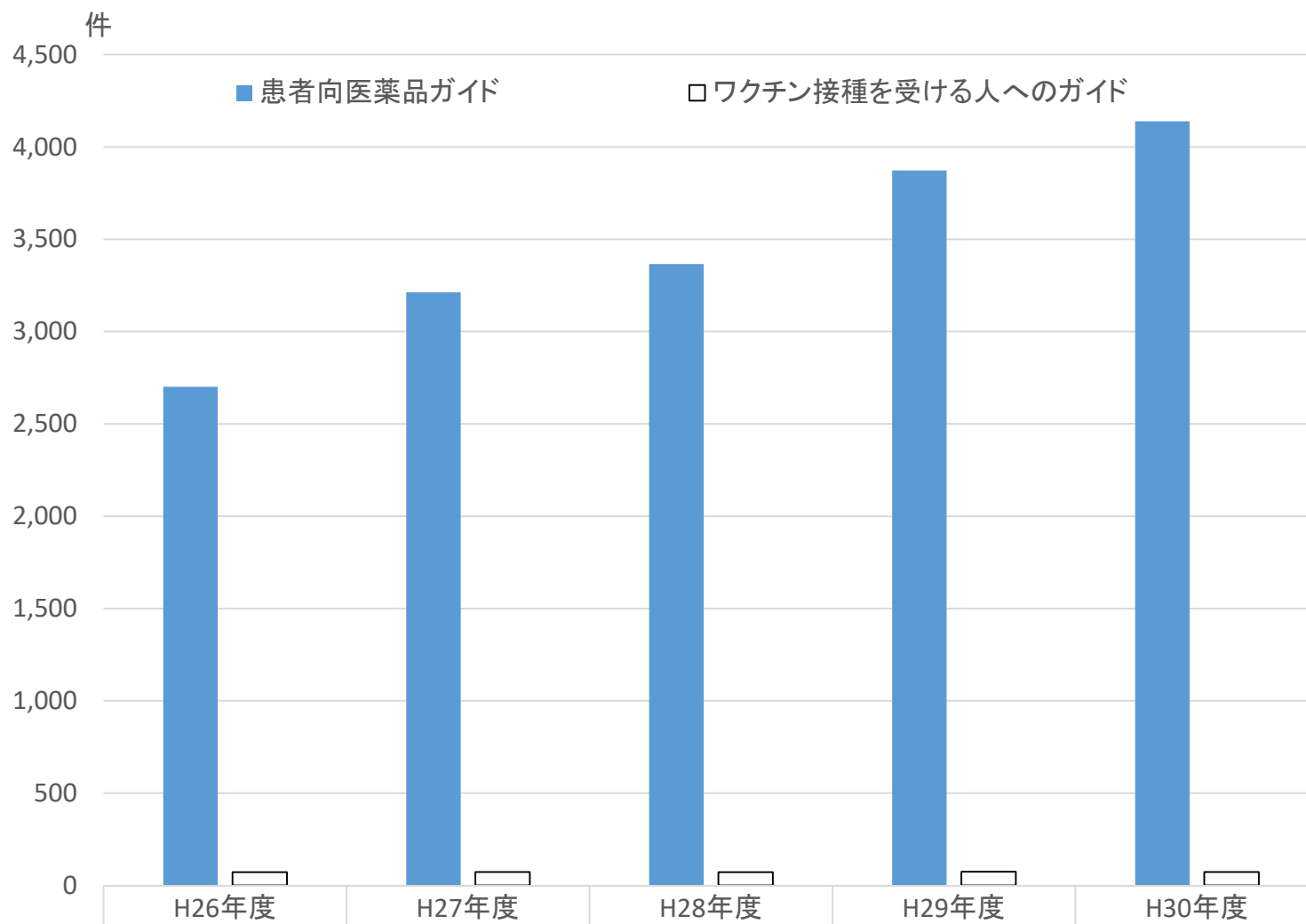
H28年5月～  
RMP概要掲載開始

# 添付文書情報の掲載件数の推移



	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度
■ 医療用医薬品	14,912	14,843	14,639	14,812	14,789
■ 医療機器	20,504	22,001	23,754	26,815	29,669
■ 再生医療等製品	2	3	4	4	5
□ 一般用医薬品	11,127	11,360	11,385	11,425	11,444
■ 要指導医薬品	20	15	16	16	15
■ 体外診断用医薬品	4,247	4,238	4,178	4,390	4,668

# 患者向け医薬品ガイド・ワクチンガイドのホームページ掲載数推移



■ 患者向医薬品ガイド	2,701	3,213	3,366	3,873	4,139
□ ワクチン接種を受ける人へのガイド	72	73	72	74	73



# PMDA医療安全情報の概要

## 目的

「PMDA医療安全情報」は、医薬品・医療機器に関連する医療事故やヒヤリ・ハット事例などから、以下のような内容をイラストや写真を用いてわかりやすく解説し、広く周知することを目的に作成したものです。

- 事例の発生原因やメカニズムなどの解説。
- 安全使用のためのポイントなどの紹介。
- 医療事故防止対策に役立つ製品の掲載。

## 対象

- 医師、看護師、臨床工学技士および薬剤師を初めとする医療従事者
- 医学生、看護学生、および、臨床工学技士などの医療従事者を  
目指す方々 など

## 実績

2007年11月からスタートしており、2019年3月までに57報を作成・配布しています。平成30年度の実績は以下のとおり

- 「膀胱留置カテーテルの取扱い時の注意について」(No.54,2018年6月)
- 「誤接続防止コネクタの導入について(神経麻酔分野)」(No.55,2018年8月)
- 「弾性ストッキング取扱い時の注意について」(No.56,2019年2月)
- 「皮下用ポート及びカテーテルの取扱い時の注意について」(No.57,2019年2月)

## PMDA医療安全情報の一例

■ 医薬品医療機器総合機構 PMDA 医療安全情報 No.57 2019年 2月  
http://www.pmda.go.jp/

**PMDA 医療安全情報**  
(独)医薬品医療機器総合機構

Pmda No.57 2019年 2月

皮下用ポート及びカテーテルの取扱い時の注意について

**POINT** 安全使用のために注意するポイント

1 皮下用ポート及びカテーテルの留置時の注意について

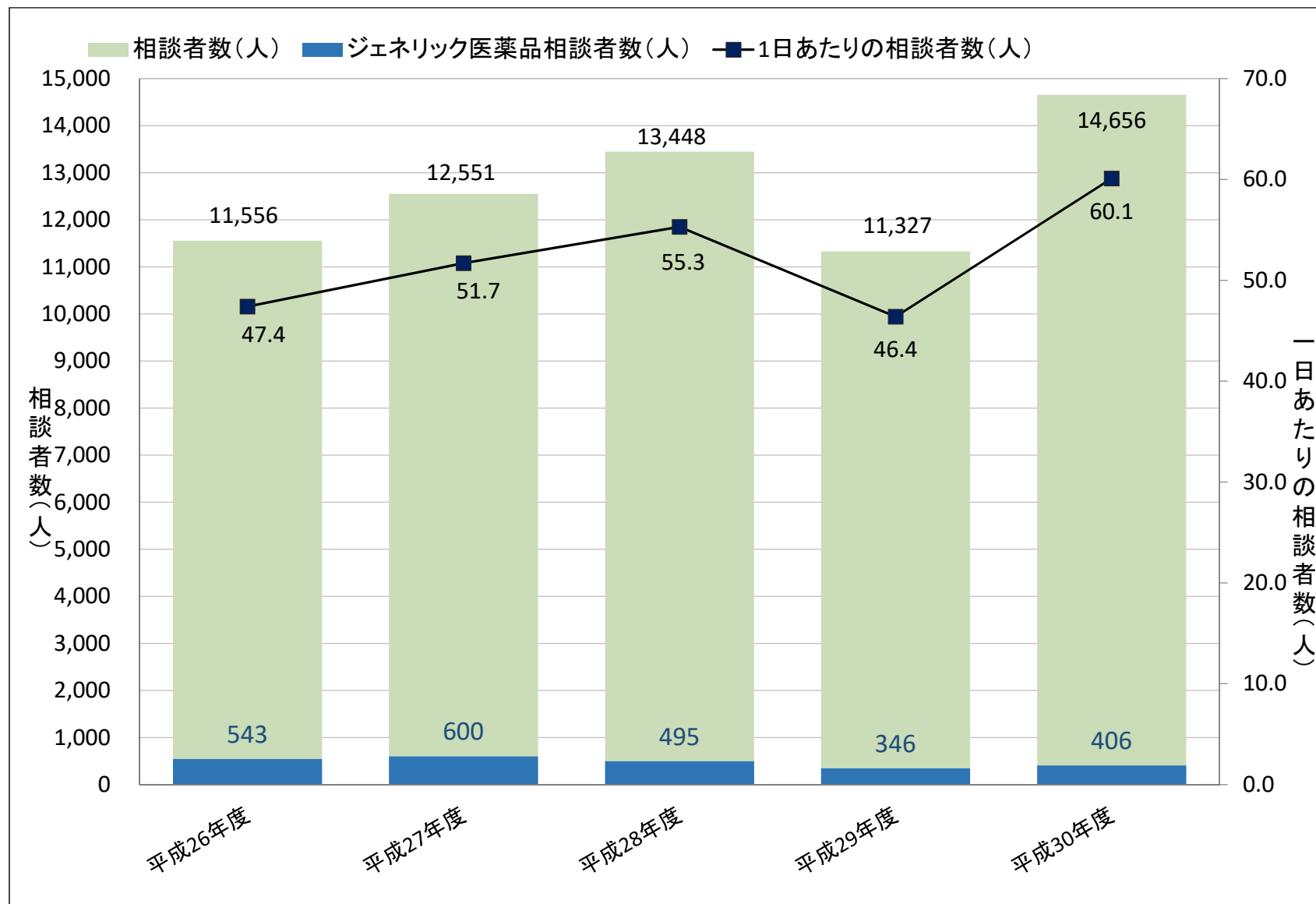
(事例1) 皮下用ポート及びカテーテル留置後、薬液の血管外漏出が発生したため、X線撮影をしたところ、カテーテルが断裂し、断裂片が心臓内へ迷入していることが確認された。

- カテーテル損傷の原因として、以下の要因が知られているため、留置時には注意すること。

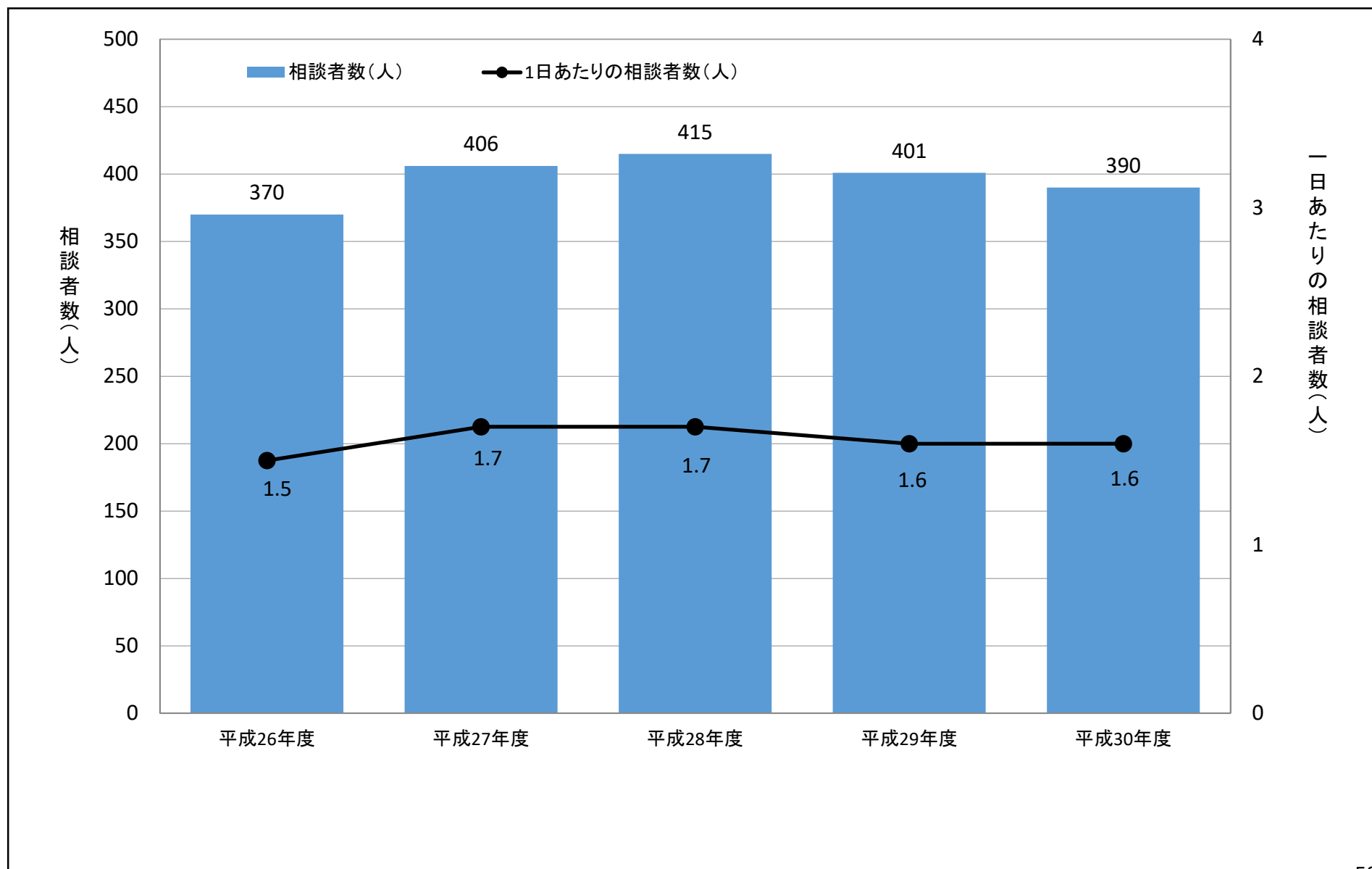
皮下用ポートのカテーテル損傷によって、薬液が血管外に漏出したため、断裂片が心臓内に迷入する事例が報告されています。

1/3

# くすり相談の相談者数の推移



# 医療機器相談の相談者数の年次推移



# 国民向けシンポジウムの概要

開催日時：2018年10月21日(日) 14時～16時

開催場所：野村コンファレンスプラザ日本橋

プログラム概要；クイズと実際の事例についてアドバイザーが説明する参加型のシンポジウム

クイズQ1-Q3	<ul style="list-style-type: none"> <li>・薬と食べ物・飲み物の飲み合わせ</li> <li>・薬の飲み忘れ</li> </ul>
事例 1	副作用と副作用発現率 <ul style="list-style-type: none"> <li>・薬の作用（効果と副作用、バランス）</li> <li>・副作用の経過と重症度</li> <li>・早期発見の大切さ 等</li> </ul>
クイズQ4-Q7	<ul style="list-style-type: none"> <li>・子供の薬と大人の薬</li> <li>・症状がなくなったら薬を止めても良い？ 等</li> </ul>
事例 2	病気の治療と健康食品
事例 3	お薬の情報入手の話 <ul style="list-style-type: none"> <li>・あふれる医薬品情報の落とし穴</li> <li>・医薬品の情報入手のポイント 等</li> </ul>

アドバイザー：林 昌洋（日本病院薬剤師会）  
望月 眞弓（慶應義塾大学薬学部）  
田尻 泰典（日本薬剤師会）

当日参加人数：約100名

主催：(一社)くすりの適正使用協議会 共催：PMDA

**第1回**

## 知っておきたい「くすり」の話

すぐに役立つお得な情報

公開シンポジウム

入場 無料

どなたでも参加可能

定員200名(先着順)

飲み忘れだらどうするの？

2018年

### 10月21日(日) 14:00～16:00(開場:13:30)

野村コンファレンスプラザ日本橋  
(東京都中央区日本橋室町2-4-3 日本橋室町野村ビル5F)

**「くすり」について一緒に考えてみよう！**

① クイズで覚えよう！ 今日からできる「くすり」のあれこれ

② 「くすり」で困ったこと・その解決方法

アドバイザー：林 昌洋 (一社)日本病院薬剤師会 副会長 / 虎の門病院 薬剤部長  
望月 眞弓 慶應義塾大学薬学部 教授 / 慶應義塾大学病院 薬剤部長

主催：(一社)くすりの適正使用協議会  
共催：(社)医薬品医療機器総合機構(PMDA)  
後援：厚生労働省  
(公社)日本薬剤師会  
(一社)日本病院薬剤師会  
認定NPO法人公益法人 医療人権センター-COML  
日本製薬団体連合会

会場アクセス

・東京大江原座席・半蔵門線「三越前」駅(A9出口直結)徒歩1分  
 ・JR総武本線「新日本橋」駅 徒歩3分(駅地下道よりお越しいただけます)  
 ・東京大江原座席・京西線「日本橋」駅(B12出口)徒歩7分  
 ・JR各線「神田」駅(南口)徒歩7分  
 ・JR各線「東横線」(日本橋口)徒歩10分

お問い合わせ

一般社団法人くすりの適正使用協議会

〒103-0016 東京都中央区日本橋小網町12-7 日本橋小網ビル3階

電話：03-3663-8891 FAX：03-3663-8895 URL：http://www.rad-ar.or.jp/ MAIL：info@rad-ar.or.jp

## 1－10 国際化等の推進

# アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター（PMDA-ATC）

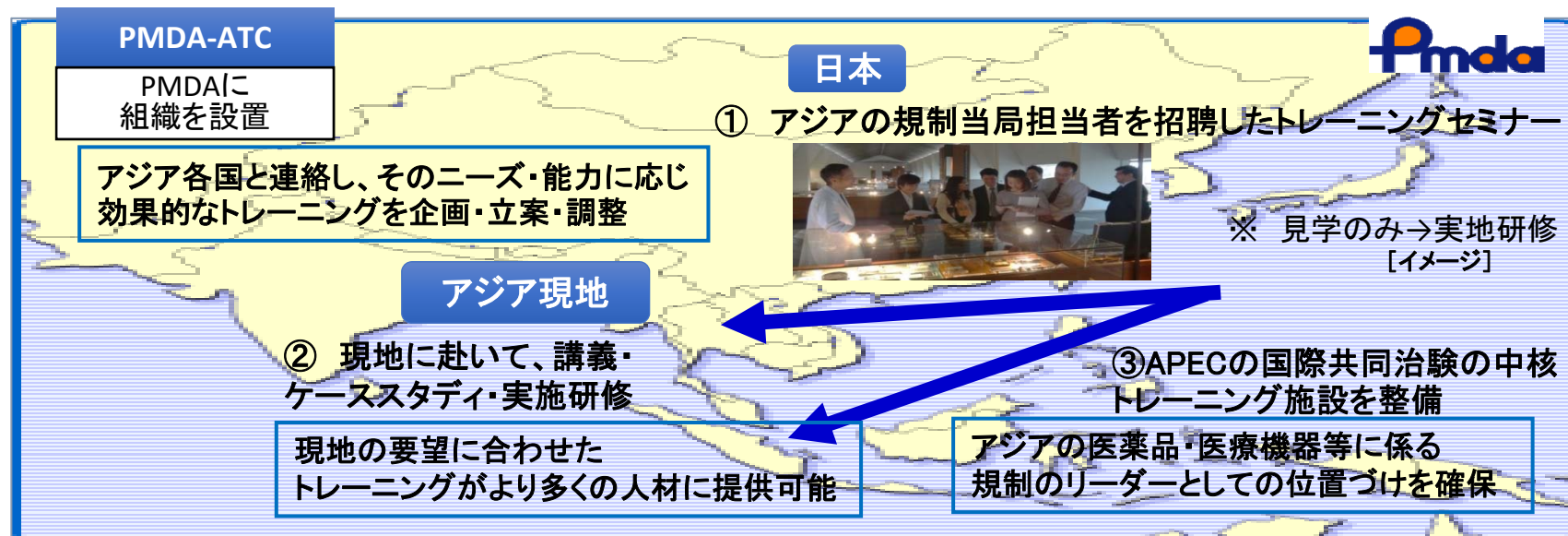
## 背景

- 欧米で承認を受けた新薬等は、アジア諸国において簡略審査制度等の対象。しかし、日本の新薬等は欧米と同等の位置づけを得られていない。

## 対応

- アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター(PMDA-ATC)をPMDAに設置し、アジア主要国に赴いた研修を含め、アジア規制当局の要望のある分野や審査・査察等の能力に応じた効果的なトレーニング機会を提供。
- 日本も、APECの国際共同治験の中核トレーニング施設を整備

➔ 日本の規制等について、アジア規制当局担当者に積極的に発信して理解を促進。また、アジア全体の医薬品・医療機器等に係る規制のレベルアップにも貢献



# 平成28年度アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター主な研修

	セミナー内容・分野	開催時期	開催場所	参加者数(国・地域数)
1	医薬品の審査、安全対策等	2016年 7月25～29日	PMDA	7カ国／地域から 13名が参加
2	医薬品の審査、安全対策等	2016年 9月26～29日	タイ(バンコク)	タイ及び香港から 13名が参加
3	医療機器の審査、安全対策等	2016年 11月7～11日	PMDA	13カ国／地域から 28名が参加
4	医薬品の適切な申請及び審査 手続き	2016年 11月15～17日	台湾(台北)	10カ国／地域から 28名が参加
5	医薬品のGMP	2016年 12月5～9日	富山市	12カ国／地域から 19名が参加
6	医薬品の国際共同治験*	2017年 1月23～26日	PMDA	14カ国／地域から 32名が参加
7	医薬品安全監視*	2017年 2月6～9日	PMDA	15カ国／地域から 28名が参加

\* APEC-LSIF-RHSC pilot CoE Workshop として実施



# 平成29年度アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター主な研修

	セミナーの研修内容(分野)	開催時期	開催場所	備考
1	医薬品リスク管理計画	2017年 5月18日～19日	ジャカルタ	インドネシアから 30名が参加
2	医薬品の審査、安全対策等	2017年 6月26日～30日	PMDA・ 富山県	11カ国／地域から 28名が参加
3	GMP(Good Manufacturing Practice)	2017年 7月31日～8月4日	山口県光市	13カ国／地域から 13名が参加
4	抗感染症薬関連	2017年 10月3日～4日	ハノイ	ベトナムから 30名が参加
5	医薬品の適切な申請及び審査手続き*	2017年 10月31日～11月2日	台北	8カ国／地域から 30名が参加
6	医療機器の審査、安全対策等	2017年 11月6日～10日	PMDA	12カ国／地域から 30名が参加
7	医薬品の審査、安全対策等	2017年 12月12日～15日	バンコク	スリランカ及びタイから 20名が参加
8	医薬品の国際共同治験*	2018年 1月15日～18日	PMDA	11カ国／地域から 25名が参加
9	医薬品安全性監視(ファーマコビジランス)*	2018年 2月5日～8日	PMDA	17カ国／地域から 29名が参加

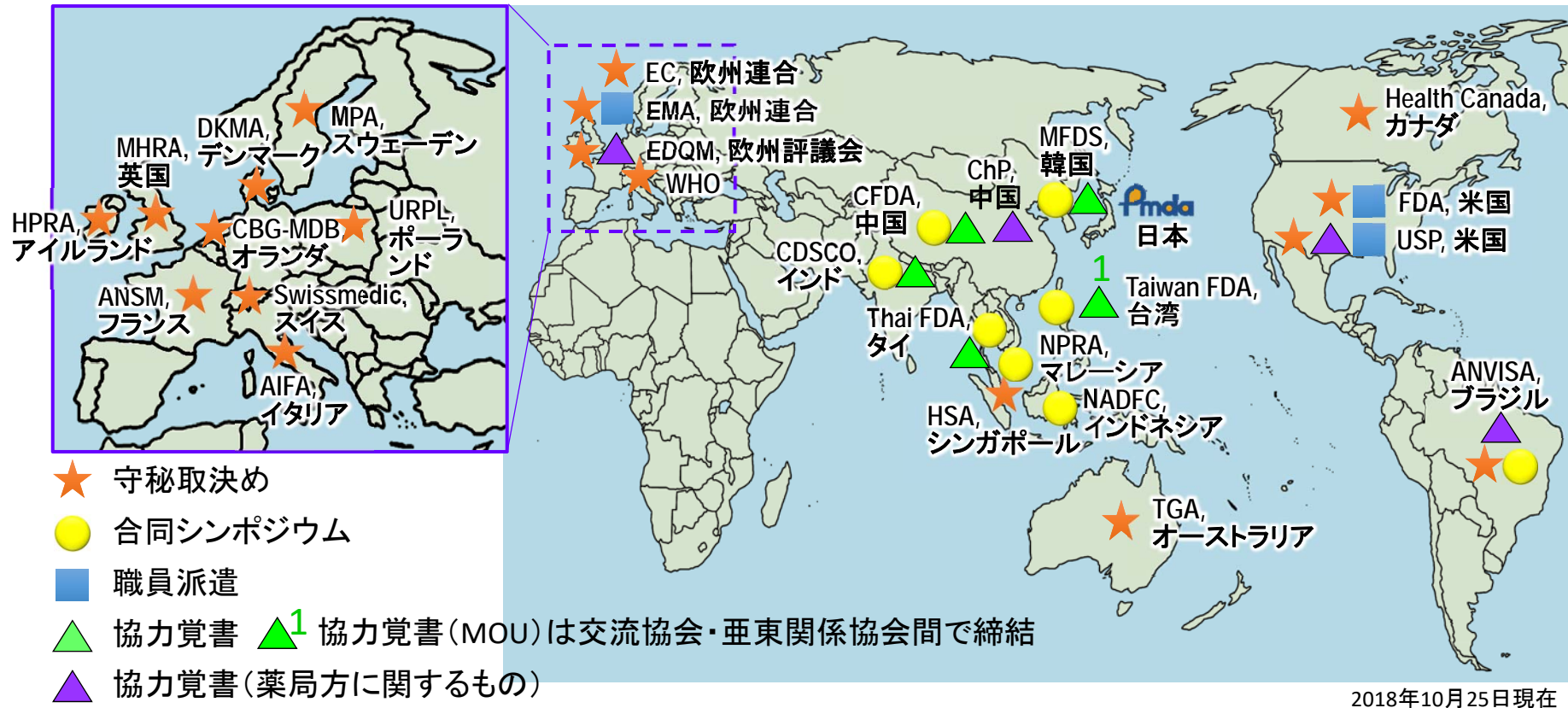
\* APEC-LSIF-RHSC(アジア太平洋経済協力 ライフサイエンスイノベーションフォーラム 規制調和執行委員会)の優良研修センターワークショップとして開催 (<http://www.mhlw.go.jp/stf/houdou/0000153615.html>)

# 平成30年度アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター主な研修

	セミナーの研修内容	開催時期	開催場所	参加者数
1	小児医薬品の審査*	2018年 6月11～14日	東京(PMDA)	12カ国／地域から 24名が参加
2	医薬品の審査、安全対策等	2018年 6月18～22日	東京(PMDA)・富 山市	16カ国／地域から 30名が参加
3	医薬品の適切な申請及び審査手続き(GRM)	2018年 9月26～28日	台北(台湾)	11カ国／地域から 29名が参加
4	医薬品の審査、安全対策等	2018年 10月15～16日	ネピドー (ミャンマー)	ミャンマーから32名 が参加
5	品質管理(漢方)	2018年 10月22～24日	富山市	14カ国／地域から 15名が参加
6	医療機器の審査、安全対策等	2018年 11月12～16日	東京(PMDA)	17カ国／地域から 25名が参加
7	GMP(Good Manufacturing Practice)***	2018年 11月26～30日	宇都宮市 (栃木県)	14カ国／地域から 14名が参加
8	医薬品の国際共同治験**	2019年 1月21～24日	東京(PMDA)	13カ国／地域から 21名が参加
9	医薬品の審査、安全対策等	2019年 1月28～31日	ジャカルタ (インドネシア)	インドネシアから 48名が参加
10	医薬品安全性監視(ファーマコビジランス)**	2019年 2月4～7日	東京(PMDA)	15カ国／地域から 29名が参加

\*U.S.FDAとのジョイントセミナー, \*\*APEC-LSIF-RHSC CoE Workshop, \*\*\*With the support of PIC/S

# 世界・アジアにおけるPMDAの貢献



- 人的派遣
  - ・EMA・USP等にてエゾン常駐、FDAと協働(技術分野)
- 二国間・多国間対応
  - ・二国間シンポ・当局間会合の定期的実施
  - ・アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター設置・セミナー開催
  - ・医薬品・医療機器に関する国際GL・規格のアジア諸国受け入れに向けた調整等を主導
- 国際広報・情報発信の充実・強化
  - ・審査報告書・安全性情報・薬局方・医療機器の認証基準等の英語発信
- 第12回薬事規制当局サミット・ICMRA会合
  - ・日本での初めての開催(昨年京都)、合意形成を主導し、国際的フォローアップに貢献 等

# 日本が参照国制度等の対象になっている主要国・地域

## 1. 医薬品

(平成31年3月末現在)

国名	制度	参考
欧州委員会	• GMP・GLP調査結果受入れ	• 日欧間の相互承認協定(MRA)によるもの
スイス	• 医薬品審査の迅速化	
タイ	• 医薬品審査の迅速化	
台湾	• 非臨床試験の審査結果の受入 • 医薬品審査の迅速化	• 日米欧の2以上で承認かつ人種差がない場合
インドネシア	• 医薬品審査の迅速化	• 日米欧を含む3か国以上での承認の場合
マレーシア	• 適応追加審査の迅速化	• 日米欧等2以上での承認の場合 • 現在、参照国制度を見直し検討中
ウクライナ	• 医薬品審査の迅速化	
アラブ首長国連邦	• 医薬品審査の迅速化	

(その他) 厚生労働省・PMDAはWHOが定義するSRA (Stringent Regulatory Authority) (信頼できる規制当局)の1つとして公表されている。

# 日本が参照国制度等の対象になっている主要国・地域

## 2. 医療機器及び体外診断用医薬品 (IVD)

(平成31年3月末現在)

国名	制度	参考
台湾	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVDの品質管理システムに関する資料の軽減</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>台湾に医療機器を輸出する際に企業から提出が必要な品質管理システムに関する資料が対象</li> </ul>
シンガポール	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	
マレーシア	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	
メキシコ	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器審査の迅速化</li> </ul>	
インド	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本の医療機器及びIVDのQMS調査結果受入れ</li> <li>インドでの臨床試験の実施免除</li> </ul>	
オーストラリア	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>施行待ち</li> </ul>
サウジアラビア	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本での承認／認証取得がサウジアラビアでの医療機器及びIVDの承認要件</li> </ul>	

(その他) 日本の医療機器の承認／認証制度と同様の仕組みがWHOの「Global model framework」(参考にすべき規制体系)として公表されている。

# 第12回薬事規制当局サミット等の開催（概要） （平成29年10月：京都）

## 1. 第12回薬事規制当局サミット・ICMRA会合

（参加者：29カ国よりトップを含む延べ86名）

### （1）第12回薬事規制当局サミット（10月24・25日）

#### （ア）再生医療等製品の国際的な規制調和の推進

- ・各当局は既存の国際的な枠組みを活用して、  
再生医療等製品に関する国際的な規制調和を推進する

#### （イ）リアルワールドデータ（RWD）の活用

- ・各当局は薬事規制におけるRWDの活用につき様々な技術的課題に直面しているところ、各当局の知見を集めて効果的に対処するため、国際シンポジウムの開催も含めた各当局の意見交換を推進する

#### （ウ）薬事規制当局サミットとICMRAの統合（次回より一本化） ※来年は米国開催

### （2）ICMRA会合（10月25・26日）

- ・日本が提案した活動計画書に基づき、「イノベーションプロジェクト」の開始を合意
- ・うち、「各国が実施しているホライゾン・スキャニング※の方法論分析」を日本がリード

※ホライゾン・スキャニング…レギュラトリーサイエンスに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのか網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組

## 2. 薬事規制当局サミットシンポジウム（10月27日：約1,500名参加）

○サミット・ICMRAの翌日にこれらの成果を報告するためのシンポジウムを開催

※サミットに連動する公開シンポジウムの開催は初めての試み





# ホライズンスキヤニングに関するICMRAの報告書（概要）

## 【ICMRAとは】

- ✓ International Coalition of Medicines Regulatory Authorities (ICMRA; 国際薬事規制当局連合組織)は日、米、欧等の主要国・地域の29当局の長が参加する会議体。2013年に設立。
- ✓ 国際活動の重複排除や、重要な国際活動の優先等を議論する場。
- ✓ 革新的技術の規制に関しては2017年10月の京都ICMRA会合にて3つのICMRAのプロジェクトを開始し、日本はホライズンスキヤニング(HS)の手法を検討するプロジェクトの議長を務めた。

## 【ホライズンスキヤニングとは】

ホライズン・スキヤニングは、5年～10年後に大きなインパクトをもたらす可能性のある変化の兆候をいち早く捉えて、それに対応することを目的とした将来展望活動の一つ。具体的には、文献や記事、専門家など様々な情報ソースから医薬品、医療機器等に関連する新しい技術を見つけ出し、規制へ及ぼす影響や優先順位付け等の評価を行う。

## 【報告書概要】

### □ プロジェクト1:HS手法の最適化検討（議長:日本）

各国のHS手法について比較検討。HSの一般的なプロセスは右図参照。

### □ プロジェクト2:HSの結果の活用（議長:EUとアイルランド）

代表的なHS活動として、ゲノム編集、3Dプリンティング及び人工知能を取り上げ、各国の規制上の対応等の経験を共有。早期の規制対応及び革新的技術の評価するための規制当局内専門家の育成の必要性について提言。

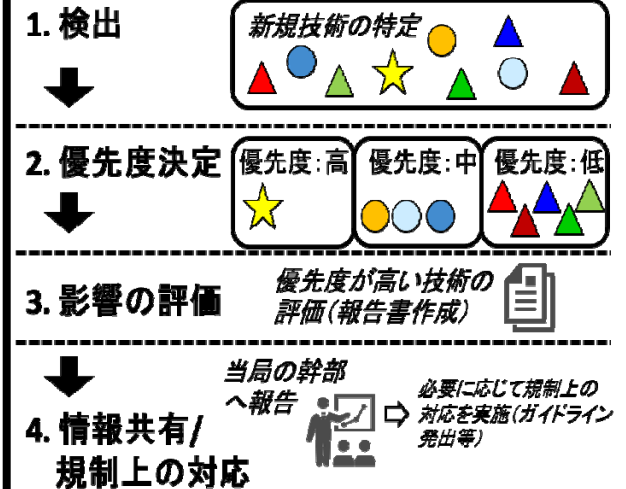
### □ プロジェクト3:承認申請への新たなアプローチ（議長:カナダ）

革新的製品を早期に患者へ届けるための各国の法規制の枠組みについて調査。優先審査等(先駆け審査制度等)における評価に必要なエビデンス、ステークホルダーとの連携、国際調和等を課題としてあげた。

## 【今後について】

各国はHSに関する国際協力の重要性を認識し、今後ICMRA内で更なる協力強化を行う予定。

## ホライズンスキヤニングの手法



## 2-1 目標管理による業務運営・トップマネジメント、 審査機関の設置による透明性の確保、相談体制 の整備、業務内容の公表等

# PMDA行動基準

わたしたちは、PMDAの理念を実現するため、以下の行動基準に則り、社会的倫理観とレギュラトリーサイエンスの価値観をもって行動します。

## 1. コンプライアンス

わたしたちは、法令及び組織の諸規程の遵守はもとより、社会規範に則り、高い倫理観をもって行動します。

## 2. 厳重な情報管理

わたしたちは、職務上知り得た企業秘密、個人情報等の機密情報を厳重に管理します。

## 3. 職務執行の公正性の確保

わたしたちは、業務にかかわるすべての関係者に対し、高い透明性のもとで、公平、誠実、かつ、礼儀正しく、謙虚に行動し、「Honest PMDA」を実践します。

## 4. 働きやすい職場環境づくり

わたしたちは、働きやすい職場環境を目指し、挨拶の励行をはじめとし、良好なコミュニケーションを図ります。

## 5. 健康管理

わたしたちは、自身の健康の維持管理に努め、周囲の人の健康にも気を配ります。

## 6. ハラスメントの防止

わたしたちは、一人ひとりの尊厳と人格を尊重し、差別やハラスメントを行いません。

## 7. チームワーク

わたしたちは、適時適切に報告・連絡・相談を行い、相手の立場を理解して、真摯に周囲の意見に耳を傾け、協力して業務を行います。

## 8. 業務改善

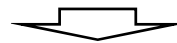
わたしたちは、常に前向きな精神により、業務改善を行い、効率をあげ、より高い目標に向かって挑戦します。

## 9. PMDA資産の適切な管理・使用

わたしたちは、PMDAが所有する物品等を常に良好な状態で管理し、公私混同することなく、効率的に使用します。

# PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト（概要）

- PMDAは、設立から14年目に入り、この間の体制強化（300人→1,300人（※ 嘱託職員、事務補助員を含む））や規制のイノベーションの取組により、パフォーマンス面では世界をリードする規制機関へと進化。
- 今後、さらに世界をリードしていくためには、これまでの組織規模や機能の拡大等を踏まえ、将来に亘って使命を果たしていくことのできる組織基盤（ガバナンス体制）を固めていくことが必要。
- これまでも個別にガバナンス向上の取組を実施してきたが、取組の全体像を「見える化」することにより透明性を確保しつつ、職員のモチベーションと生産性の向上を通じて、PMDAを取り巻く全ての人々の思いに真摯に向き合い、より一層、信頼される組織になるための取組を進めていく。



2018年度末を目標に、適切な進捗管理の下、総合的にガバナンス向上の取組を進めていく「**PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト**」をスタート。

## 具体的取組内容

### 1. 1,300人の組織にふさわしい意思決定、統制体制の構築

- (1) **意思決定、業務執行体制の強化**（経営企画機能の強化、新たな課題に対応するための執行体制の見直し）
- (2) **規律ある職場の実現に向けたルールの見直し**（労務管理関係諸規程の見直し、働き方改革を踏まえた対応）
- (3) **リスクマネジメントの強化**（コンプライアンスの徹底（研修の強化）、リスク事案検証・再発防止策策定プロセスの改善、IT統制・効率的なセキュリティ対策の実施、研究に関する利益相反防止の徹底、法務・コンプライアンスに関する組織体制の強化、文書決裁、管理、保存及び廃棄のあり方見直し）

### 2. 科学的な視点での確かな判断を行う優秀な人材の確保・育成の推進と業務品質の一層の向上

- (1) **CDP(Career Development Program)の着実な運用による職員の計画的な育成**  
（キャリアシートによるキャリアデザイン推奨、新たな人事ローテーションの運用、CDPを踏まえた研修体系の整備、学位取得の支援）
- (2) **人事評価制度及び給与制度の見直し**（職員を的確に評価できる人事評価制度、職務内容を踏まえた給与制度の構築）
- (3) **働きやすい職場づくり**（業務改革による働き方のイノベーションの推進（働き方改革）、フレックスタイムの導入、テレワークの検討（対象拡大）、職員の健康管理対策の充実、組織内コミュニケーションの活性化、オフィス改革の取り組みに向けた検討）
- (4) **意見・苦情対応の強化を通じた業務品質の一層の向上**（意見・苦情に真摯に向き合うための仕組みづくり）

### 3. 財務ガバナンスの強化

- (1) **手数料・拠出金が収入の太宗を占める組織にふさわしい財務ガバナンスの確立**（申請動向を踏まえた迅速な意思決定体制の整備・運用、適切な財務指標の設定）
- (2) **長期に安定した財政運営を可能にする予算編成**（的確なシーリングの設定等による予算編成）
- (3) **財務状況の定期的な開示**（外部有識者を構成員とする運営評議会等への定期的な財務状況の報告（審査等勘定））

上記取組を通じ、将来にわたって、より有効で、より安全な医薬品・医療機器等をより早く医療現場に届ける組織基盤を構築

# 不適切な事務処理等①

※日付は公表日

## 発症者健康管理手当(給付金)の支給遅延(平成29年4月14日)

概要: 薬害HIV被害者(108名)の方々に対してお支払いしている「発症者健康管理手当」が期日に振り込まれなかった

再発防止策: ①事務処理手順の見える化とダブルチェックの徹底

(振込み手順の明確化、金融機関への登録・送信処理の複数職員でのチェック)

②進捗管理の徹底(誰がいつ振り込んだかわかる管理表を作成)

③職員の再教育(会計事務の重要性の再認識)

## 承認申請時の電子データを記録したUSBメモリの紛失(平成29年4月28日)

概要: 申請電子データ(4社5品目)が書き込まれたままのUSBメモリを執務室内で紛失

再発防止策: ①USBメモリに保存された機密情報は必要がなくなった時点で速やかに消去

②当該作業を行う端末を管理職の近くの机に置き、管理職が直接USBメモリの挿抜を確認

## 頻回の無断欠勤による管理監督責任の怠り(平成29年10月12日)

概要: 課長級職員が、職務と無関係の外出を頻回に繰り返し、計画的な業務遂行に支障を来たした

再発防止策: ①管理職職員の再教育及びリスク事案の組織内共有の徹底

②出退勤時刻の管理権限を部(室)長級に引き上げ、外出時の上司への連絡・報告を改めて徹底

③全部署を対象に、勤怠管理に関する内部監査を定期的を実施

## 医療機器の承認申請書正本及び添付資料の紛失(平成30年4月17日)

概要: 医療機器の申請書等を厚生労働省に送付するため、文書置き場に置き後日紛失

再発防止策: ①理事長から全役職員に対し、事案及び情報管理の重要性について改めて伝達

②審査業務部内の文書置き場を、同部内の施錠管理された場所に移設

③理事(総合調整担当)を責任者とする、全組織的な文書管理、廃棄等のあり方を見直すためのプロジェクトチームを設置

## 医薬品副作用被害救済制度に基づく医療費の支給誤り(平成30年4月17日)

概要: 医薬品の副作用により健康被害を受けられた方へ支給される医療費の算定誤り

再発防止策: ①理事長から全役職員に対し、事案の内容及び再発防止の徹底を伝達

②健康被害救済部内で定期的に問題点の抽出・改善を図り、職員間のコミュニケーションを活性化

③正しい業務手順を手順書に明記し、異動時における引継ぎを徹底

## 不適切な事務処理等②

※日付は公表日

### 安全性定期報告書の紛失(平成31年2月1日)

概要: 企業から提出された新医薬品の安全性定期報告1冊を紛失

- 再発防止策:
- ①担当役員から全役職員に対し文書の適切な管理を徹底
  - ②職員専用のIDカードがなければ入れない執務室内の施錠管理されたロッカーで保管
  - ③「PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト」で取り組んでいる「文書決裁、管理、保存及び廃棄のあり方の見直し」の取組内容の見直し及び対応強化
  - ④文書管理の徹底を図るため、「文書管理の徹底等について(平成30年5月8日、平成30年8月7日改正)」を策定
  - ⑤決裁、保存及び廃棄のあり方を含め、抜本的な見直しのための検討を行い、「文書管理の徹底等に係る手引(平成31年3月)」を策定し、役職員に周知

### 不適正な兼業を行った職員の懲戒処分(平成31年3月1日)

概要: 国際部門に所属する係長級の職員が就業規則違反の兼業をしていた。

- 再発防止策:
- ①理事長から全役職員に対し、綱紀の粛正、特に兼業制限・利害関係企業等との関係を厳しく律すべきことの徹底を周知
  - ②管理職を対象に臨時の研修を実施(勤務状況に問題のある職員への対処法、経営幹部への早期報告の組織的対応の重要性の徹底)
  - ③PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクトの4チーム<sup>(注)</sup>が連携し、就業上のルールやシステム面での対応に関し、同様の事案の発生防止の観点から対応の検討を開始
  - ④PMDA職員が医薬品開発等のコンサルタント業務に就けないこと及び問題行動があった場合の通報窓口の設置をPMDAホームページ及び関係団体宛に文書により周知

(注)「労務管理関係諸規程の見直し」チーム、「コンプライアンス徹底」チーム、「リスク事案検証・再発防止策策定プロセスの改善」チーム及び「IT統制・効率的なセキュリティ対策の実施」チーム