

概要(実績評価書のポイント)

施策目標 I-7-1

有効性・安全性の高い新医薬品等を迅速に提供できるようにすること

確認すべき主な事項（実績評価書）

測定指標について

1

各測定指標の目標達成状況の判断は適切か。

（注1）当該年度の実績値が集計中の場合は、過年度の実績値の推移や当該年度の実績値の速報値等から合理的に達成状況を判断する。

有効性の評価について

2

目標未達となった指標について、その要因が記載されているか。

3

目標を大幅に超過して達成した指標について、その要因が記載されているか。また、当初設定した目標値は妥当であったか。

4

外部要因等の影響について、適切に分析されているか。

効率性の評価について

5

目標未達となった指標に関連する事業の執行額の推移や実施方法は妥当であったか。

（注2）複数年度にわたり、目標未達が続いている場合には、当該指標に関連する予算額や実施方法に何らかの見直しが必要か。

6

施策目標全体としての執行率が低調な場合には、その理由と改善方策は記載されているか。

7

目標値を達成していることにより、直ちに効率的に施策が実施されているとは言えず、同水準のアウトプット又はアウトカムを達成する上で、効率的な手段で実施されたかについて説明が記載されているか。

現状分析について

8

各測定指標の達成状況、有効性及び効率性の評価の結果を踏まえ、施策目標の進捗状況の評価結果や今後の課題は記載されているか。

次期目標等への反映の方向性（施策及び測定指標の見直し）について

9

目標未達となった指標について、今後の具体的な改善策が記載されているか。

10

過年度の実績値の推移等から、既に役割を終えたと判断される測定指標はあるか。該当がある場合には、新たな測定指標をどうするか。

11

現状分析で記載した課題等に対応して、どのように対応していくのか。また、新たに測定指標等の設定の必要があるか。

12

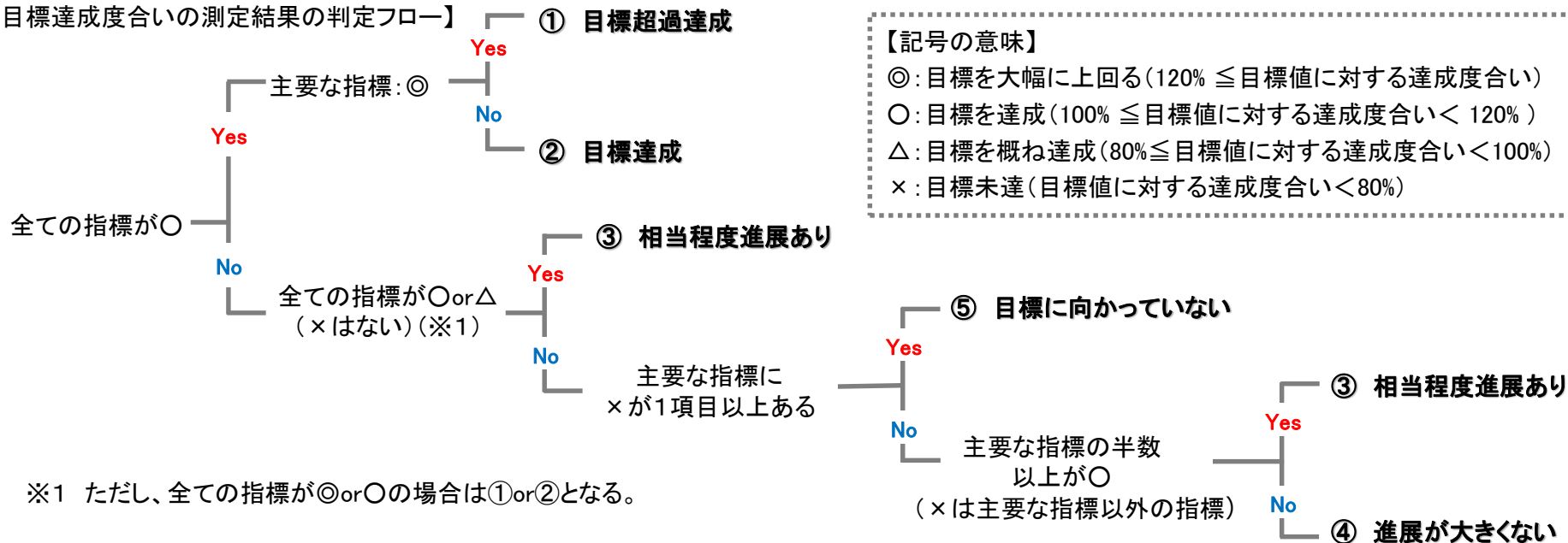
各指標の目標値の設定水準は、同様の考え方や水準を維持してよいか。

厚生労働省における施策目標の評価区分（目標達成度合いの測定結果）

○ 厚生労働省における政策評価実施要領 別紙1-4 実績評価書様式の記載要領

各行政機関共通区分	要件
①目標超過達成	全ての測定指標の達成状況欄が「○」で、かつ主要な指標が目標を大幅に上回るもの
②目標達成	全ての測定指標の達成状況が「○」で、かつ主要な指標が目標を大幅に上回っていないもの
③相当程度進展あり	<ul style="list-style-type: none"> 全ての測定指標の達成状況が「○」又は「△」（①もしくは②に該当する場合を除く）、もしくは、 主要な測定指標以外の一部の測定指標の達成状況が「×」となったが、主要な測定指標の半数以上が「○」で、現行の取組を継続した場合、相当な期間を要せずに目標達成が可能であるもの
④進展が大きくない	主要な測定指標以外の一部の測定指標の達成状況が「×」となり、かつ主要な測定指標の達成状況の「○」が半数未満で、現行の取組を継続した場合、目標達成に相当な期間を要すると考えられるもの
⑤目標に向かっていない	主要な測定指標の達成状況の全部又は一部が「×」となり、施策としても目標達成に向けて進展していたとは認められず、現行の取組を継続しても目標を達成する見込みがないもの

【目標達成度合いの測定結果の判定フロー】



【記号の意味】

- ◎: 目標を大幅に上回る(120% ≤ 目標値に対する達成度合い)
- : 目標を達成(100% ≤ 目標値に対する達成度合い < 120%)
- △: 目標を概ね達成(80% ≤ 目標値に対する達成度合い < 100%)
- ×: 目標未達(目標値に対する達成度合い < 80%)

※1 ただし、全ての指標が◎or○の場合は①or②となる。

厚生労働省における施策目標の評価区分（総合判定）

○ 厚生労働省における政策評価実施要領 別紙1-4 実績評価書様式の記載要領

【総合判定の区分】

総合判定区分		要件
A	目標達成	測定結果が①又は②に区分されるもの
		測定結果が③に区分されるもので、その他外部要因等を加えて総合的に判断し、目標を達成していると判断できるもの
B	達成に向けて進展あり	測定結果が③に区分されるもの（「目標達成」と判定されたものを除く。）
		測定結果が④に区分されるもの
C	達成に向けて進展がない	測定結果が⑤に区分されるもの

（参考1）主要な指標の選定要件

- 達成目標ごとに1つ以上主要な指標を選定しなければならない。
- 主要な指標の選定基準は、以下のいずれかに当てはまると料される指標から選定する。
 - ① 当該指標の達成に向けて、多くの予算・人員等が投入されているもの
 - ② 当該指標について、国民の関心が高く行政上も課題となったもの
 - ③ その他、目標達成に向けて重要性が高いと判断するもの

（参考2）参考指標

- 当該施策目標の実績評価に当たって、達成すべき水準（目標値）を定める測定指標としては適さないが、施策の実施状況や、施策を取り巻く状況の変化を把握するために有益であると思われる指標。

（参考3）有効性の評価、効率性の評価、現状分析

有効性の評価

- 目標を達成している場合には、主として施策のどのような点が有効性を高めるのに寄与したのかを分析・説明する。
- 目標を達成できなかった場合には、その理由として以下の①～④等の観点から要因を分析・説明する。
 - ① 目標数値の水準設定の妥当性
 - ② 事前の想定と施策実施時期における客観情勢の乖離
 - ③ 施策の具体的な仕組上の問題点
 - ④ 予算執行面における問題点

効率性の評価

- アウトプットに対してインプットが適切なものになっているか（コストパフォーマンスの観点）の分析。
- 事前に想定した政策効果が得られたとしても、それに要するコスト（予算執行額や要した時間など行政として投入した全ての資源）が課題であれば、効率性は低いと評価され、改善が必要となる。

現状分析

- 有効性の評価及び効率性の評価の結果を踏まえ、施策目標についての総合的な評価や明らかになった課題を記載する。

【概要】令和3年度の実績評価書（施策目標I-7-1）

基本目標I：安心・信頼してかけられる医療の確保と国民の健康づくりを推進すること

施策大目標7：品質・有効性・安全性の高い医薬品・医療機器・再生医療等製品を国民が適切に利用できるようにすること

施策目標1：有効性・安全性の高い新医薬品等を迅速に提供できるようにすること

現状（背景）

1. 医薬品等の審査期間の現状

- ① 新有効成分の審査期間（中央値及び25-75%タイル値）の観点から見た場合、PMDAにおける審査は世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、審査期間の25%タイル値と75%タイル値に大きな差がなく、予見性を持った審査を継続している。
- ② 新たな技術を用いた医薬品等の開発が進む中、引き続き有効性・安全性の高い新医薬品等の迅速な承認審査の堅持と質の向上を図る必要がある。

2. 患者アクセスの迅速化に資する取組

- ① 改正薬機法によりR2年9月から、1)～3)の取組が開始されている。
 - 1) 先駆け審査指定制度の法制化、特定用途医薬品等の優先審査等の法制化
 - 2) 条件付き早期承認制度の法制化
 - 3) 医療機器の特性に応じた承認制度
- ② 先駆け審査指定制度に基づく総審査期間
〔医薬品〕 目標6ヶ月
R元年度：4品目（6.0ヶ月、6.0ヶ月、5.4ヶ月、4.5ヶ月）
R2年度：4品目（6.0ヶ月、5.0ヶ月、11.9ヶ月、5.8ヶ月）

〔医療機器〕 目標6ヶ月
R元年度：2品目（5.1ヶ月、5.1ヶ月）
R2年度：－（承認品目なし）

3. 医薬品等の申請・届出手続のオンライン化

- ① 行政事務の効率化、事業者負担の軽減のため、薬事に関する申請・届出のオンライン化を進めており、届出はR3年7月からオンライン利用を開始、申請はR4年度中の開始を予定。

4. 医薬品等の規制の国際調和の推進

- ① 国・地域を越え世界規模で医薬品等の開発・製造・流通が行われる中で、医薬品等への迅速なアクセスを可能にするため、薬事規制の国際調和を推進している。

課題 1

- ① 引き続き有効性・安全性の高い新医薬品等の迅速な承認審査の堅持と一層の質の向上
- ② 改正薬機法に基づき法制化された仕組みなど、審査迅速に向けた対応を強化し、必要な医薬品等への患者アクセスの一層の迅速化を図る
- ③ 薬事に関する申請・届出手続きのオンライン化
- ④ プログラム医療機器の早期実用化（いわゆる「SaMDラグ」の解消）

達成目標1

審査業務の迅速かつ適切な実施

【測定指標】太字・下線が主要な指標

- 1 新医薬品（優先審査品目）の総審査期間（タイル値）（アウトカム）
- 2 新医薬品（通常審査品目）の総審査期間（タイル値）（アウトカム）**
- 3 新医療機器（優先審査品目）の総審査期間（タイル値）（アウトカム）
- 4 新医療機器（通常審査品目）総審査期間（タイル値）（アウトカム）**

- 5 条件付き承認品目該当性相談（医薬品）に関する相談のうち、相談資料提出から評価結果報告書確定までが40勤務日以内の割合（アウトカム）
- 6 オンラインによる届出件数割合（アウトプット）

【参考指標】

- 7・8 先駆け審査指定制度 指定医薬品品目数／指定医療機器品目数

【概要】令和3年度の実績評価書（施策目標I-7-1）

総合判定

赤字は主要な指標

【指標1】新医薬品（優先審査品目）の総審査期間（アウトカム）	目標達成率118% ⇒「○」
【指標2】新医薬品（通常審査品目）の総審査期間（アウトカム）	目標達成率121% ⇒「◎」
【指標3】新医療機器（優先審査品目）の総審査期間（アウトカム）	目標達成率125% ⇒「◎」
【指標4】新医療機器（通常審査品目）の総審査期間（アウトカム）	目標達成率121% ⇒「◎」
【指標5】条件付承認品目該当性相談に関し、申込み全件への対応、相談資料提出から評価結果報告書の確定までが40勤務日以内の割合（アウトカム）	申込がなかったため実績値なし ⇒「－」
【指標6】オンラインによる届出割合（アウトプット）	目標達成率40% ⇒「×」

【目標達成度合いの測定結果】 【総合判定】
③（相当程度進展あり） A（目標達成）

（判定理由）

- ・ 主要な指標を含む指標1～4は目標を大きく超えて達成している。
- ・ 一方、指標6は「×」だが、これは事業者側の外部要因である。
- ・ 上記を総合的に判断した結果、A（目標達成）と判断した。

施策の分析（有効性の評価）

【医薬品等の審査業務の迅速かつ的確な実施】

- 新型コロナウイルス感染症の影響を受ける中、審査・調査業務の一部をリモートで行うなど柔軟に対応し、指標1～4は目標達成。安定的に承認時期の予見可能性を高めることに寄与。

【先駆的医薬品等指定制度や条件付早期承認制度】

- R3年度は、条件付承認品目該当性の相談申込みがなされなかったため、実績値なし。
- 先駆け総合評価相談は、申込み全件に対応（医薬品：4件、医療機器：3件、再生医療等製品：4件）

【医薬品等の申請・届出手続きのオンライン化】

- オンラインによる届出割合（指標6）は目標未達だが、月単位では、届出手続きのオンライン化を開始したR3年7月の2%からR4年3月の13%と上昇しており、オンライン化推進策は有効に機能。

施策の分析（効率性の評価）

【医薬品等の審査業務の迅速かつ的確な実施】

- 医療上のニーズに応じた優先的な資源配分、審査・調査業務の一部リモート化による効率的な審査を実施。

【先駆的医薬品等指定制度や条件付早期承認制度】

- PMDAでは、条件付承認品目該当性の相談だけでなく、多種多様な相談事業を並行して行っており、本件該当性相談がなくても、効率的な資源活用が維持されている。

【医薬品等の申請・届出手続きのオンライン化】

- 開始初年度であり、ユーザー登録等の初期設定の支援に工数が割かれたため、提出された案件に係る運用コストは4千円/件だが、今後、低減見込み。

【執行率の推移】

- 執行率が7～8割程度で推移している。国庫債務負担行為の案件の契約額に合わせた要求額に見直した一方で、新型コロナの影響で国際関係業務をはじめ旅費の執行が困難であったこと等が要因。

施策の分析（現状分析）

【医薬品等の審査業務の迅速かつ的確な実施】

- 新型コロナウイルス感染症医薬品等の特例承認の対応を含め、迅速に審査を実施。継続的に目標値を達成しており、世界トップレベルの審査期間を維持している。
- 審査迅速化のため、PMDAでは申請前からの各種相談にも的確に対応している。
- 今後も現状の審査期間を堅持しつつ、イノベーションに対応した有効性・安全性評価を実施するため、開発段階からの相談対応により申請品目の理解や問題点の把握に努めることやレギュラトリーサイエンスの推進により、審査の質の向上を図る必要がある。

【医薬品等の申請・届出手続きのオンライン化】

- 開始初年度につき事業者側の準備が整わず目標未達となった。今後は、ヘルプデスクの拡充や積極的な広報活動により改善を図る。

次期目標等への反映の方向性（施策及び測定指標の見直しについて）

- 新医薬品等の総審査期間は、引き続き、世界トップレベルの迅速な承認審査を堅持するとともに、一層の質の向上を図る。
- RS戦略相談等により、開発段階での治験相談において、最先端の科学的知見に基づく的確な助言を行う。
- 薬機法等改正法による、緊急時の薬事承認の制度を円滑に実施していく。

【参考】 1. 医薬品等の審査期間の現状
 審査期間の目標の達成 (第四期中期計画(2019-2023)) (施策目標 I-7-1)

新薬(優先品目)		(参考) 2018年度	2019年度 (H31/R1)	2020年度 (R2)	2021年度 (R3)	2022年度 (R4)	2023年度 (R5)
目標	タイル値	80%	80%	80%	80%	80%	80%
	総審査期間	9ヶ月	9ヶ月	9ヶ月	9ヶ月	9ヶ月	9ヶ月
実績	総審査期間	8.6ヶ月	8.7ヶ月	9.0ヶ月	8.5ヶ月		
	件数	47	40	39	56		

新薬(通常品目)		(参考) 2018年度	2019年度 (H31/R1)	2020年度 (R2)	2021年度 (R3)	2022年度 (R4)	2023年度 (R5)
目標	タイル値	80%	80%	80%	80%	80%	80%
	総審査期間	12ヶ月	12ヶ月	12ヶ月	12ヶ月	12ヶ月	12ヶ月
実績	総審査期間	11.9ヶ月	11.8ヶ月	11.9ヶ月	11.7ヶ月		
	件数	66	86	84	88		

【参考】 1. 医薬品等の審査期間の現状
 審査期間の目標の達成 (第四期中期計画(2019-2023)) (施策目標 I-7-1)

新医療機器 (優先品目)		(参考) 2018年度	2019年度 (H31/R1)	2020年度 (R2)	2021年度 (R3)	2022年度 (R4)	2023年度 (R5)
目標	マイル値	80%	80%	80%	80%	80%	80%
	総審査期間	10ヶ月	10ヶ月	10ヶ月	10ヶ月	10ヶ月	10ヶ月
実績	総審査期間	8.3ヶ月	7.3ヶ月	8.4ヶ月	8.9ヶ月		
	件数	2	3	2	1		

新医療機器 (通常品目)		(参考) 2018年度	2019年度 (H31/R1)	2020年度 (R2)	2021年度 (R3)	2022年度 (R4)	2023年度 (R5)
目標	マイル値	80%	80%	80%	80%	80%	80%
	総審査期間	14ヶ月	14ヶ月	14ヶ月	14ヶ月	14ヶ月	14ヶ月
実績	総審査期間	12ヶ月	11.1ヶ月	10.8ヶ月	11.9ヶ月		
	件数	36	27	19	33		

【参考】 1. 医薬品等の審査期間の現状

ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの試算（施策目標 I-7-1）

○PMDAでは、令和2年度におけるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの実態を把握するため、企業に対しドラッグ・ラグ、デバイス・ラグに関するアンケート調査等を実施した。

○新有効成分含有医薬品のドラッグ・ラグは、審査ラグはほぼ解消されているが、開発ラグが0.5年間生じている。

○新医療機器のデバイス・ラグは、審査ラグは認められないものの、開発ラグが2.3年生じている。

○世界で同時に開発が行われるよう国際共同治験による開発の推進や世界に先駆けての承認を目指し、相談業務の拡充を図る。

【新有効成分含有医薬品】

	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度
開発ラグ	1.0年 (0.9年)	0.2年 (0.3年)	0.7年 (0.7年)	0.5年 (0.4年)	0.5年 (0.5年)
審査ラグ	0年	0.2年	0.2年	0.1年	0.2年
ドラッグ・ラグ	1.0年	0.4年	0.9年	0.6年	0.7年

()の数値は、厚生労働省において開催された「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における検討結果を受けて申請された品目を除いた場合の値を参考までに示したものの。

【新医療機器】

	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度
開発ラグ	1.9年	2.6年	1.4年	0.6年	2.3年
審査ラグ	0年	0年	0年	0年	0年
デバイス・ラグ	1.9年	2.6年	1.4年	0.6年	2.3年

(注) 開発ラグ : 当該年度に国内で新規承認申請された新薬について、米国における申請時期との差の中央値
 審査ラグ : 当該年度(米国は暦年)における日米間の新薬の新規承認された総審査期間(中央値)の差
 FDAのNew Molecular Entity (NME) Drug and New Biologic Approvalsに掲載されている品目から総審査期間(中央値)を算出した値を使用
 ドラッグ・ラグ : 開発ラグと審査ラグの和

【参考】2. 患者アクセスの迅速化に資する取組 医薬品の条件付き承認制度について（施策目標 I-7-1）

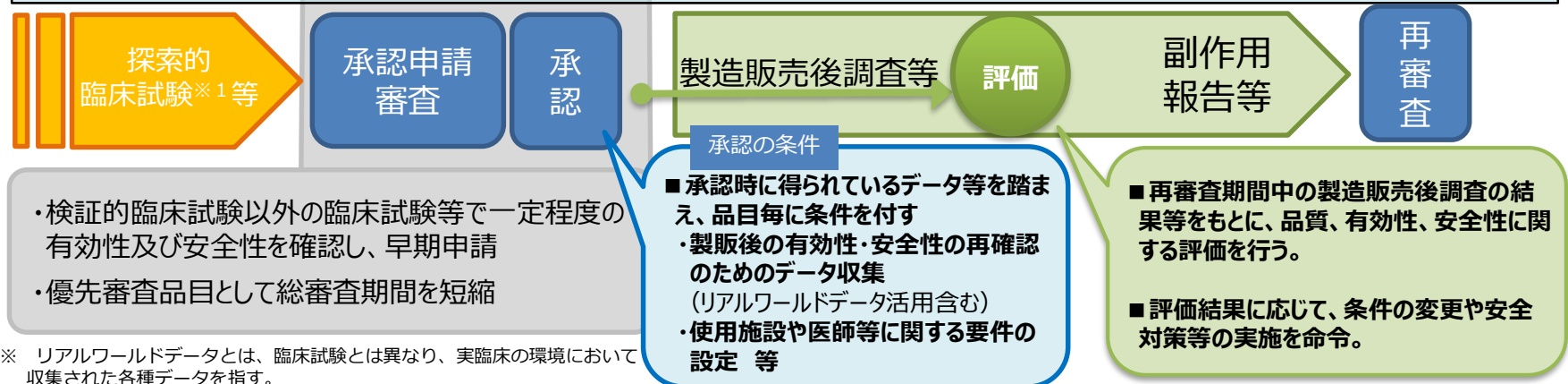
- 重篤で有効な治療方法に乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認時に条件として付すことにより、医療上特に必要性が高い医薬品への速やかな患者アクセスの確保を図る。
- あわせて、条件を付した製造販売後調査等の結果が得られた時点で速やかに評価し、安全対策等に反映させる仕組みを導入。

通常の承認審査



- ※ 1 少数の患者に医薬品を投与・使用し、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・使用し、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

条件付き承認制度



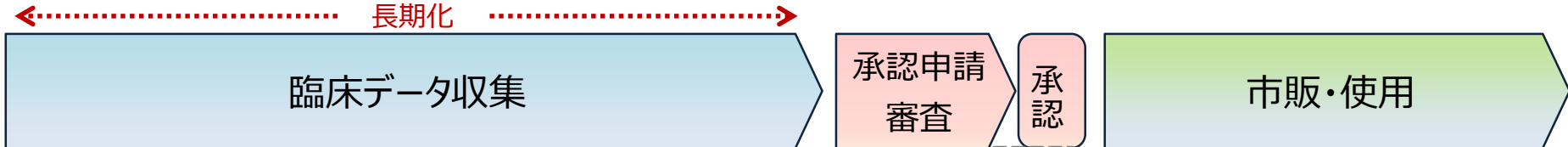
- ※ リアルワールドデータとは、臨床試験とは異なり、実臨床の環境において収集された各種データを指す。

【参考】2. 患者アクセスの迅速化に資する取組 医療機器の条件付き承認制度について①（施策目標 I-7-1）

当該制度の主旨

- 重篤で有効な治療方法に乏しい疾患の医療機器で、評価のための一定の臨床データはあるが患者数が少ない等の理由で新たな臨床試験の実施が困難なものについて、関連学会と連携して製造販売後のリスク管理措置を実施すること等を承認時に条件として付すことにより、医療上特に必要性が高い医療機器への速やかな患者アクセスの確保を図る。

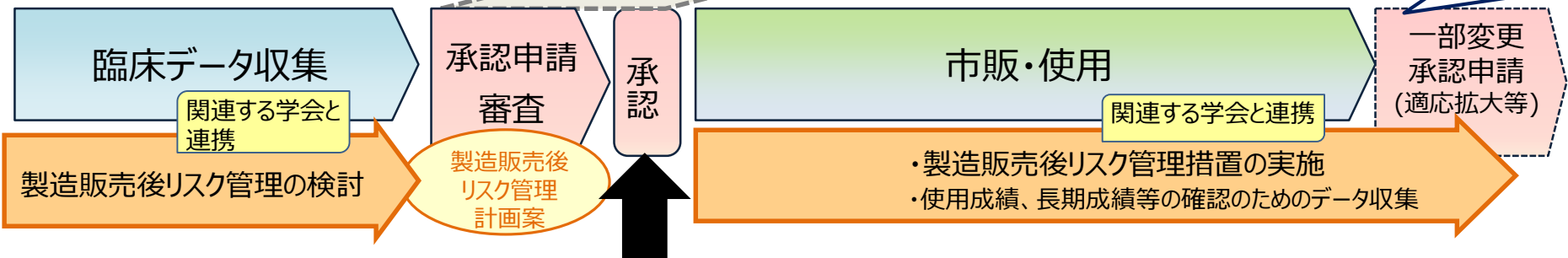
通常の承認審査 患者数が少ないなどの場合、臨床試験の実施が難しく、臨床開発が長期化



条件付き早期承認制度

製造販売後のリスク管理を条件に、新たな治験を実施することなく早期の承認申請を認める

原理上期待された長期有用性等が明らかになった場合など



- * 申請段階で、関連する学会と連携の上で、**製造販売後のリスク管理**（適正使用基準（実施医、実施施設等の要件等）の実施、市販後のデータ収集・評価等）を計画し、「**製造販売後リスク管理計画案**」として申請資料に添付
- * 製造販売後リスク管理措置を適切に実施することを条件として、新たな治験を実施することなく、当該医療機器の**安全性、有効性等を確認し**、承認

【参考】2. 患者アクセスの迅速化に資する取組 医療機器の条件付き承認制度について②（施策目標 I-7-1） （機器の機能に着目した他臓器・部位への適応追加の場合）

機能から他領域に応用が検討される機器

- 焼灼、遮蔽等の身体に物理的影響を与えることを目的。
- 特定の疾病領域にかかる臨床データ等があり、他領域にも外挿可能。
- 関連学会と連携して適正使用基準の作成および市販後計画等の提示が可能。

（例）アブレーション向け循環器用カテーテル

【製品概要】

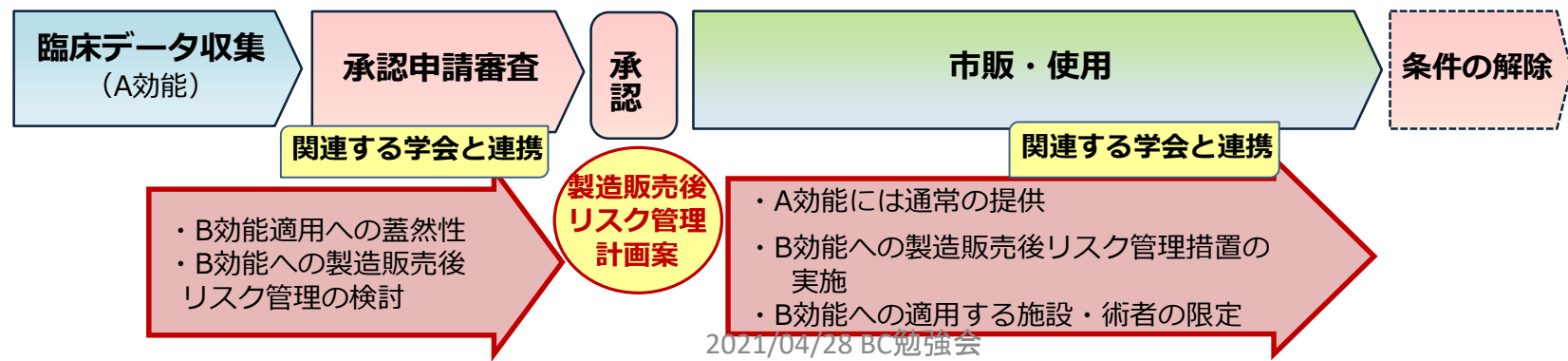
高周波電流による心筋焼灼術を実施する際に使用する心筋焼灼用のカテーテル

【初回適応範囲】 持続性又は再発性 I 型心房粗動の治療（平成29年 3月承認）

【追加適応範囲】 薬剤抵抗性を有する再発性症候性の発作性心房細動の治療（平成30年 1月承認）

【追加の治験実施期間】 平成24年～平成29年

- 施設や術者等の限定や市販後安全対策の充実強化により、機器のもつ機能に着目した他臓器や部位への迅速な適用追加を実現



【参考】2. 患者アクセスの迅速化に資する取組 先駆的医薬品について（施策目標 I-7-1）



「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」 令和2年8月31日付け薬生薬審発第6号

指定基準

- 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. 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. 対象疾患に係る極めて高い有効性**：既存の治療法が存在しない、又は既存の治療薬／治療法に比べて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・申請する意思**（同時申請も含む。）

上記4つのすべての要件を満たす場合であっても、過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医薬品として指定された医薬品に対する当該医薬品と同一の作用機序による効能若しくは効果の追加、又は当該医薬品と同一の作用機序を有する医薬品に対する当該作用機序による効能若しくは効果の指定は、原則として行わない。

指定された医薬品の優先的な取扱い等

 : 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〕

- 優先対面助言。随時募集対応とすることで事実上1ヶ月で実施。

②事前評価の充実

- 【実質的な審査の前倒し】
- 事前の相談制度を活用。

③優先審査〔12か月 → 6か月〕

- 審査、QMS/GCTP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。

④審査パートナー制度〔PMDA版コンサルジュ〕

- 専任の担当部長級職員をコンサルジュとして指定。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。

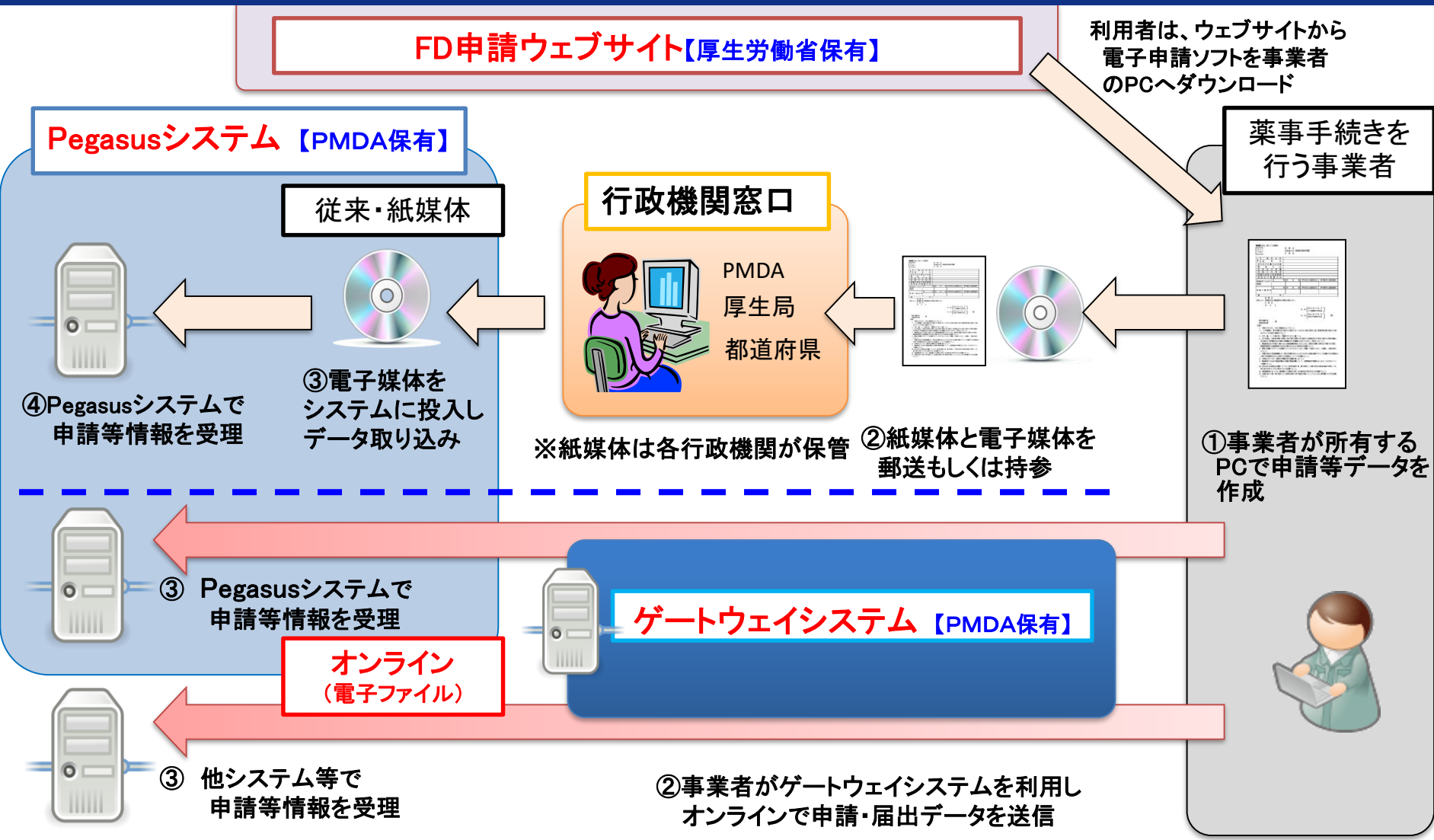
⑤製造販売後の安全対策充実

- 【使用成績評価期間／再審査期間】
- 法律の範囲内で合理的に設定。

指定する品目の募集等

- 期限を決めずに募集を行う。
- 指定は年に2回（概ね4月と10月）。
- ただし保健衛生上必要な場合には、臨時の指定も行う。

【参考】3. 医薬品等の申請・届出のオンライン化 従来の申請・届出とオンライン提出（施策目標 I-7-1）



【各システムの機能説明

- ・FD申請ウェブサイト ⇒ FD申請様式の申請等データの作成支援ソフトを提供
- ・Pegasusシステム ⇒ FD申請様式等の申請等データの受付、保管を行う
- ・ゲートウェイシステム ⇒ FD申請様式等の申請等データをオンラインでPegasusシステムに送信するためのシステム