

PMDAにおける 第5期中期計画の取組

- (1) 第5期の概要 (頁2)
- (2) ドラッグロス対策 (頁3～6)
- (3) 海外事務所 (頁7)
- (4) その他 (頁8、9)



レギュラトリーサイエンスの観点からの実用化推進に対する積極的貢献

- 革新的な医薬品や医療機器等のテクノロジーの発展への適切な対応
- 小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた対応

国際的な貢献・提案能力の強化

- PMDAの業務内容・実績の世界への発信力の強化、米国・アジア拠点の設置を含む戦略的な国際活動の推進

業務の質の向上や一層の効率化

- 科学的エビデンスの充実・強化など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
- パンデミック等の緊急時対応体制の整備
- 患者会との連携による情報提供等の充実などリスクコミュニケーションの強化
- IT化やBPRの推進

ドラッグロス対策について

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

- ◆ **希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応**
⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先も可）
- ◆ **小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応**
⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認
（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ **小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付）**
⇒ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業を開始予定
（相談枠の新設（実施要綱公表済み）／相談手数料の補助）
- ◆ **先駆的医薬品指定制度：総審査期間6か月を目指す**
- ◆ **先駆け総合評価相談：申込み全件対応**
- ◆ **治験エコシステムの早期導入を推進**
⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（事業実施機関を公募中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ **海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施**
- ◆ **PMDAの米国事務所（年内設置予定）を窓口に、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施**
- ◆ **国際共同治験参加に関する治験相談における的確な助言**
⇒ 参加前に日本人第I相試験が必要ない場合を通知で明示

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置（令和6年7月1日付）

- ▶ 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター※

※事務局：審査マネジメント部

小児用医薬品

開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進

希少疾病用医薬品

希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大

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開発公募品

開発の加速化

【相談体制の整備】

小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談（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開発公募品／医師主導治験による開発品）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

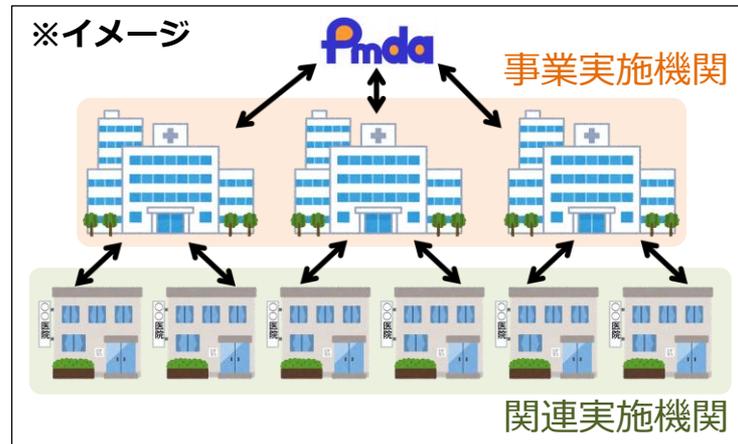
治験エコシステム導入推進事業

<背景>

- ◆ 国内治験を効率的に実施し、国民にいち早く治療薬を届けるため、製薬企業、医療機関、規制当局、被験者等あらゆるステークホルダーが協力して効率的に治験を行うための仕組み **(治験エコシステム) の早期導入が期待されている。**
- ◆ 本事業では、国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消を進める観点から、PMDA信頼性保証部と事業実施機関が連携し、医療機関における負担の実態調査及び治験エコシステムの導入を行う。

<事業概要>

- ◆ PMDAが治験環境の改善に積極的に取り組む事業実施機関（3施設程度）を公募・選定
- ◆ 機構は事業実施機関と協力して、医療機関の治験実施体制の現状を把握し、本邦の治験にかかる経費や手続きの負担削減のために優先して改善すべき課題を特定
- ◆ 事業実施機関は複数の治験実施医療機関（20施設程度を想定）を対象に課題に関する実態調査及び意見交換会を行い、内容をPMDAにフィードバック



<スケジュール>

5月下旬：本事業の実施要綱及び公募要領の公告
（5月29日：医療機関に対する本事業の説明会）
5月24日～7月17日：公募
～8月下旬：事業実施機関の選定

8月下旬：結果通知・契約締結
9月～：事業実施機関での事業開始
令和7年3月：成果物の発表

日本の薬事制度等に関する海外での情報発信強化

第5期中期計画において、実用化推進に対する積極的貢献、
国際的な提案能力の強化、業務の質の向上と一層の効率化を規定
⇒ドラッグロス解消のため、海外の革新的製品を開発するベンチャー企業等に対し、
日本での開発も検討できるよう、日本の薬事制度等に関する情報を直接発信

キーマッセージ

- ① 世界最速レベルの速さと、高い質の審査
- ② 国際共同開発の促進への取組
(国際共同治験参加の際に日本人 P 1 試験原則不要を明確化したこと等)
- ③ 日本で開発を行う際の支援
(開発早期から承認後まで科学的な相談を実施、国際的に規制調和が行われていること等)

最近（令和6年度上半期）の取組（理事長自ら発信）

American Society of Clinical Oncology (ASCO、米国臨床腫瘍学会) にて、パネルディスカッションに参加	シカゴ (米国)
BIO International Conventionにて、パネルディスカッションに参加及び講演	サンディエゴ (米国)
Welcome Trust Regulatory Science of Antimicrobial Agents Workshopに参加	シンガポール (シンガポール)
(予定) DIA 2024 Global Annual Meetingにおけるセッションに参加 (PMDA Town Hallも実施)	サンディエゴ (米国)

※ DIAなどの展示会等において、日本での医薬品等の開発に向けた無料相談を実施

アジア各国・米国との連携強化：海外拠点の整備

第5期中期計画の実施方向性：

- ・「国際的な貢献・提案能力の強化」を進めるにあたり、PMDA海外拠点を整備

[必要性]

(1) アジア各国：

- 日本及びアジア各国における革新的医薬品・医療機器へのアクセス確保に向け、**特にASEAN諸国との連携強化を進める**ことが必要（ASEAN諸国：急速に発展・地域統合に向けた取り組みが進展）。
- **アジア各国と薬事規制調和の推進**、円滑に臨床開発がアジア各国で進められるよう**規制環境の整備支援**が必要。

(2) 米国：

- 革新的な医薬品・医療機器の開発支援・承認審査・市販後対策において、**日米規制当局の緊密な協力・連携**が必要。
- 国際協力の重要性が一層増している中（例：COVID-19等対応）で、**日米が時差がなく、フレキシブルに広範な議論**を進める体制が必要（対面会合の有用性）。

[対応]

アジア事務所・ワシントンD.C.事務所を整備し、相手当局等と、現地で直接協働する。

(1) アジア事務所（場所：タイ・バンコク都 **開所：2024年7月**）

- アジア各国の薬事当局との規制基盤の構築
（現地ニーズの収集・アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター研修の現地実施・二国間規制調和活動の現地実施）
- アジア地域進出企業・団体及び現地企業・団体との薬事規制に関する情報交換・各種相談等
- その他関連業務（関係組織等との連携）

(2) ワシントンD.C.事務所（場所：米国・ワシントンDC **年内設置予定**）

- 在米の個別スタートアップ企業への情報発信・初期の開発相談事業対応（※PMDAアウトリーチ活動を現地で実施）
- FDAを含む米国行政機関と現地での薬事規制協力の強化・規制関連の情報交換

第4期中期目標期間の実績

- FDAに続く世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、審査期間のバラツキが小さく予見性のある審査を継続。

第5期中期目標期間に向けて

<目標値設定の考え方>

- 審査期間の短縮・予見性確保は達成されている状況。
- 第4期中期計画最終年度（R5年度）と同様の迅速な審査・予見性を確保すべく高い目標を堅持することを原則とし、審査の質の一層の向上に注力。

<評価の考え方>

- 審査期間に関する指標を多数設定してきたが、件数が極端に少ないなど、十分な実績の評価が難しいカテゴリーについては、中期計画におけるPMDAの業績評価指標としては位置付けないこととする。
- また、これまでの「目標期間を達成している品目数の割合」をもって評価する方式では、審査目標期間まで余裕のない品目も達成率算定の分子に加えられるため、審査の実情に比して評価が高めに示されている。このため、マイル値品目の審査期間の、目標審査期間に対する比率をもって評価する方式に変更したい。

SaMDに関する相談・審査体制の強化

「プログラム医療機器審査室」を「プログラム医療機器審査部」に改編

早期実用化に向けた体制強化

- 従前の1チームによる相談・審査体制から、部への昇格及び審査員の増員により、疾患領域ごとに2チームの体制に拡充
- 各審査員の専門性をより高めた相談・審査を遂行しつつ、承認審査の考え方やガイドライン等の策定を推進

SaMDに特化した相談枠の新設

- クラス分類や治験実施の該当性について速やかに助言するための相談枠等を新設
- アカデミアやスタートアップ企業が製品開発にかかる相談事業を有効に活用できるよう、1度の相談申込で複数回の相談が実施可能な「サブスクリプション型」相談枠を新設

充実した情報提供

- プログラム医療機器の審査ポイント、認証基準あるいは迅速な審査等に資する通知等の作成・発出により、承認審査や対面助言における具体的事例等を開発者にフィードバック
- PMDAウェブサイト上の「SaMD特設ページ」における情報提供をさらに充実

プログラム医療機器審査部

チーム1

担当領域

- ・ウェアラブルデバイス用アプリ
- ・がんゲノム医療支援プログラム
- ・放射線治療計画プログラム
- ・AI画像診断プログラム 等

チーム2

担当領域

- ・精神疾患系アプリ(行動変容系)
- ・神経心理検査プログラム
- ・内視鏡画像診断プログラム
- ・医薬品投与制御プログラム 等