

- 法人の業務概要
- 平成29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)
見込評価説明 補足資料



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）の概要

1. 設立: 平成16年4月1日
2. 独立行政法人の分類: 中期目標管理法人
中期目標期間: 5年間
(第3期: 平成26年4月1日～平成31年3月31日)

3. 機構の目的

許可医薬品等の副作用又は許可生物由来製品等を介した感染等による健康被害の迅速な救済を図り、並びに医薬品等の品質、有効性及び安全性の向上に資する審査等の業務を行い、もって国民保健の向上に資することを目的とする。

4. 機構の3大業務

○医薬品等の副作用・感染による健康被害の救済

- ・ 医療費、障害年金、遺族一時金等の支給
- ・ スモン患者、血液製剤によるHIV感染者等への健康管理手当等の支給
- ・ 特定C型肝炎感染被害者への給付金の支給

○医薬品・医療機器等の有効性・安全性・品質の審査・調査

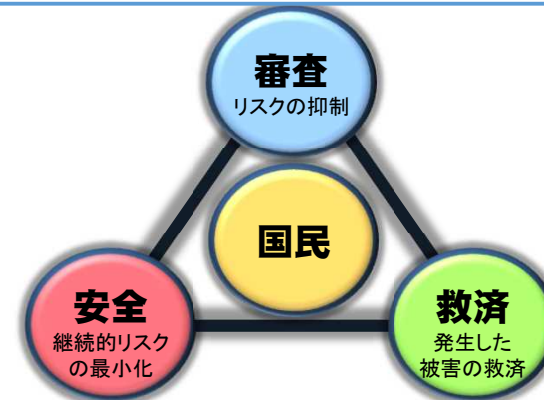
- ・ 治験相談・申請相談。薬事戦略相談
- ・ 有効性・安全性・品質の審査
- ・ 承認申請の信頼性調査

○医薬品・医療機器等の安全対策

- ・ 安全性情報の一元的収集(データベース)
- ・ 安全性情報の科学的評価分析、調査検討
- ・ 情報の提供・消費者くすり相談

5. 常勤役職員数(平成30年4月1日現在)
役員数: 6人(うち非常勤監事1人)
職員数: 915人

PMDAの果たす3つの役割 (セイフティ・トライアングル)



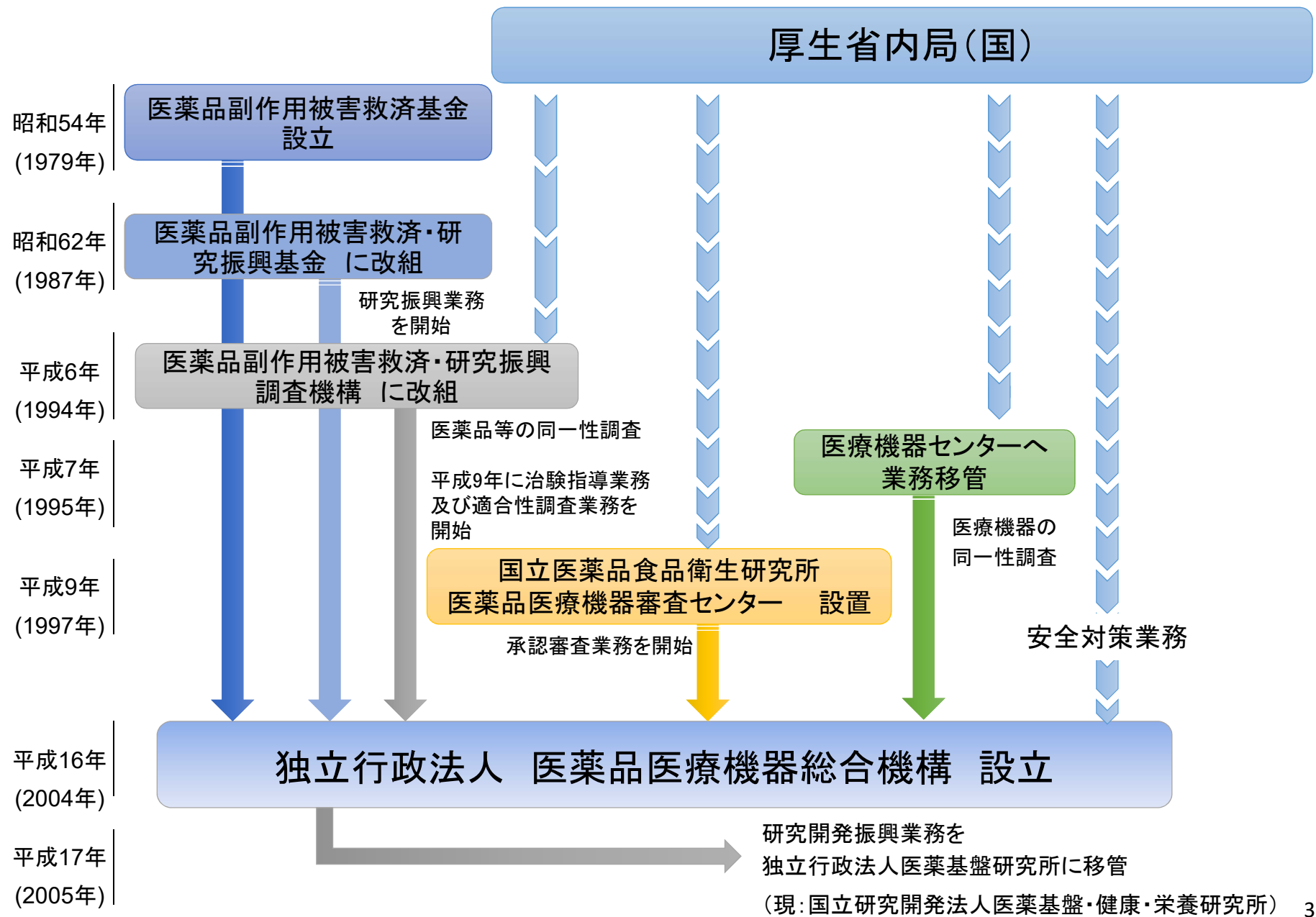
3つの役割を一体として行う**世界で唯一の公的機関**として、**レギュラトリーサイエンス**に基づき、より安全でより品質のよい製品をより早く医療現場に届け、**医療水準の向上に貢献**する

PMDAの理念

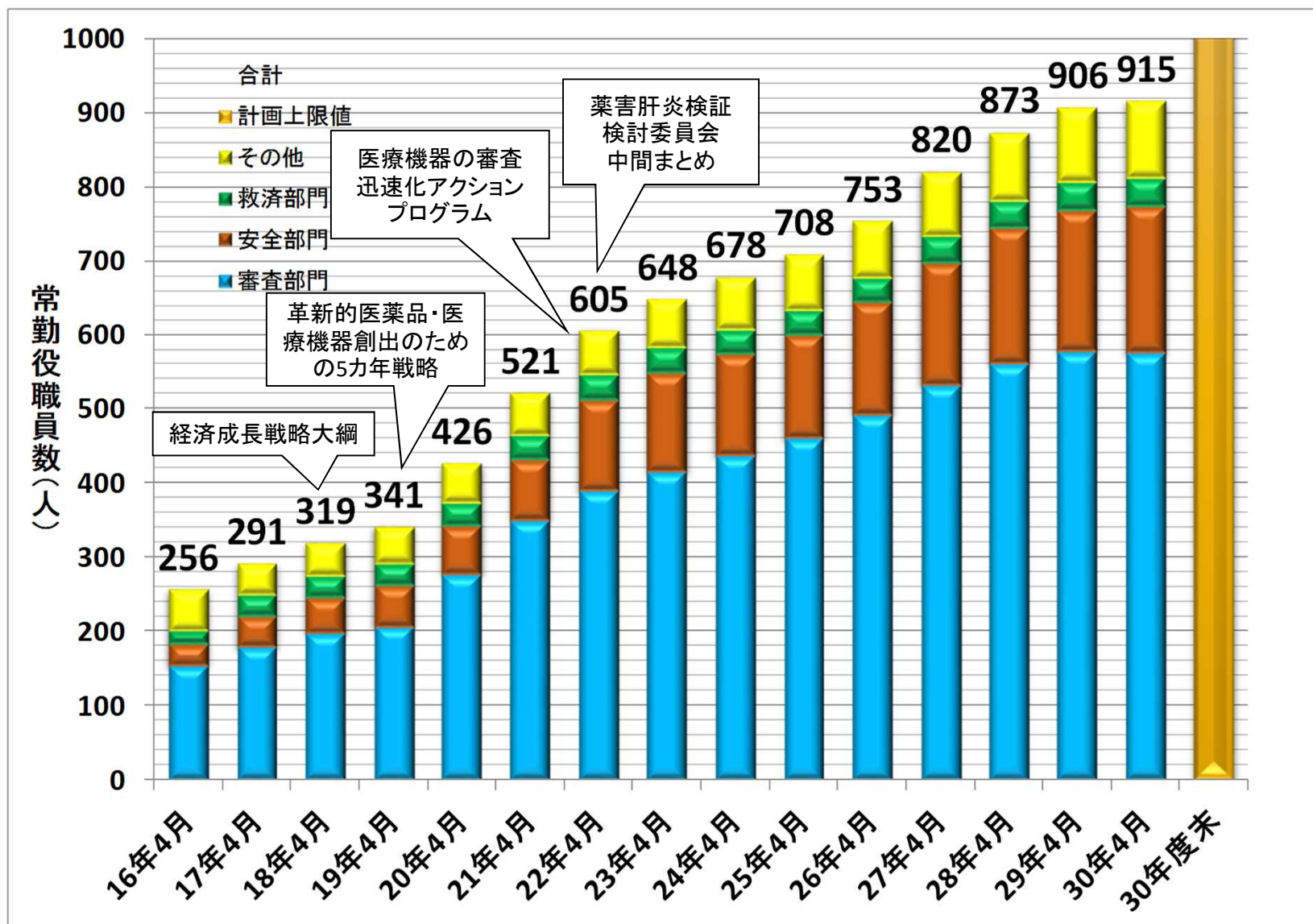
わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- ① 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- ① より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- ① 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点での確な判断を行います。
- ① 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- ① 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

組織の変遷



PMDAの人員体制の推移



1－1 救済制度の情報提供、相談体制の充実

救済制度の広報活動の取組

積極的な広報活動の実施

- オリジナルキャラクター「ドクトルQ」を使用した特設WEBサイトの運用
- 学会及び各種研修会等において救済制度に関し説明、講演 等
- 医療関係団体、行政機関等に対して制度広報への協力を依頼
- 全国33局のテレビCMの放映、ラジオCMの放送、薬局及び院内ビジョンを活用したCM放映、WEB広告やポスター・リーフレット配布等による全国向け広報を展開



<テレビCMの放映>



<院内・薬局ビジョン>



<新聞広告>

給付事例等の公表

- 支給・不支給事例(医薬品販売名、副作用名称等、不支給理由等)、医療関係者向けの広報冊子、業務実績や各種統計資料等のHPへの掲載
- ホームページ掲載時にあわせて「PMDAメディナビ」からも情報発信

平成29年度 集中的広報期間の取組

(集中的広報期間：10月17日～23日の「薬と健康の週間」を中心に10月から12月まで)

<主な取組>

※下線部分は新規で展開したもの

○ テレビCM(15秒:10/14～27の2週間)

- すべての民放系列を活用し、全国33局で放映
(日本テレビ系列、TBS系列、フジテレビ系列、テレビ朝日系列、テレビ東京系列)
- さらに、全国30局において「30～60秒のパブリシティ」を展開
- 人口当たりの請求件数が少ない地域はCM投下量を増加し認知向上を図る
- 救済制度特設サイトにおけるCM動画の視聴

○ 新聞広告(10/17日朝刊、半5段1/2モノクロ)

- 全国紙(読売、朝日、毎日、日経、産経)の5紙に掲載

○ WEB広告・・・特設サイトへの誘導

- Yahoo! JAPAN特別企画で救済制度に関する特別記事を掲載(10/17～約1カ月間)
- WEBサイト「オリコンニュース」に救済制度に関するタレントインタビュー記事掲載(10/17～約3カ月間)
- Yahoo! JAPANのトップページにテキスト広告を掲載(10/17～1週間)

○ その他

- 全国のファミリーマートのレジ液晶に広告掲出、店内BGMでCM曲を放送(10/17～1週間)
- 医療機関、薬局でのビジョンによる30秒CM放送(11/1～1ヶ月間)
- 医療関係新聞・専門誌・雑誌への広告掲載 等

- ◇ 医療機関、関係団体、大学等が実施する研修会への講師派遣：87カ所
- ◇ 精神保健指定医研修会での制度説明：東京、大阪、福岡 計11回開催



【救済制度特設サイト】

http://www.pmda.go.jp/kenkouhigai_camp/index.html

<期間中の成果>

- アクセス数 8.1倍(特設サイト) 10月～12月 月平均132,859件 (期間外の月平均16,332件)
- 相談件数 1.1倍 10月～12月 月平均1,537件 (期間外の月平均1,376件)

一般国民及び医療関係者を対象とした医薬品副作用被害救済制度に係る認知度調査 (平成26～29年度の調査結果)

救済制度の認知度を把握するとともに、より効果的な広報を実施することを目的として実施

【一般国民】					【医療関係者】				
○制度の認知率	平成 26年度	平成 27年度	平成 28年度	平成 29年度	○制度の認知率	平成 26年度	平成 27年度	平成 28年度	平成 29年度
調査人数	3,192人	3,160人	3,000人	3,000人	調査人数	3,605人	3,500人	3,500人	2,800人
「知っている＋聞いたことがある」	21.8%	29.6%	29.4%	32.6%	「知っている＋聞いたことがある」 ※括弧内「知っている」のみ	79.9% (53.8%)	79.7% (56.1%)	82.4% (57.9%)	84.5% (62.3%)
○制度の内容理解※ (※上記調査の「知っている」又は「聞いたことがある」と回答した32.6%(978人)が対象)					○制度の内容理解※ (※上記調査の「知っている」又は「聞いたことがある」と回答した84.5%(2,366人)が対象)				
「公的制度である」	54.1%	68.0%	71.3%	70.8%	「公的制度である」	83.8%	83.4%	84.6%	84.8%
「副作用による結構被害について救済給付を行う」	50.5%	64.8%	66.4%	67.5%	「副作用による結構被害について救済給付を行う」	85.1%	84.2%	84.4%	84.8%
○制度の関心度					○制度利用の勧奨率				
「関心がある＋やや関心がある」	79.7%	74.3%	70.4%	68.7%	「勧めたい」	70.5%	57.1%	58.2%	57.5%

医薬品副作用被害救済制度相談窓口の円滑な運営

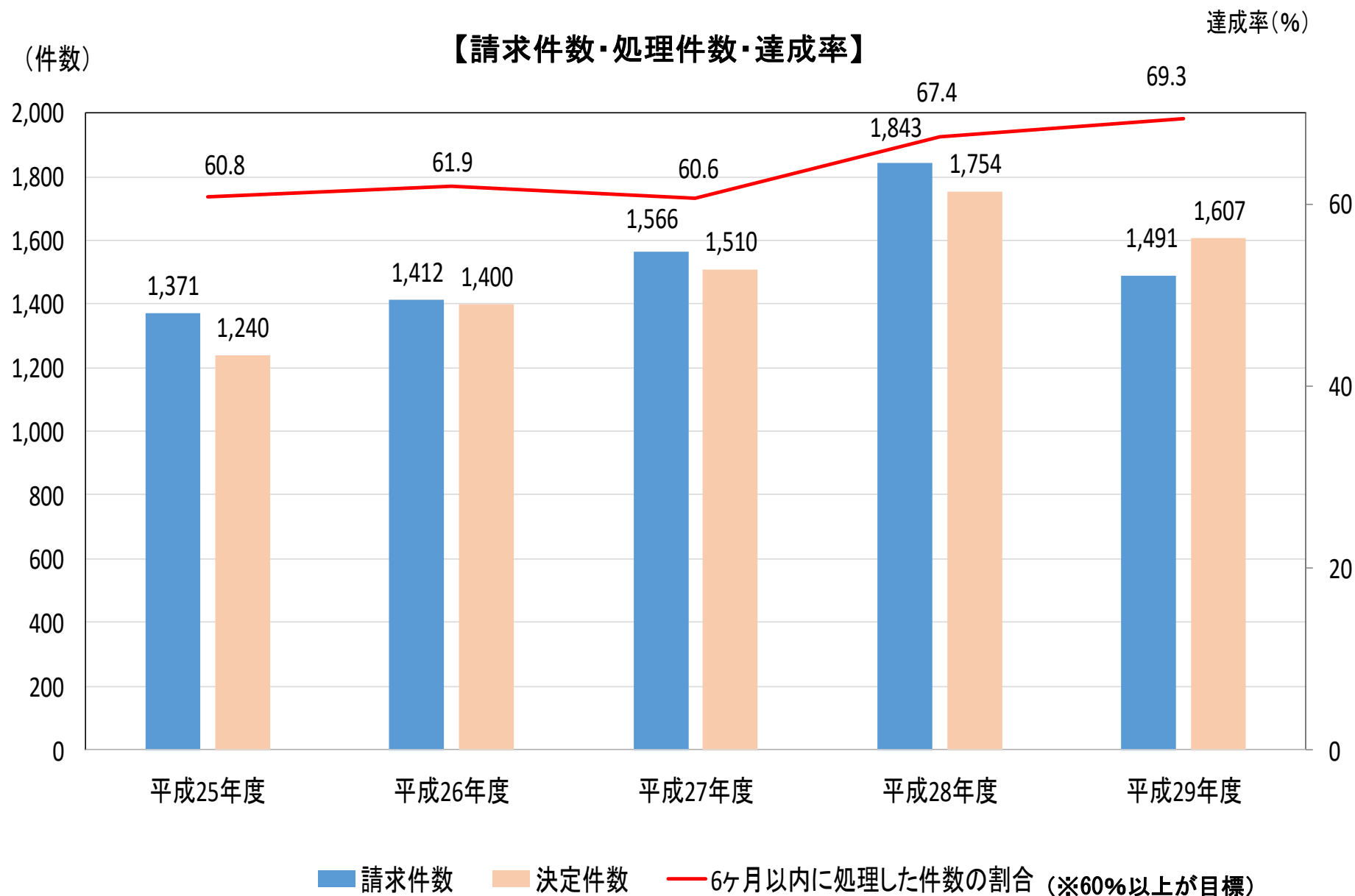
相談窓口に専任の職員を配置し、救済制度のご案内や請求手続きなどについて、フリーダイヤルを活用した相談を引き続き実施。

【相談件数・ホームページアクセス件数・特設サイトアクセス件数】

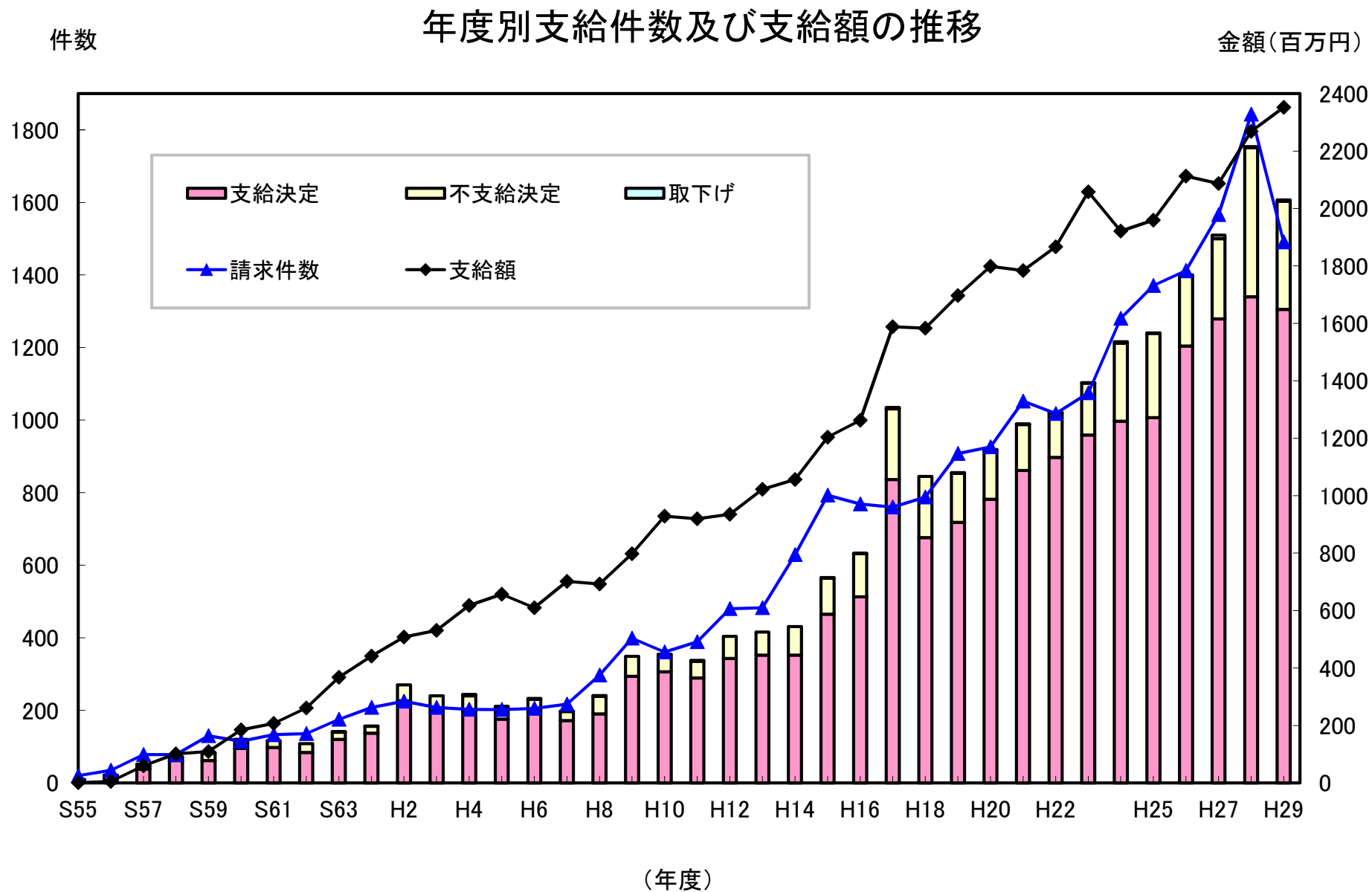
年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度
相談件数	21,843件	21,300件	23,804件	20,931件	16,994件
ホームページ アクセス件数	151,925件	137,359件	160,227件	135,937件	121,095件
特設サイト アクセス件数	69,616件	54,239件	227,608件	280,034件	545,561件

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）



副作用被害救済 給付種類別支給実績

(単位:千円)

種類	平成25年度		平成26年度		平成27年度		平成28年度		平成29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	886	95,025	1,108	123,987	1,146	118,235	1,190	136,997	1,178	118,173
医療手当	945	82,730	1,151	95,457	1,220	112,040	1,269	120,109	1,240	109,652
障害年金	39	905,233	37	943,939	47	1,002,305	53	1,082,599	45	1,156,881
障害児養育年金	3	40,785	2	38,965	8	43,675	6	42,153	4	35,676
遺族年金	31	603,130	31	585,626	23	580,934	31	607,497	36	642,861
遺族一時金	32	220,032	45	310,806	32	218,891	38	263,243	38	272,887
葬祭料	59	12,249	72	14,507	53	10,822	73	14,944	75	15,415
合計	1,995	1,959,184	2,446	2,113,286	2,529	2,086,902	2,660	2,267,542	2,616	2,351,545

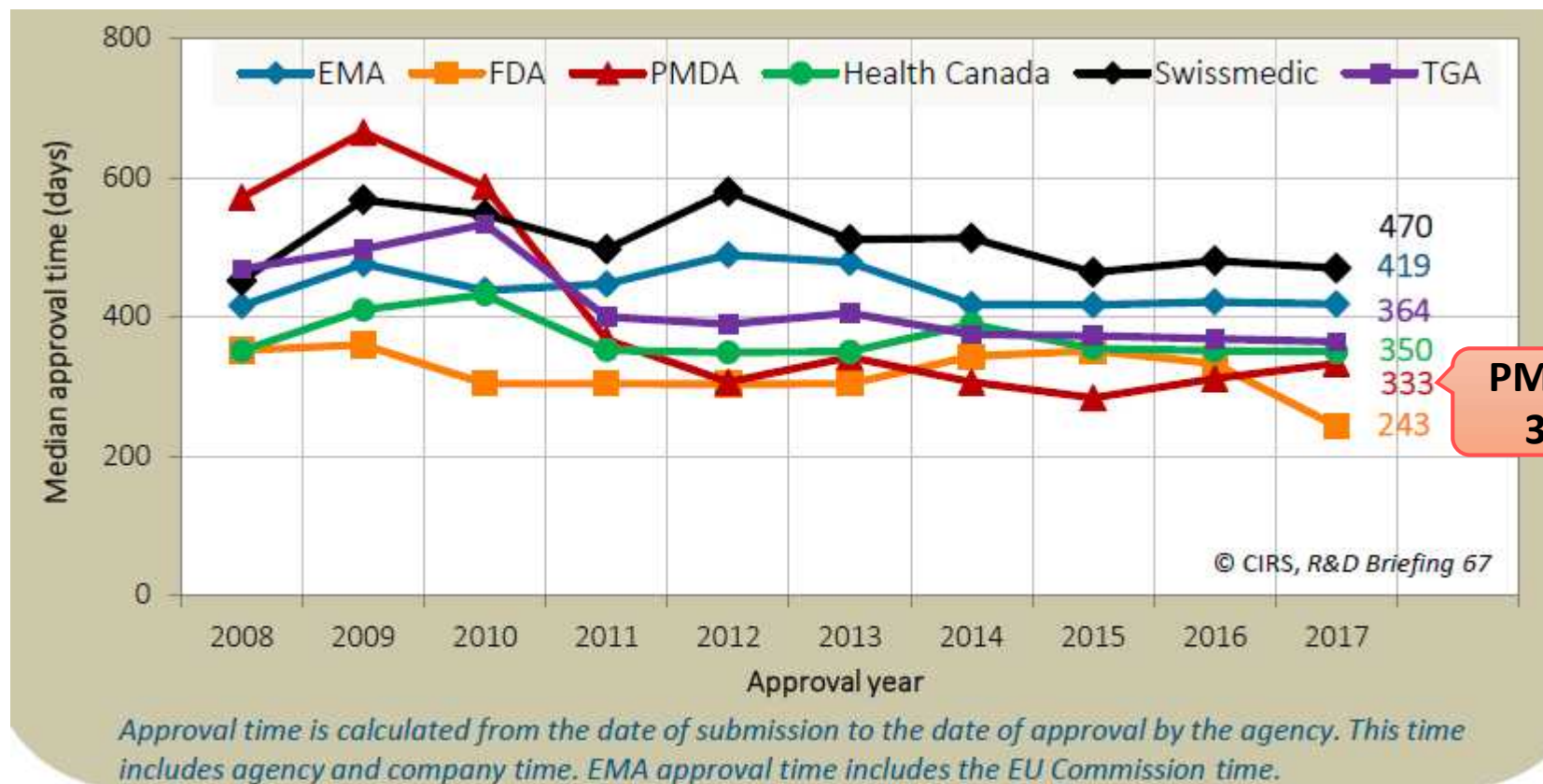
注1: 件数は、当該年度の支給決定件数であり、支給金額は新規及び継続者に対する給付額である。

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。

1－5 業務の迅速な処理及び体制整備（医薬品）

2008-2017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 2008-2017

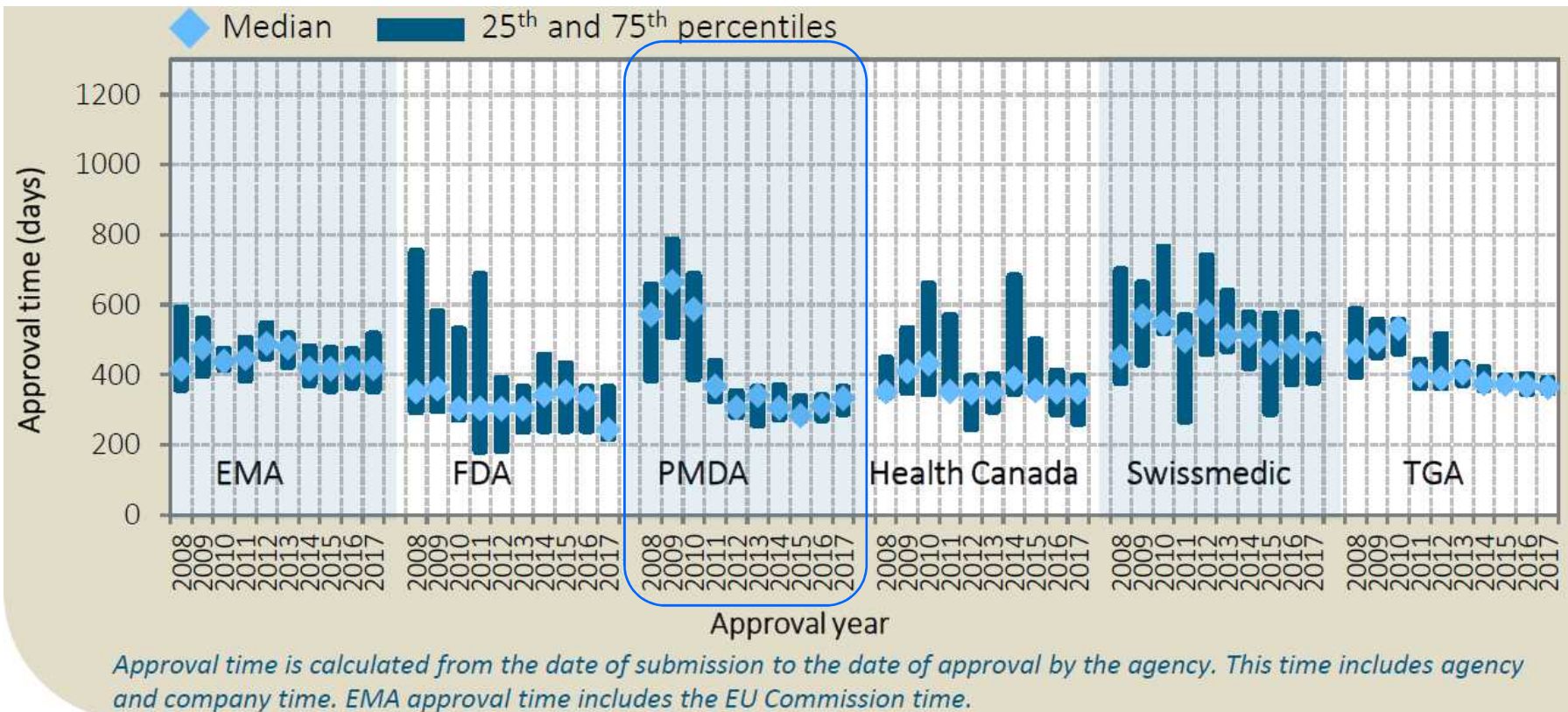


In 2017, FDA approved the highest number of NASs (50), followed by Health Canada (30), EMA (30), Swissmedic (29), TGA (24) and PMDA (22).

**PMDAは2011年から世界最速レベルの審査期間を維持
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。**

2008-2017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 2007-2016



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
今後は、審査の「質」の向上にも注力

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29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 ①（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 (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。

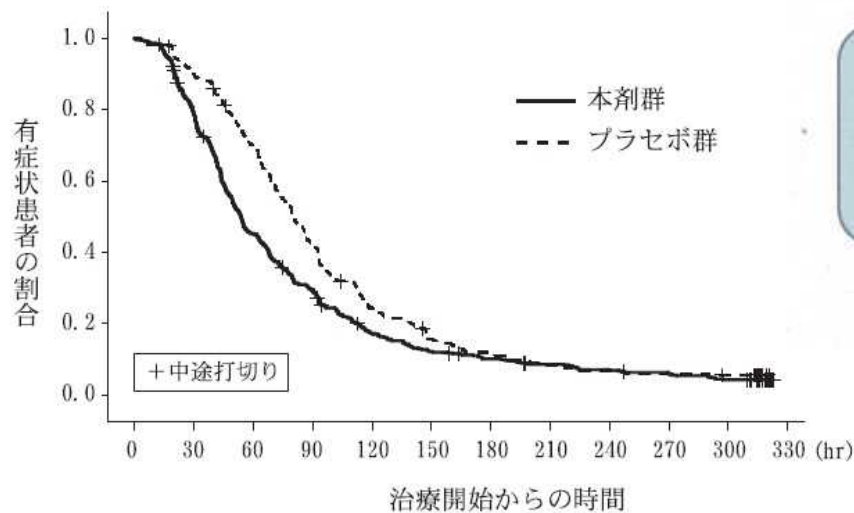


図1 国際共同第Ⅲ相臨床試験でのKaplan-Meier 曲線
ゾフルーザ錠添付文書臨床成績の項から引用

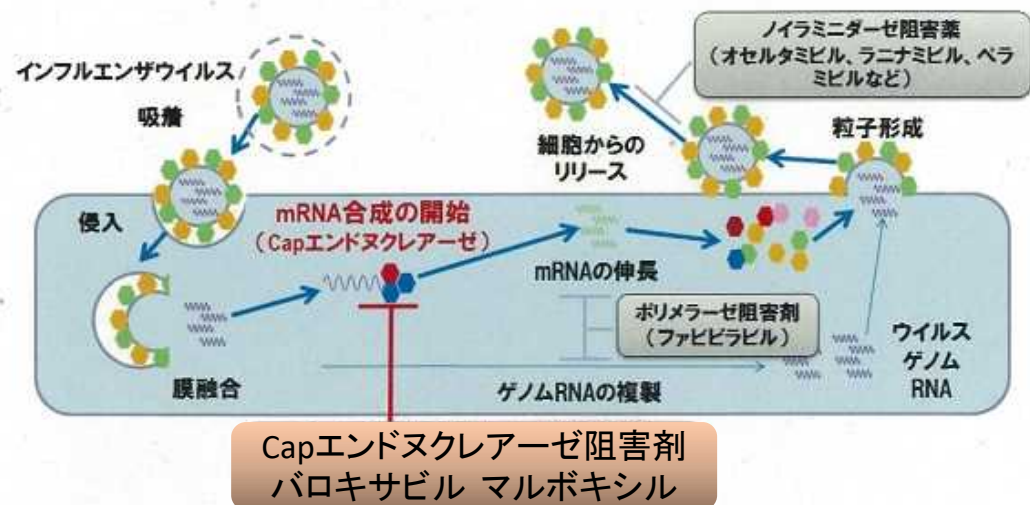


図2 塩野義製薬株式会社プレスリリース資料から引用、一部改変

先駆け審査指定制度 承認品目 ②（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

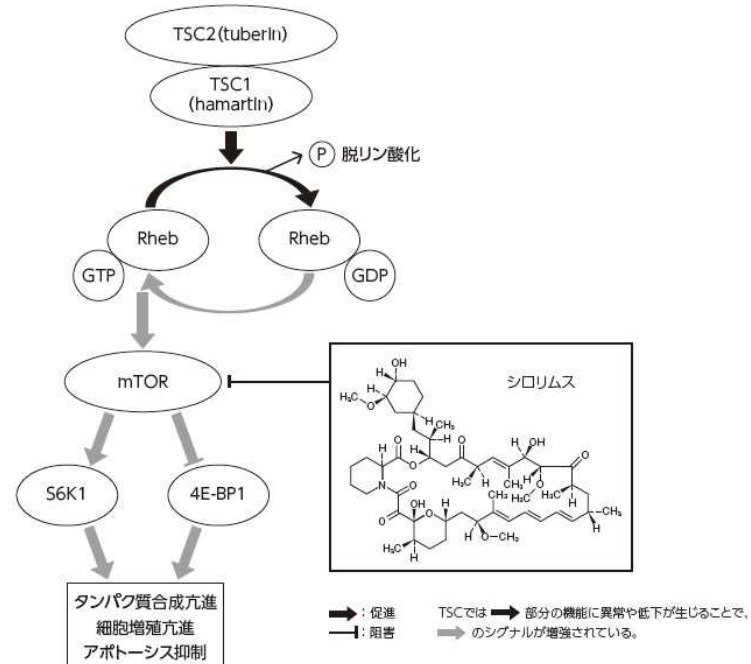
- 大阪大学大学院医学系研究科金田眞理講師らによる厚生労働省及びAMED革新的医療技術創出拠点の支援を受けた研究成果を基にノーベルファーマ株式会社が開発。国内外で結節性硬化症に伴う皮膚病変の適応を有する薬剤はなかった。

＜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2 シロリムスの作用部位



申請電子データ提出の実績と利用例

試験データ提出品目数

31

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(想定)



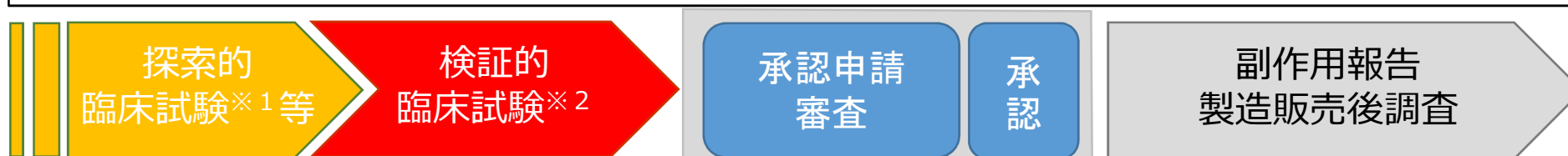
- 焦点を絞った明確な照会事項を送付できる。
- 申請者及び専門委員とのよりスムーズなやりとりにつながる。

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。

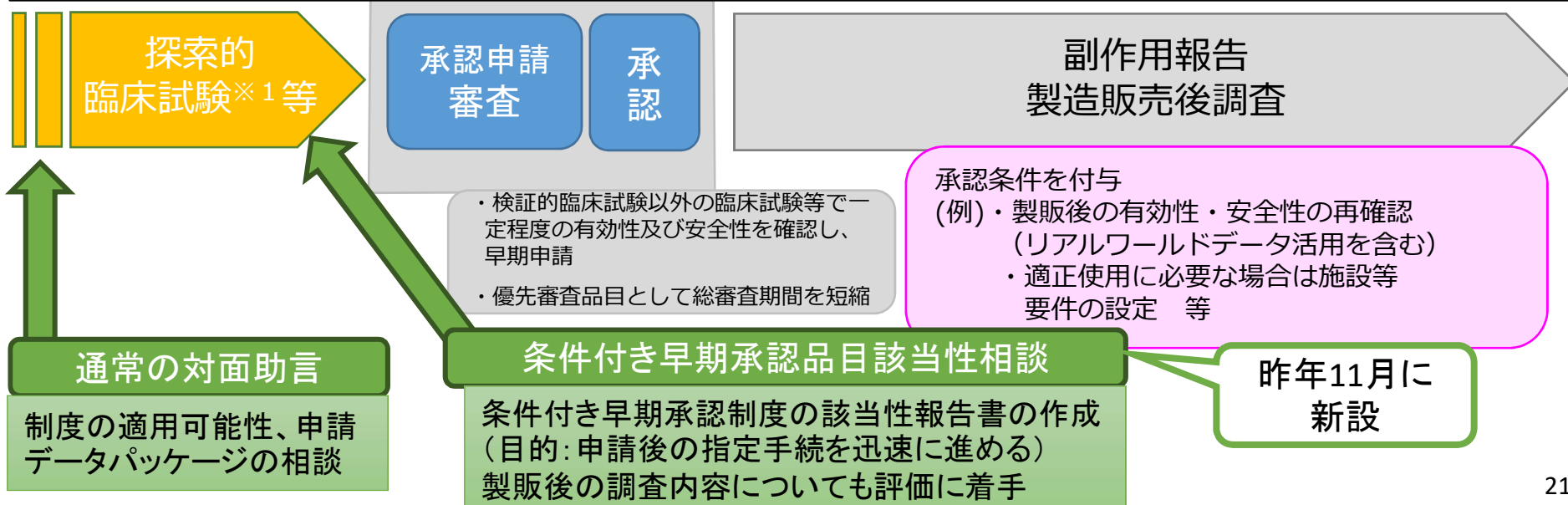
通常の承認審査



※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



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 ③（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。 <u>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。</u>

- 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)。

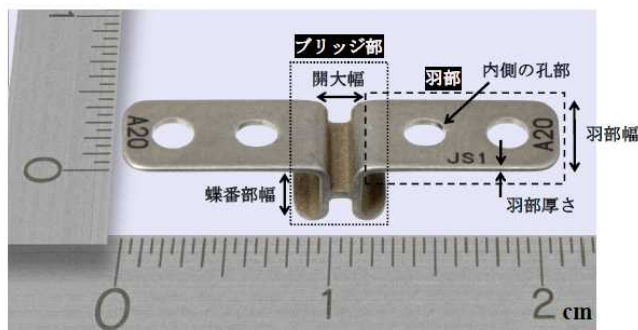
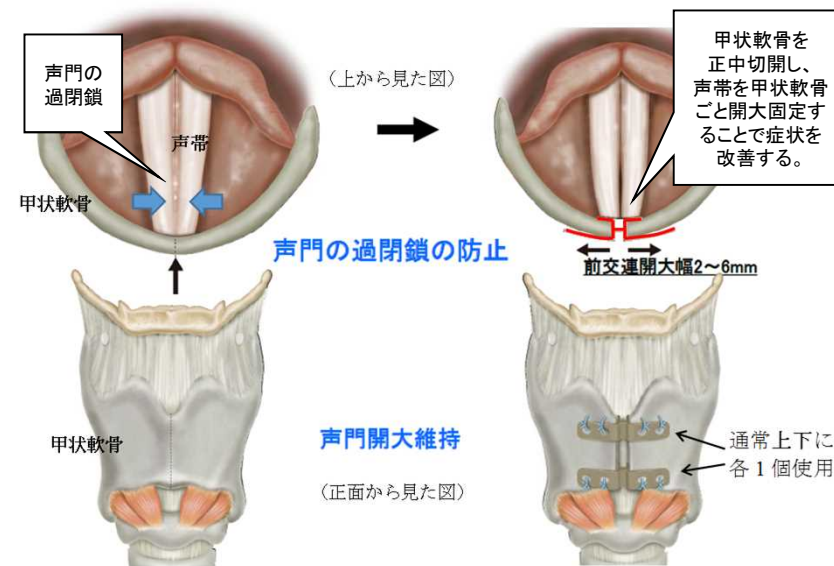


図1 チタンブリッジの外観(蝶番型ブリッジ構造)



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

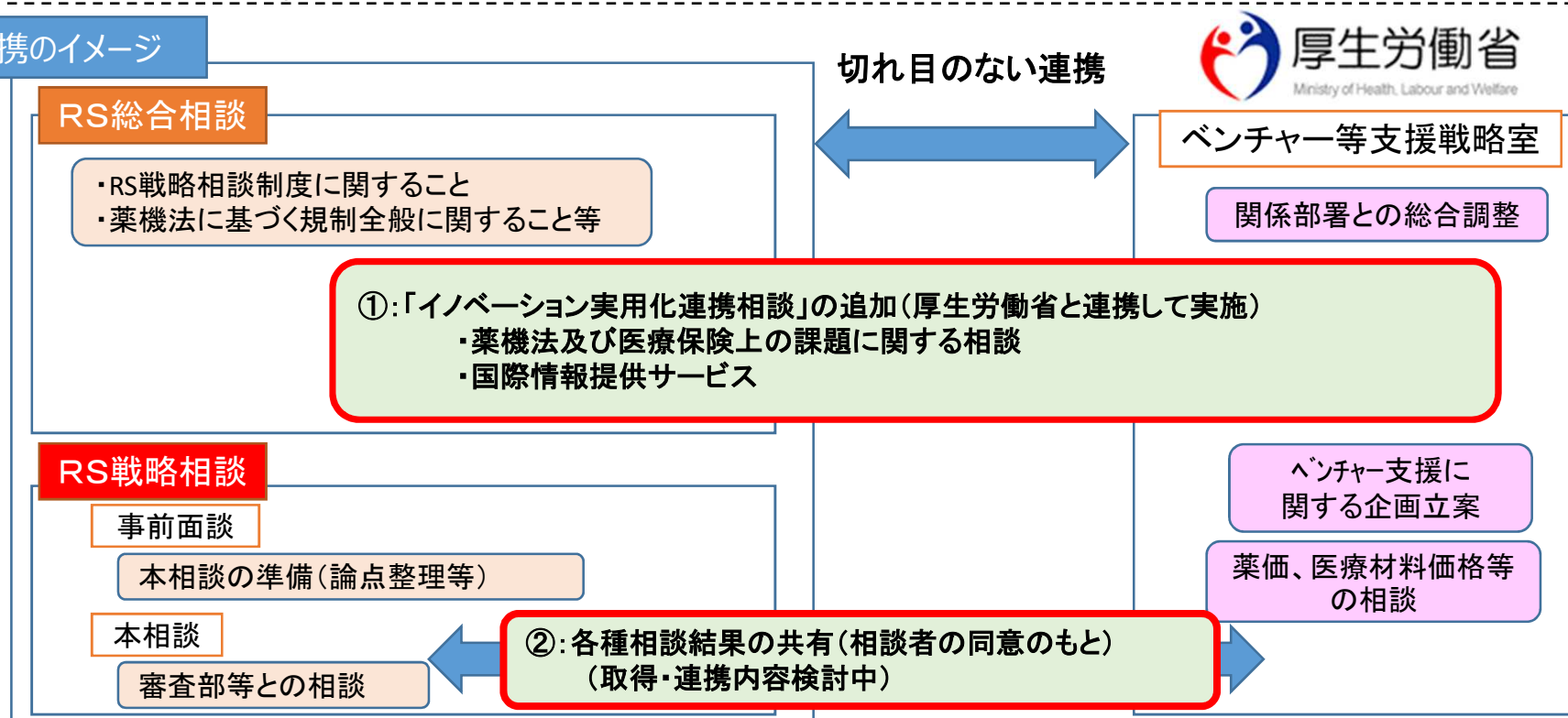
1－7 世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器・ 再生医療等製品の実用化促進のための支援

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。（取得・連携内容検討中）

2.連携のイメージ



科学委員会の議論の取りまとめ報告書

第3期(H28.4～H30.3)

第3期科学委員会においては、平成29年度に以下の3報が取りまとめられた。

PMDAホームページ掲載状況は、②は公開済み、その他は学術雑誌の査読等の状況を踏まえ掲載準備中、英語版は全て掲載準備中(平成30年3月末時点)。

①「希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言2017 ーアカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点からー」

(概要) 希少がんの創薬と臨床試験を実施するための環境整備及び臨床試験の実施に際しての留意点を抽出・整理し、アカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点で効果的な開発に資する方策が提示された。

※『Cancer Science』誌に英文概要版を投稿／採択(掲載:平成30年5月)

“Current state of therapeutic development for rare cancers in Japan, and proposals for improvement”

②「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 ー日進月歩の科学の中でー」

(概要) アカデミア発創薬に向けて、アカデミアと企業の連携の問題点を抽出し、ギャップを埋める方策が提示された。

③「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」

(概要) 従来技術と異なる「AIとしての新要素」を検討することにより、その特徴及びリスク、利用するための留意点が提示された。

※『Advanced Biomedical Engineering』誌に英文概要版を投稿／査読中(採択:平成30年4月、掲載:5月)

“Regulatory Science on AI-based Medical Devices and Systems”

【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(※)(平成30年3月末時点)は、英文学術誌へ投稿し、科学委員会の成果について、国内外への情報発信に努めた。

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
ーアカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点からー
(※) 『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
ー日進月歩の科学の中でー
- ・ 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／査読中

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H29年度までの4年度で、計37(内、H29年度においては12)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。

(H29年度作成、発出に協力した主な通知)

小児医薬品WG:

「小児集団における医薬品開発の臨床試験に関するガイダンスの補遺について」

(薬生薬審発1227第5号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知)

オミックスWG:

「ゲノム試料の収集及びゲノムデータの取扱いに関するガイドラインについて」

(薬生薬審発0118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)

ICH Q12対応WG:

「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」

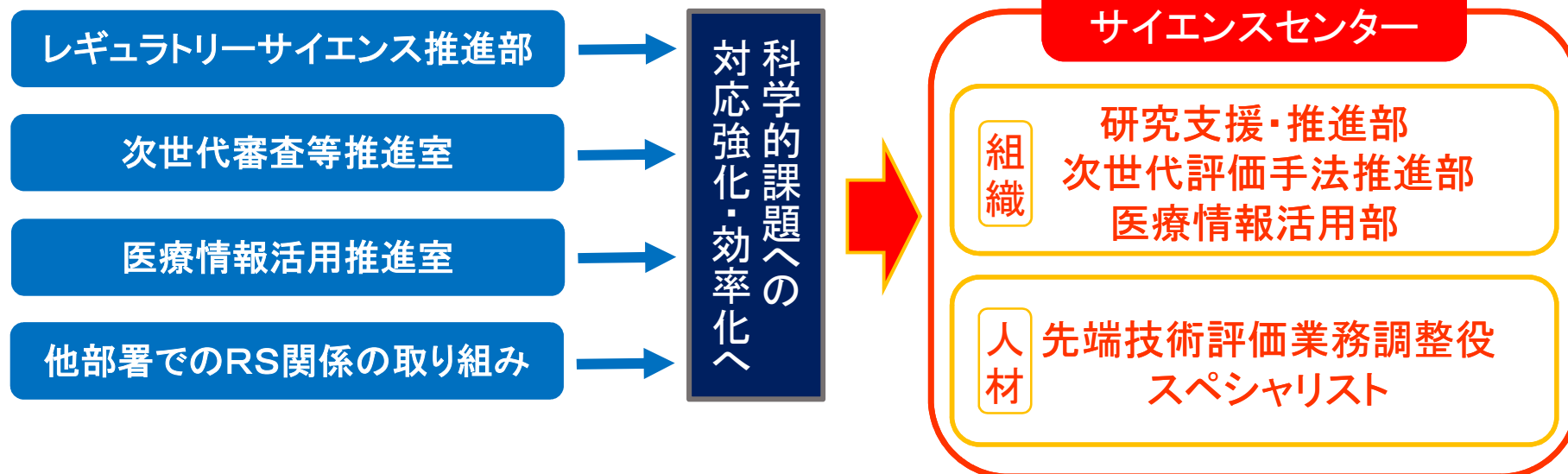
(薬生薬審発0309第1号、薬生監麻発0309第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長、厚生労働省医薬・生活衛生局監視指導・麻薬対策課長連名通知)

レギュラトリーサイエンスセンターの設置

- PMDAでは、医薬品・医療機器・再生医療等製品の有効性・安全性の科学的な評価・判断に資するレギュラトリーサイエンスに係る取組みを進めてきた。
- 平成30年4月1日に、レギュラトリーサイエンスセンターを設置し、PMDA内のレギュラトリーサイエンスに係る活動を組織的に一元化することで、以下を実現する。
 - PMDA業務に関連する科学的課題への対応の強化及び効率化
 - 審査等業務及び安全対策業務の質の向上
 - レギュラトリーサイエンス関連情報の発信による各ステークホルダーとの議論の活性化

平成30年4月から

これまで



レギュ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

<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横断的基準
作成等PT
CIN対応WG

方針確認等

厚生労働省

協力・調整

AMED

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

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)
- がん希少フラクション(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)³¹

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について

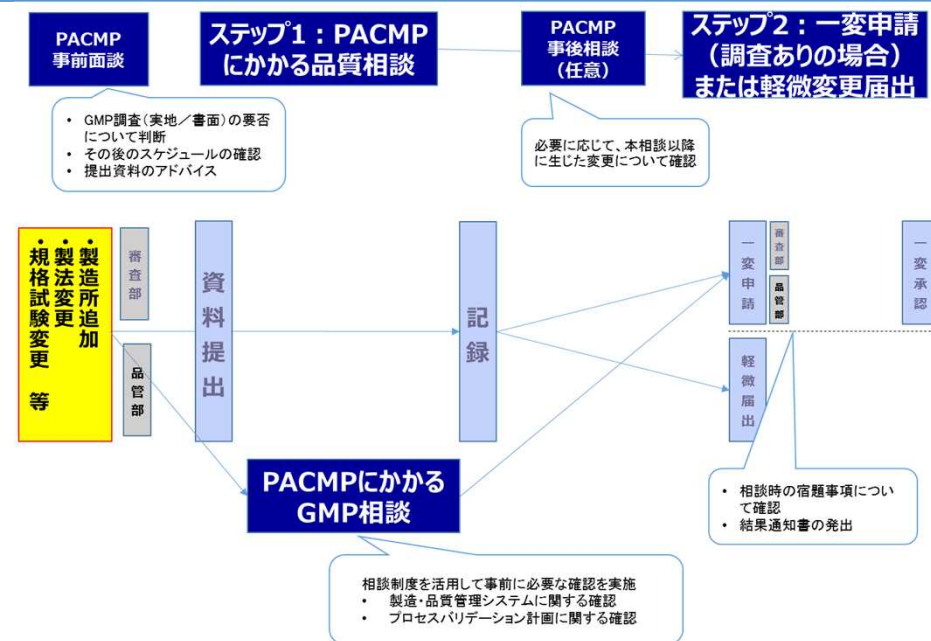
検討の経緯

横断的基準作成PT
ICH Q12対応WG

- 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、4月から一部の品目について試行を開始予定(審査部のリソースも勘案しながら実施)
 - ※PACMP相談は、H30.4から開始している。

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



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）

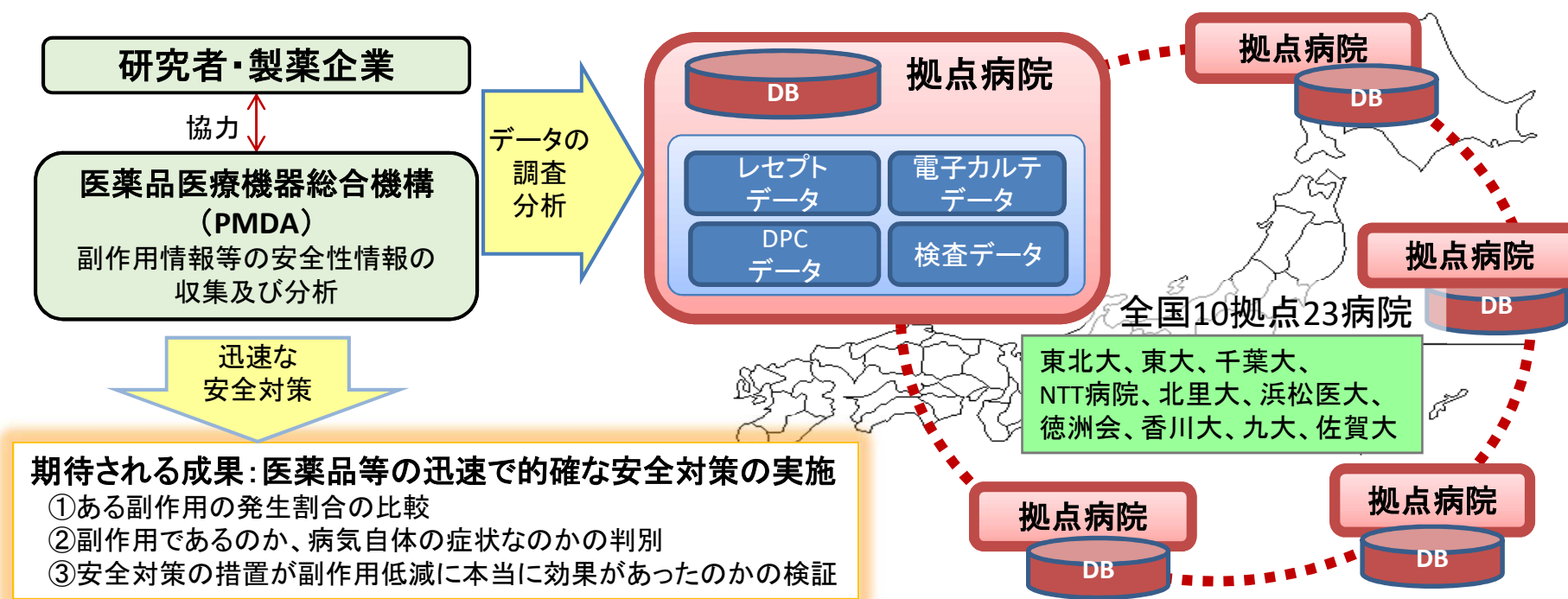
○ 連携事項の概要：

	平成28年度	平成29年度	備考
共同事業	1件	5件	AMED研究事業における研究協力等。平成29年度は国際的事案対応における協力等が追加。
人材育成	10件	27件	講師派遣、意見交換会、委員会見学等。平成29年度はIRB、倫理審査委員会の見学等が増加。
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	

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

医療情報データベース(MID-NET®)基盤整備事業の運用開始

- 薬剤疫学的解析結果に基づく医薬品等の安全対策を推進するための医療情報データベース
- 品質管理活動に一定の目的が付き、試行的利活用の結果その有用性が確認され、利活用ルール等の制度面での準備が整い、平成30年4月から運用を開始



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年度運用開始時には、約400万人分超のデータが利活用可能
- 多数の種類 of 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手法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



MID-NETでの成果(試行的利活用の例)

(例1) コデイン含有製剤の処方実態及び呼吸抑制発現のリスク評価

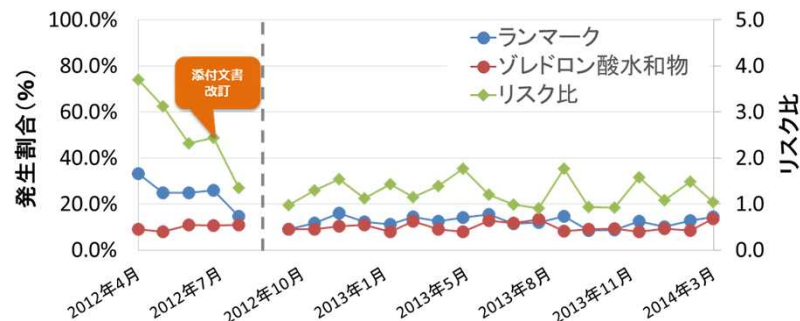
		コデイン処方患者 (人)	対象症例 (人)	発生頻度 (%)
全年齢		7,267	24	0.3% (0.2-0.4)
年齢区分	12歳未満	209	-*	-* (0.0-1.0)
	12～18歳	199	0	0% (0.0-0.0)
	19歳以上	6,859	-*	-* (0.2-0.5)

※ ケース数が10人未満の場合、個人情報保護の観点から具体的数値は非公開

我が国におけるコデインの年齢別の処方実態が明らかとなり、呼吸抑制リスクの可能性を定量的に評価

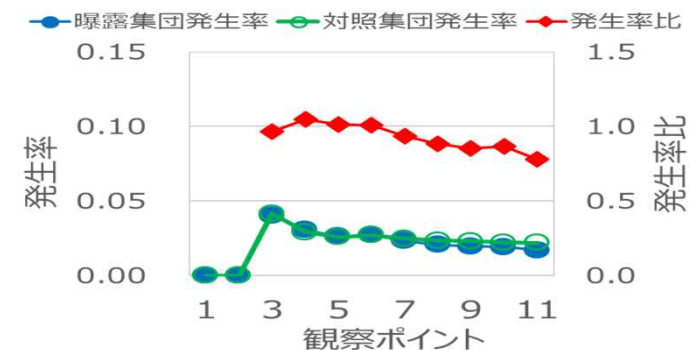
→コデイン製剤の添付文書が平成29年度に改訂された際の参考となった

(例2) ランマーク®皮下注120mgによる重篤な低カルシウム血症に対する安全対策措置の影響評価



低カルシウム血症のリスクは、安全対策措置後には類薬と同程度であることが確認

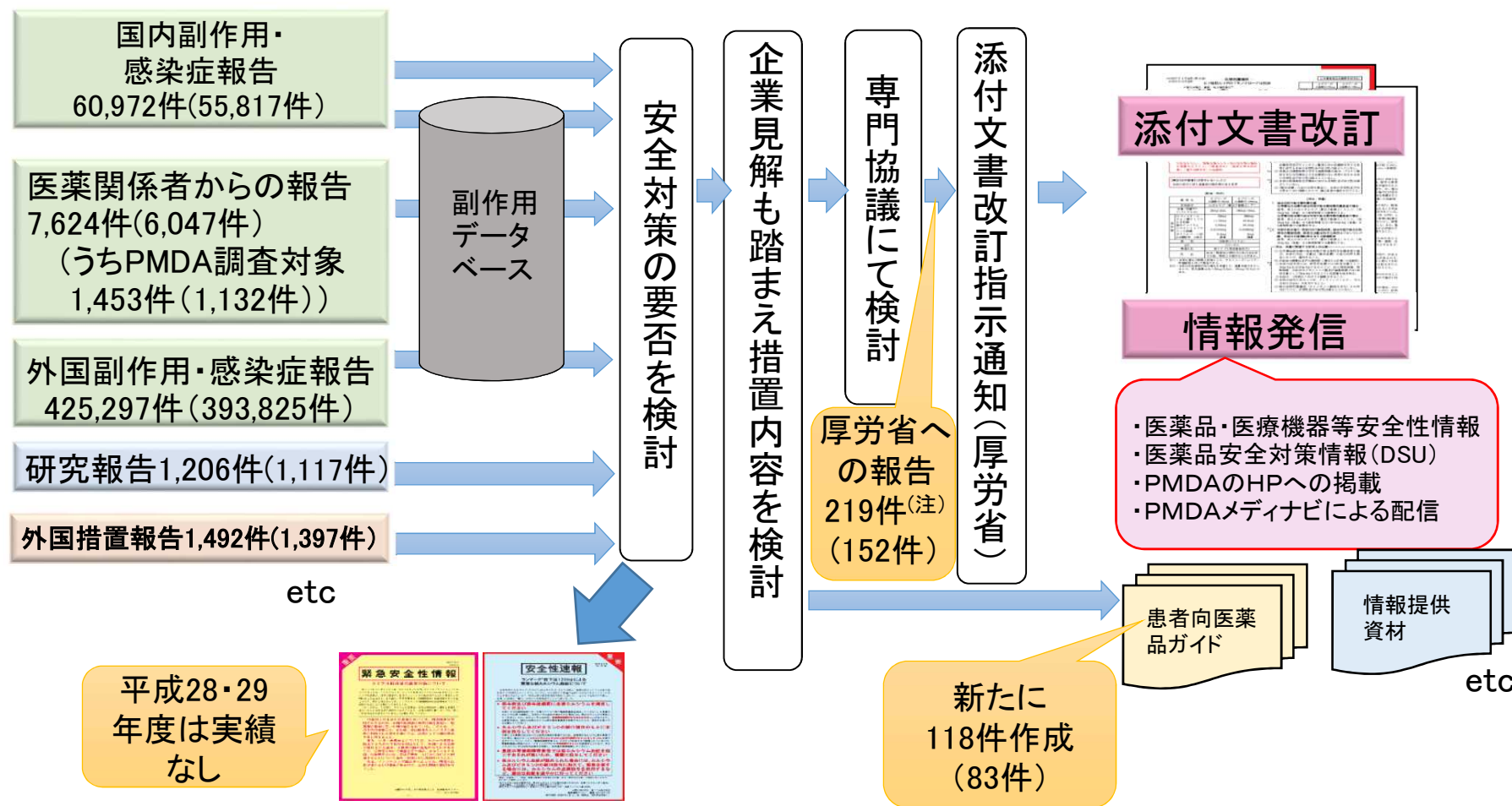
(例3) 新薬処方後の検査値異常発生に関する定常的監視手法の検討



肝機能等の検査値を指標に用いることで、副作用の発現リスクを販売開始後初期の段階から類薬と経時的に比較可能であることが確認

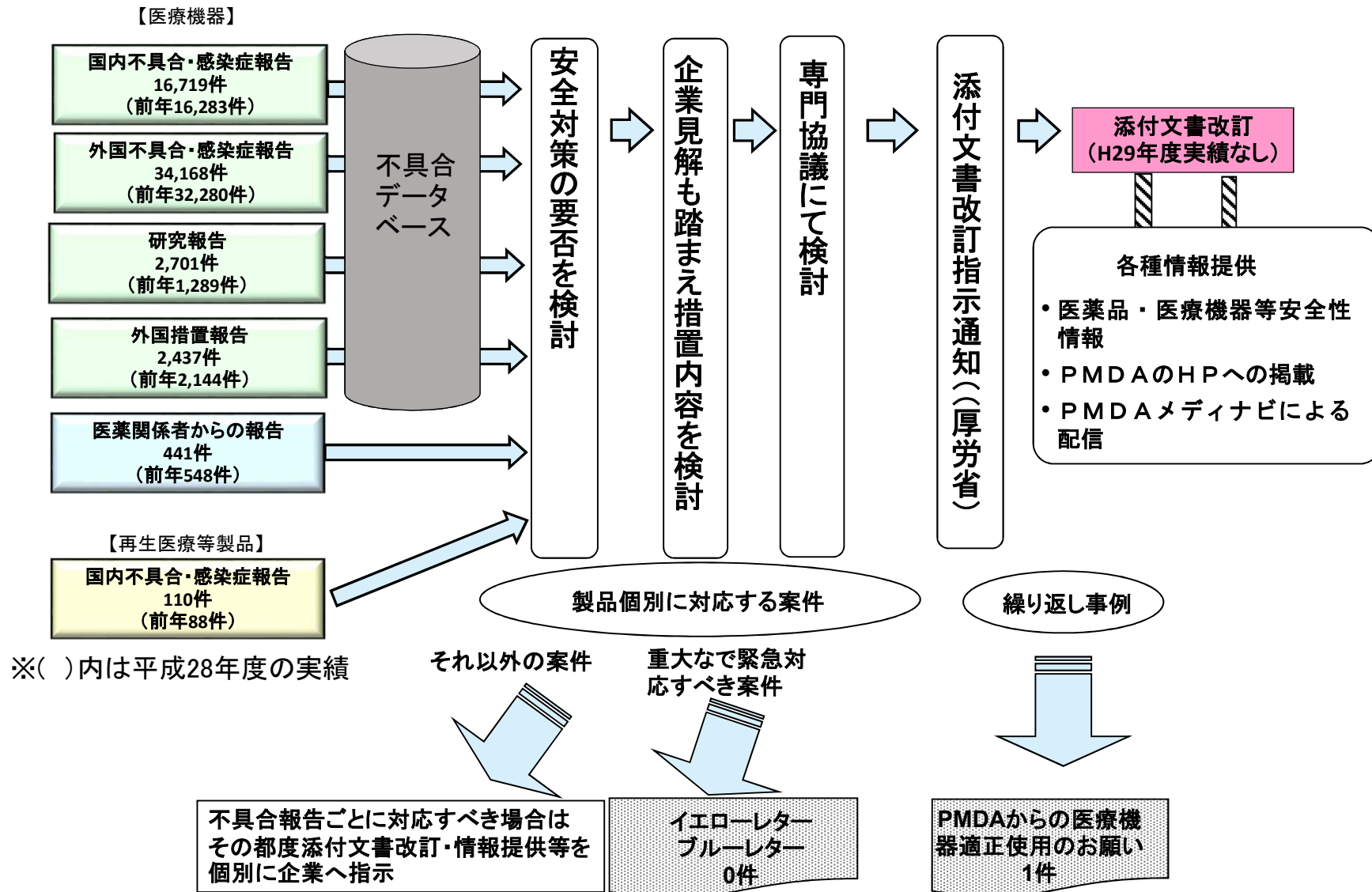
平成29年度 医薬品関係の主な実績

※()内は平成28年度の実績

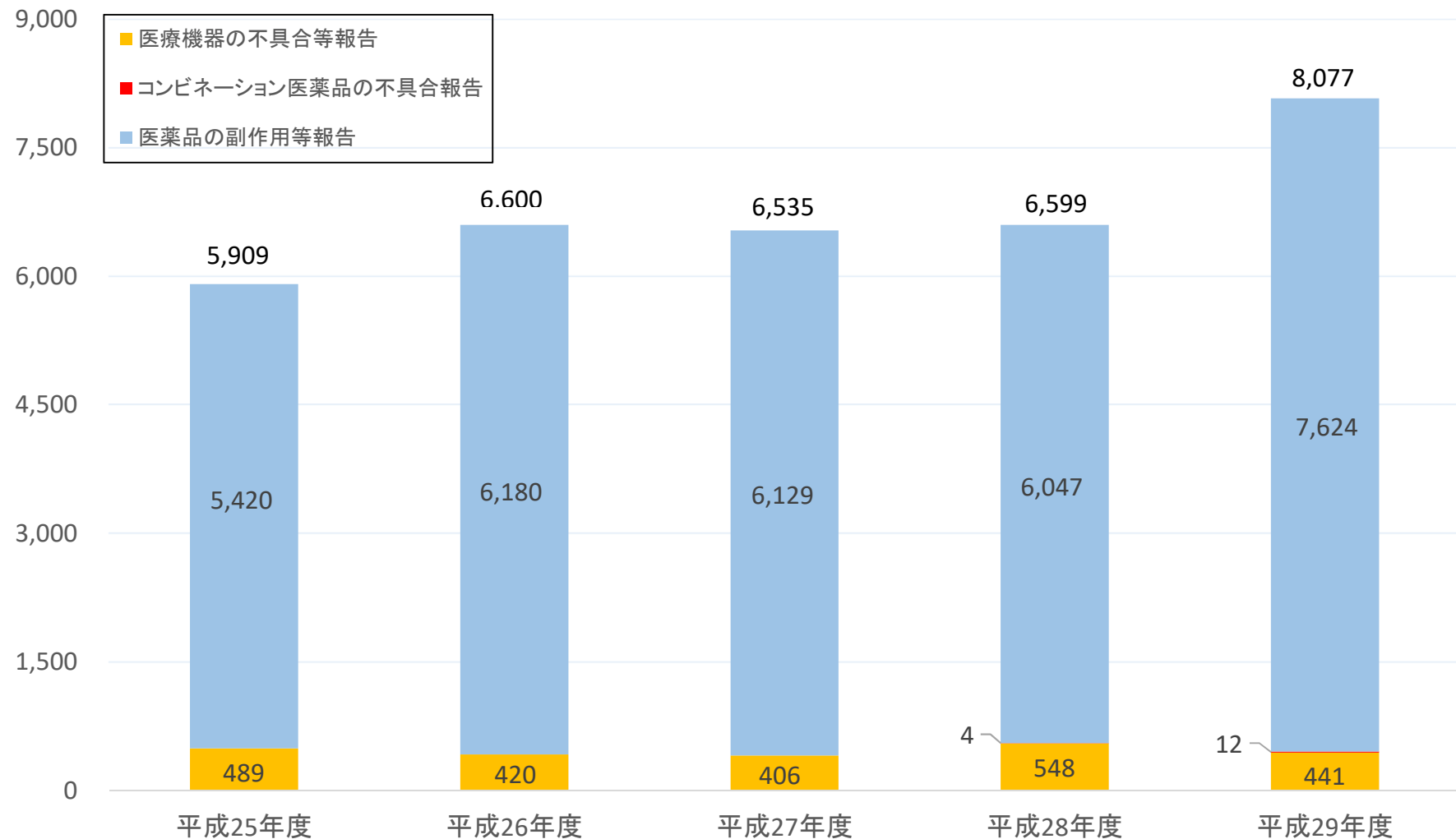


(注) 医薬部外品1件を含む

平成29年度 医療機器・再生医療等製品の主な実績

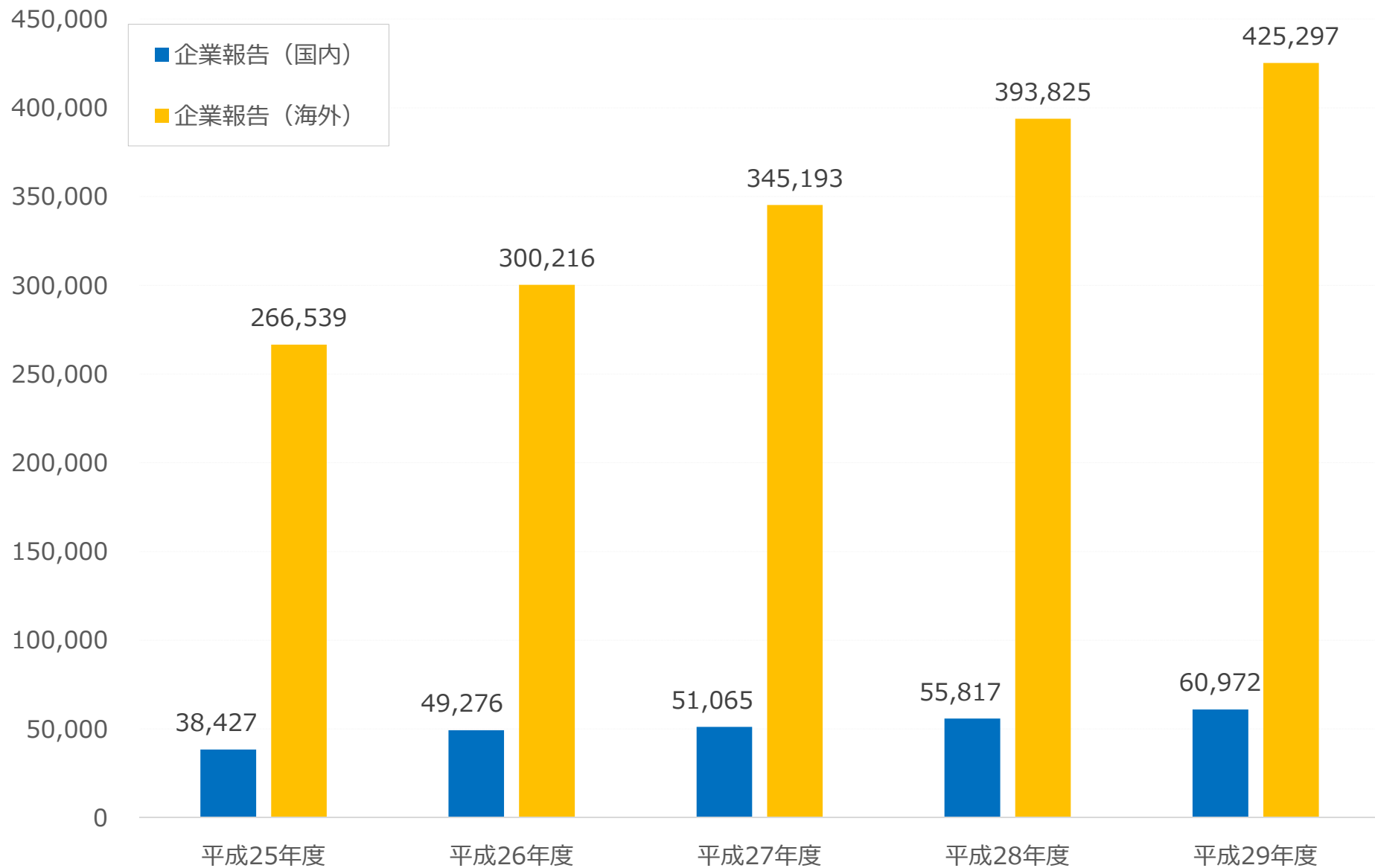


医療機関報告数の年次推移

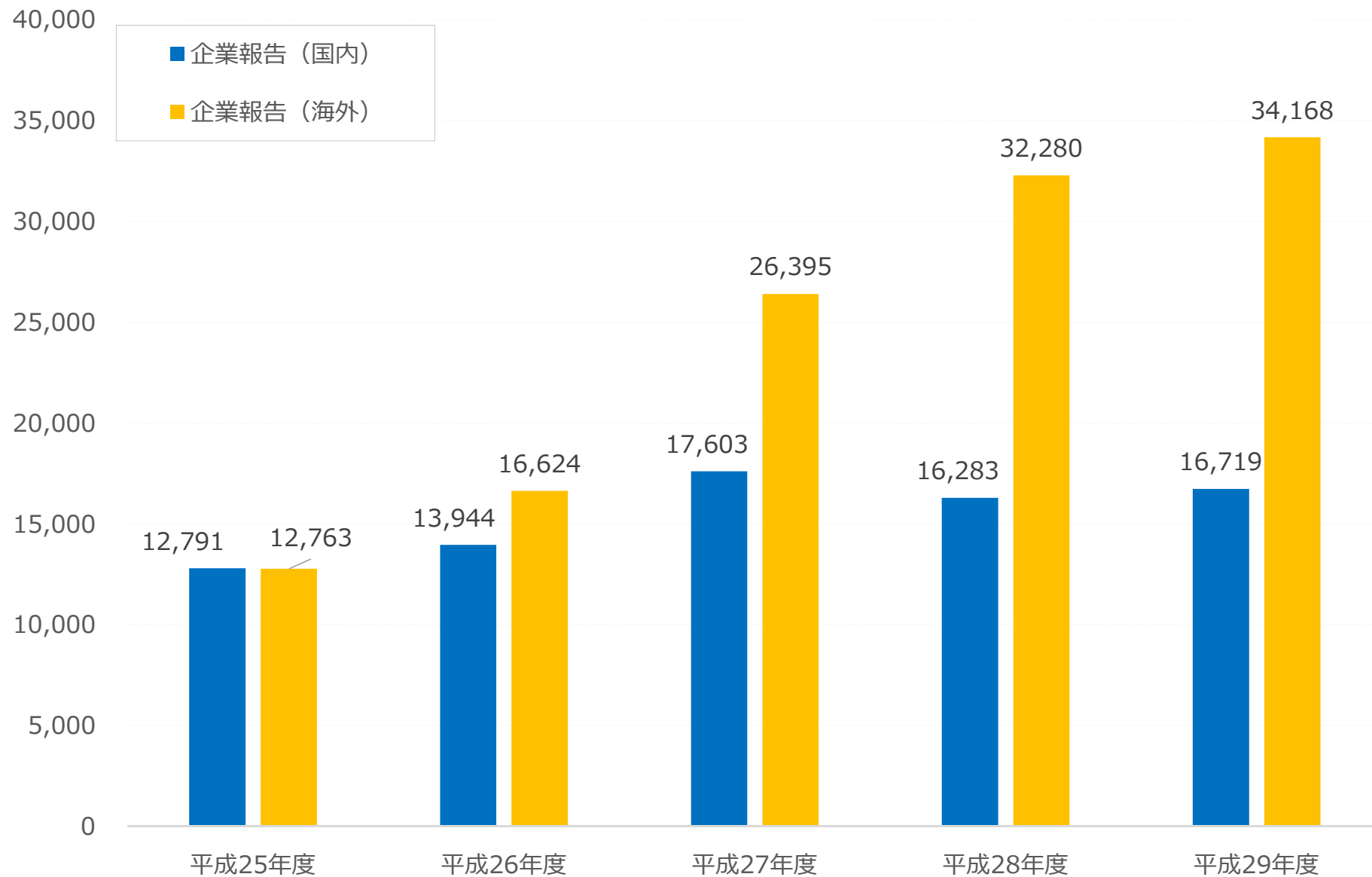


※ コンビネーション医薬品の不具合報告の義務化は平成28年11月25日からであり、平成26年11月25日から平成28年11月24日までは経過措置期間である。
 なお、平成26年度の報告件数は、平成26年11月25日の医薬品医療機器法施行後の件数である。

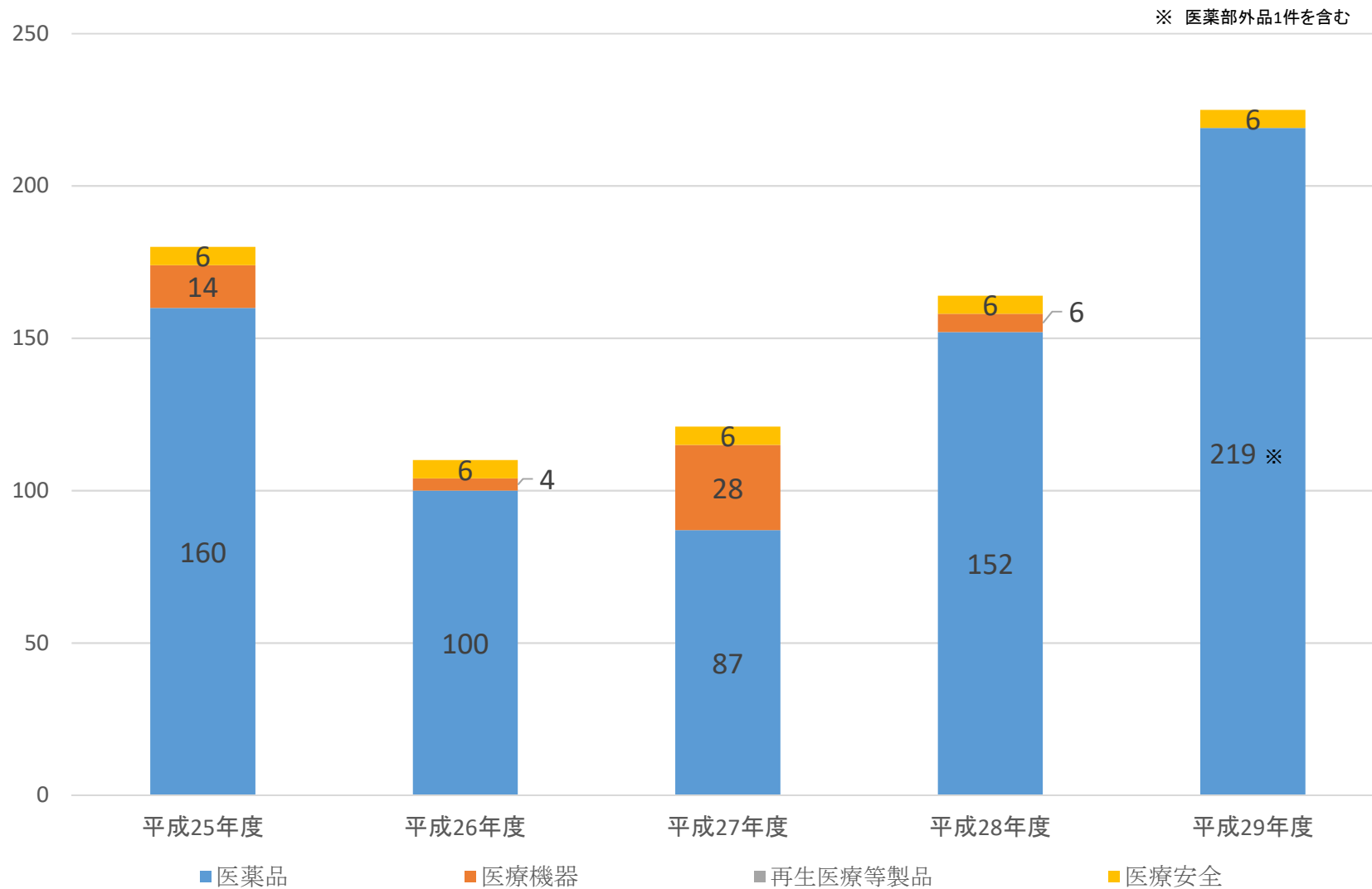
医薬品副作用・感染症報告数の年次推移



医療機器不具合・感染症報告数の年次推移

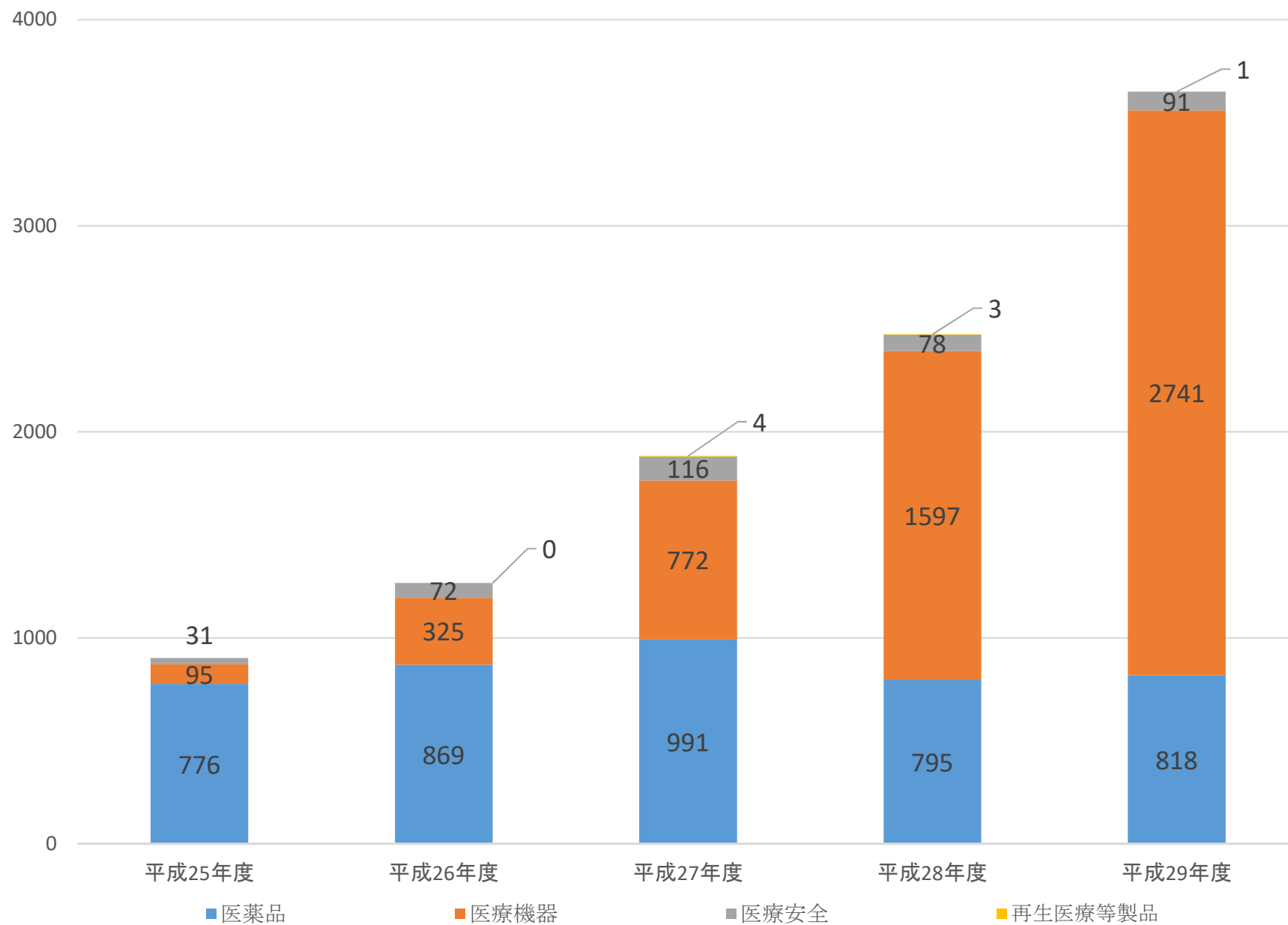


添付文書の改定等の措置が必要なものとして 厚生労働省に報告した件数の年次推移



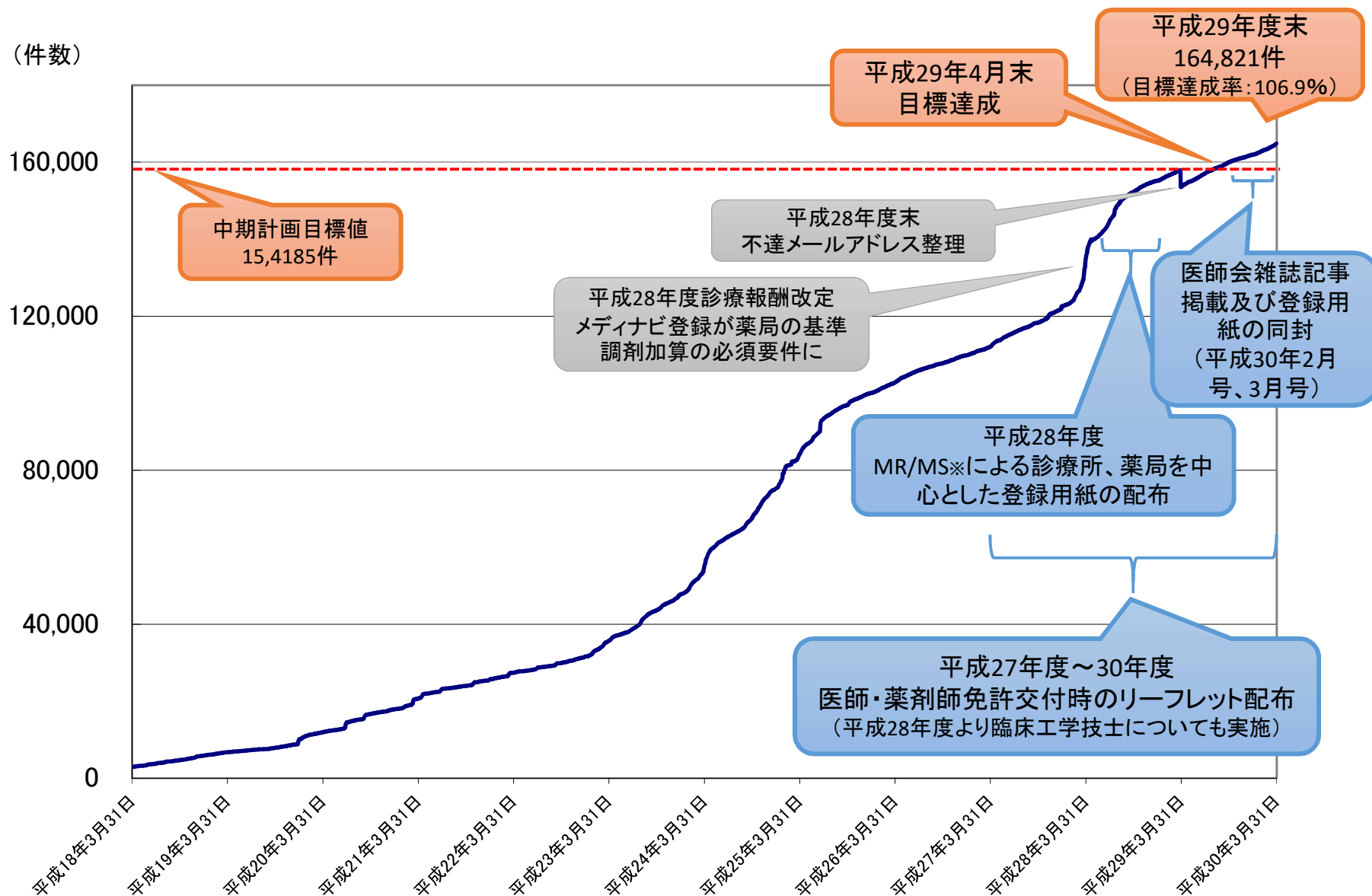
医薬品は成分数
医療機器は一般的名称の数
医療安全は厚生労働省へ報告した回数

企業からの各種相談件数



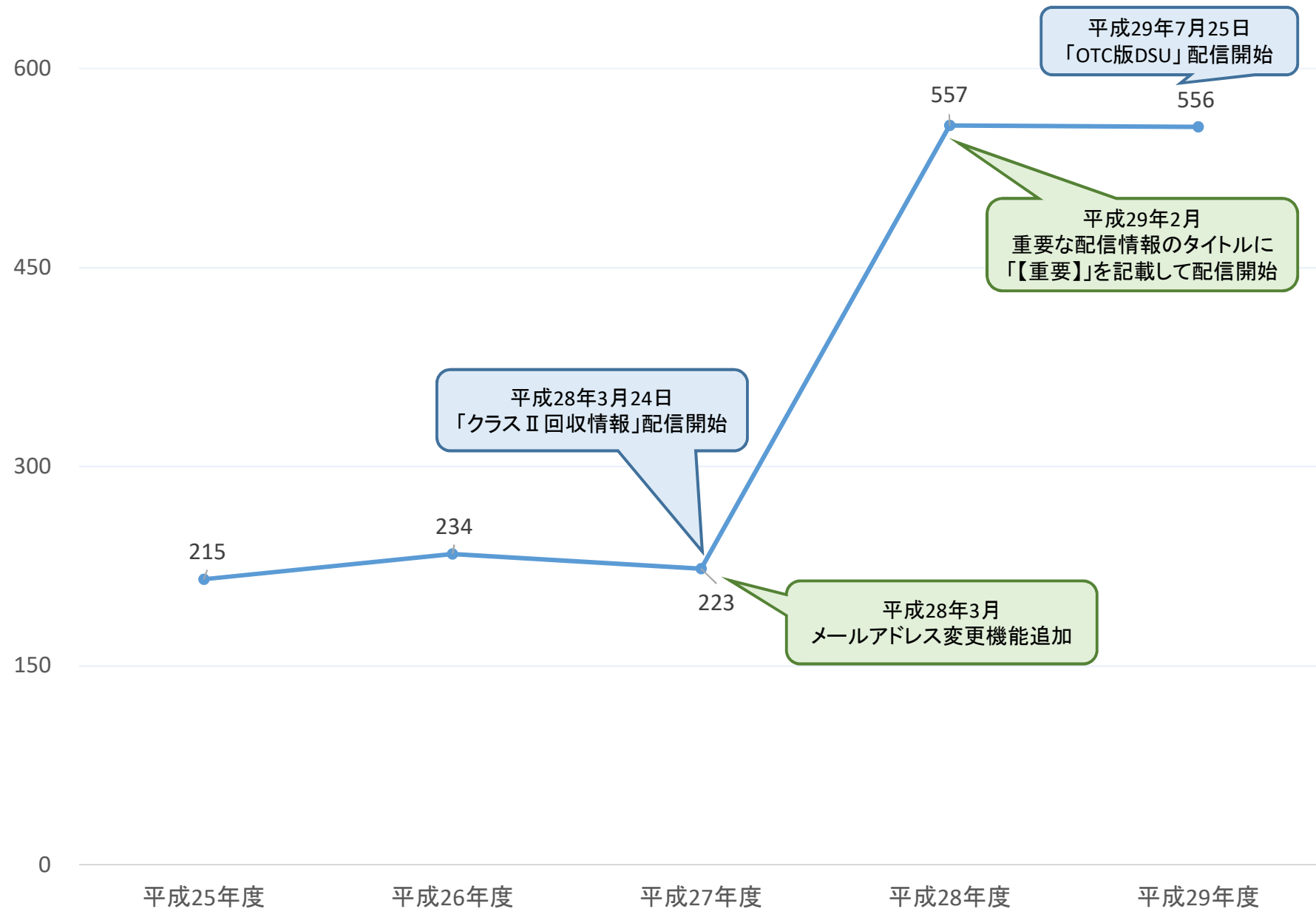
1－9 企業・医療関係者への安全性情報の提供 とフォローアップ、患者・一般消費者への安全性 情報の提供

PMDAメディナビ登録件数の推移

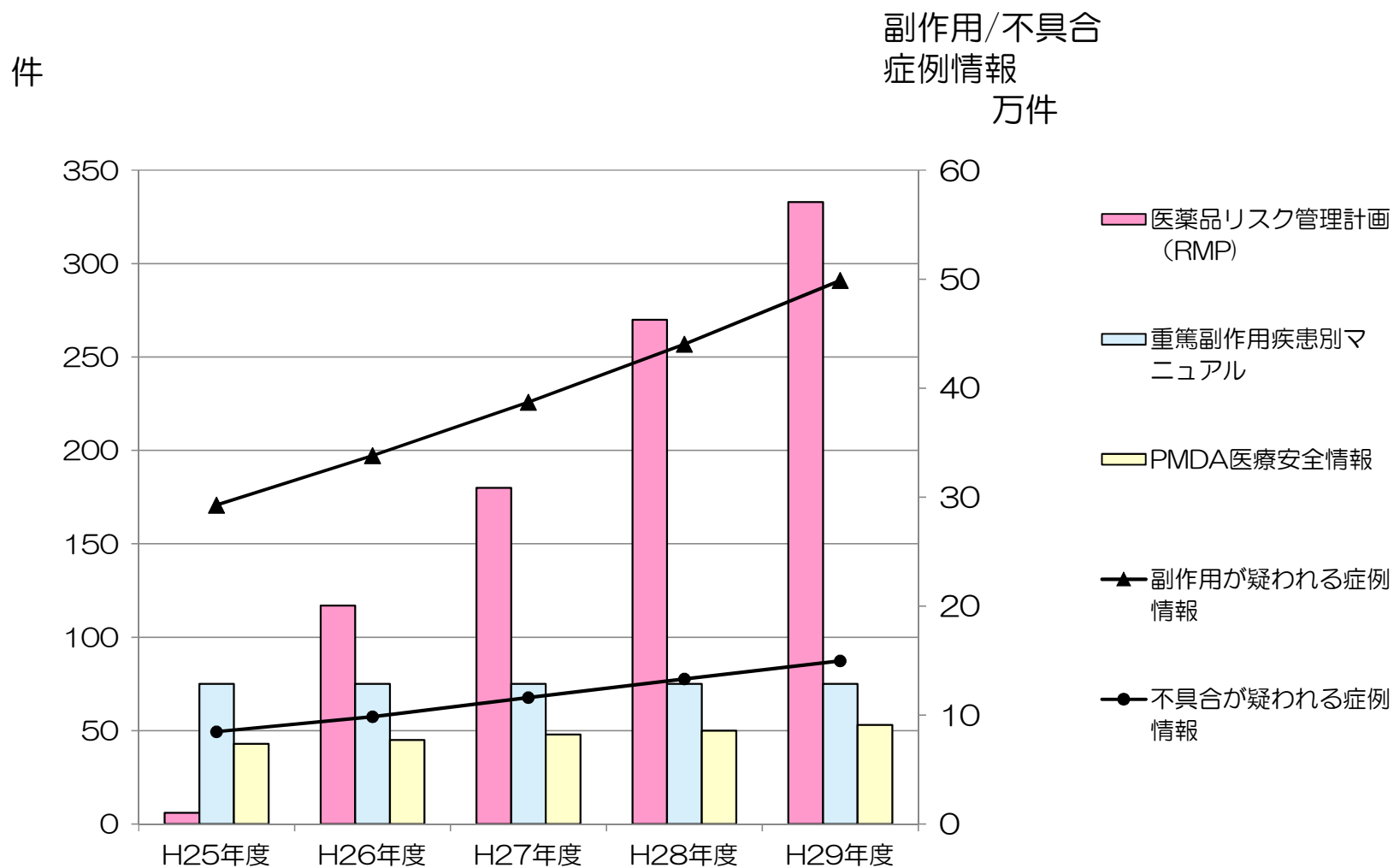


※ MRは医薬情報担当者、MSは医薬品卸売販売担当者

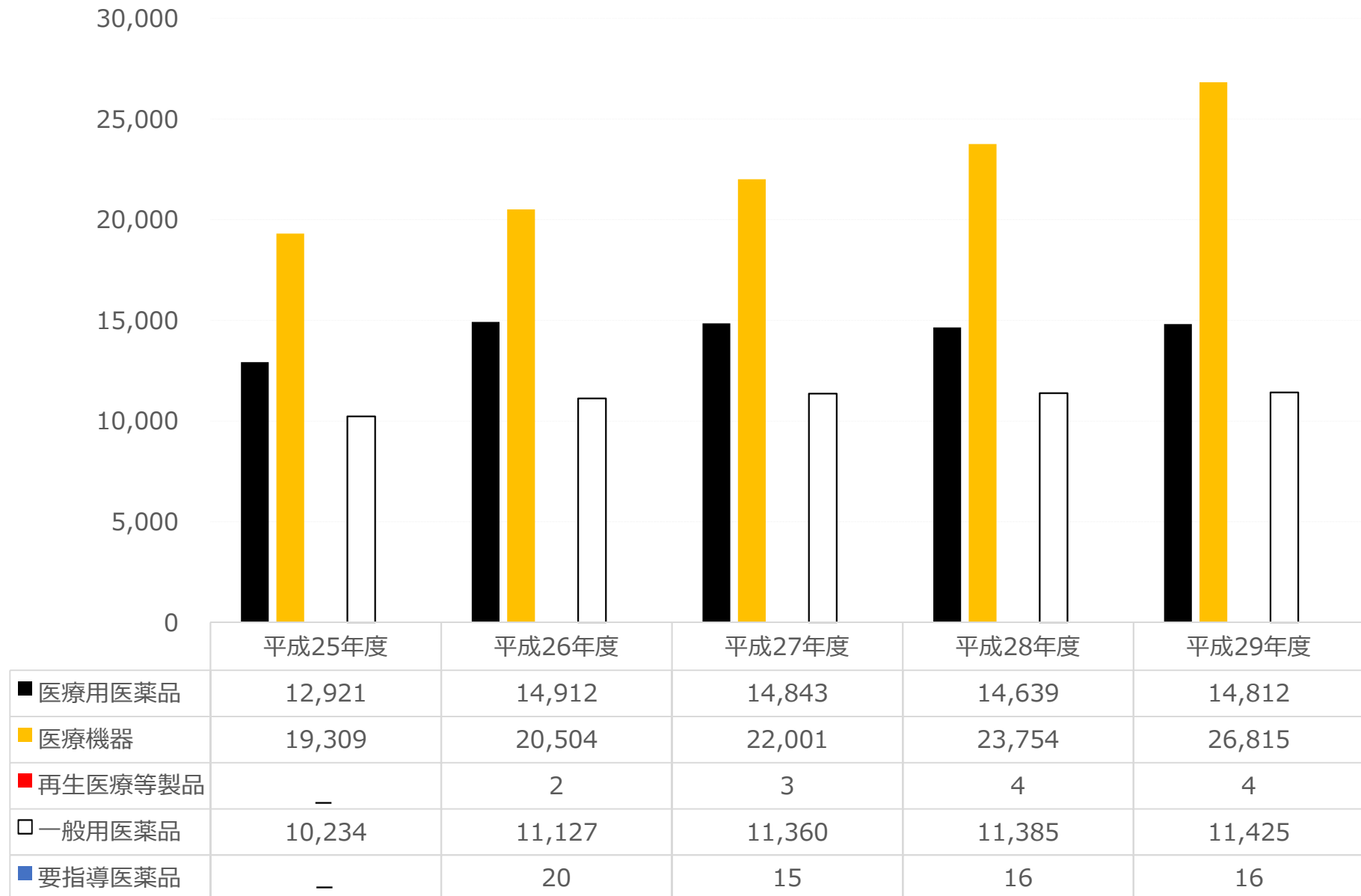
PMDAメディナビの配信件数



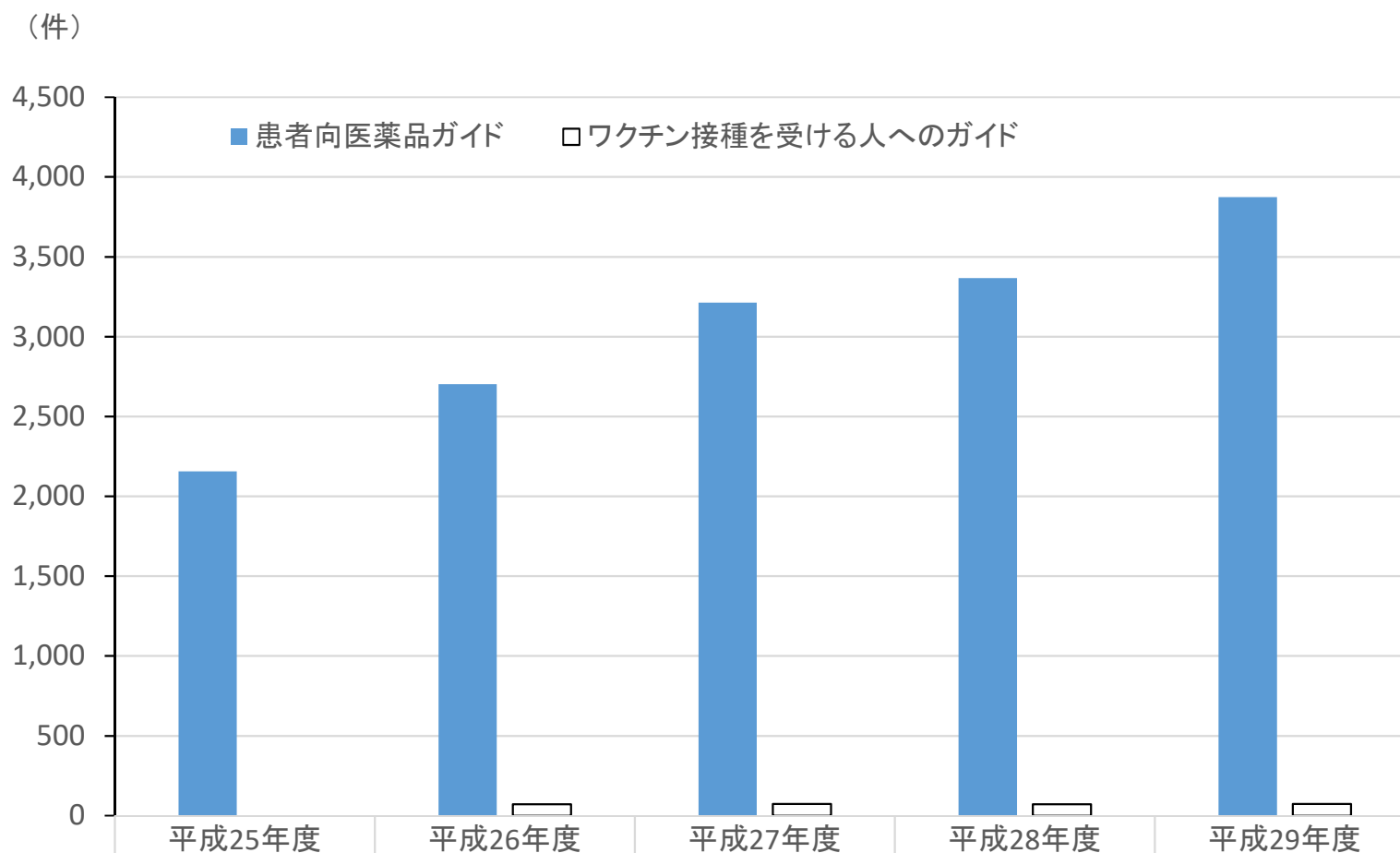
主な情報のホームページ掲載件数の推移



添付文書情報の掲載件数の推移



患者向け医薬品ガイド、ワクチン接種を受ける人へのガイドの掲載件数の推移



患者向け医薬品ガイド	平成25年度	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度
	2,155	2,701	3,213	3,366	3,873
ワクチン接種を受ける人へのガイド	0	72	73	72	74

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、2018年3月までに53報を作成・配布しています。平成29年度の実績は以下のとおり

- 「一般名類似による薬剤取り違いについて」(No.51,2017年9月)
- 「開放式脳室ドレナージ回路使用時の注意について」(No.52, 2017年12月)
- 「誤接続防止コネクタの導入について」(No.53,2018年3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
http://www.pmda.go.jp/ No.52 2017年12月

PMDA 医療安全情報
(独)医薬品医療機器総合機構

fmda No.52 2017年12月

**開放式脳室ドレナージ回路使用時の
注意について**

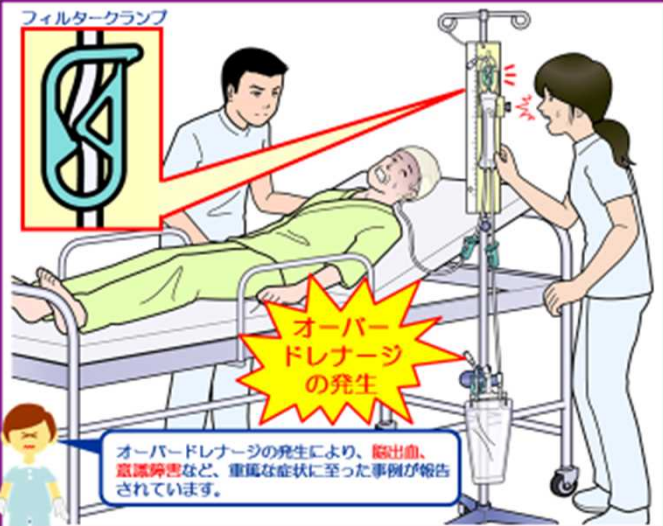
POINT 安全使用のために注意するポイント
(事例1) 体位変換後、ドリップチャンバーのフィルタークランプを開放し忘れたところ、オーバー
ドレナージが発生し、患者が頭痛と吐き気を訴えた。

1 開放式脳室ドレナージの取扱い時の注意点 (その1)
● 体位変換後は、すべてのクランプが開放されているか必ず確認すること。

フィルタークランプ

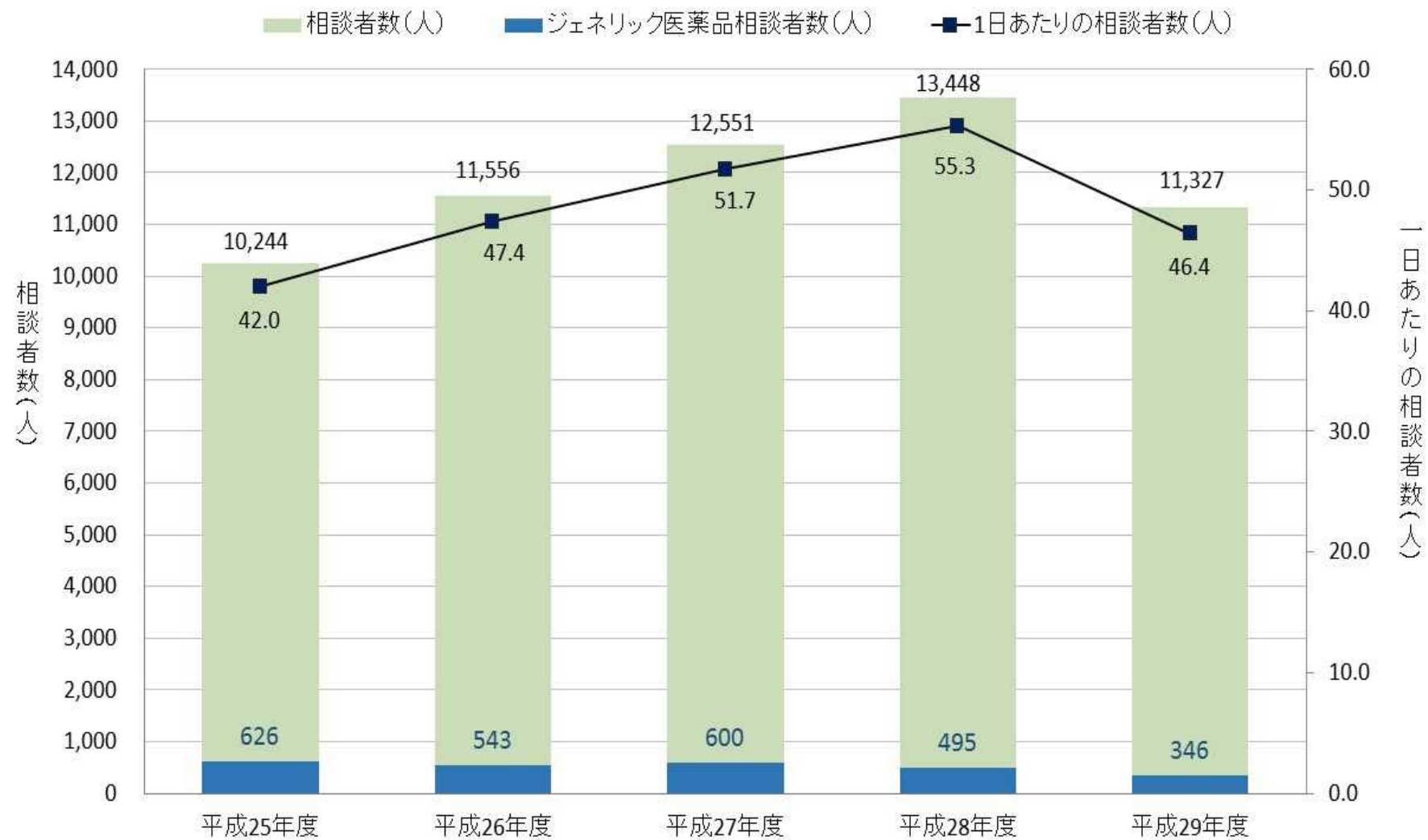
オーバー
ドレナージ
の発生

オーバードレナージの発生により、脳出血、
意識障害など、重篤な症状に至った事例が報告
されています。

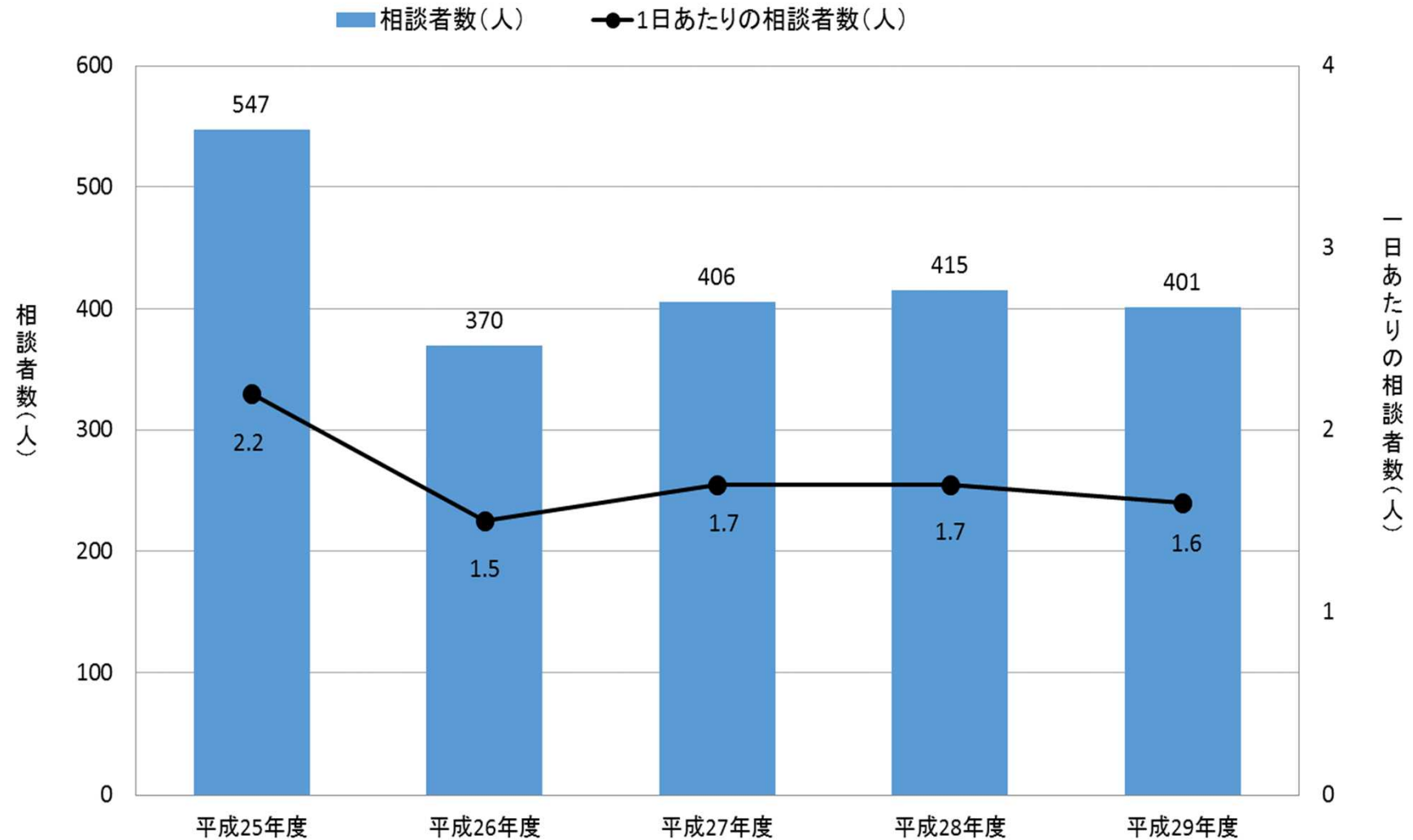


1/4

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



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)

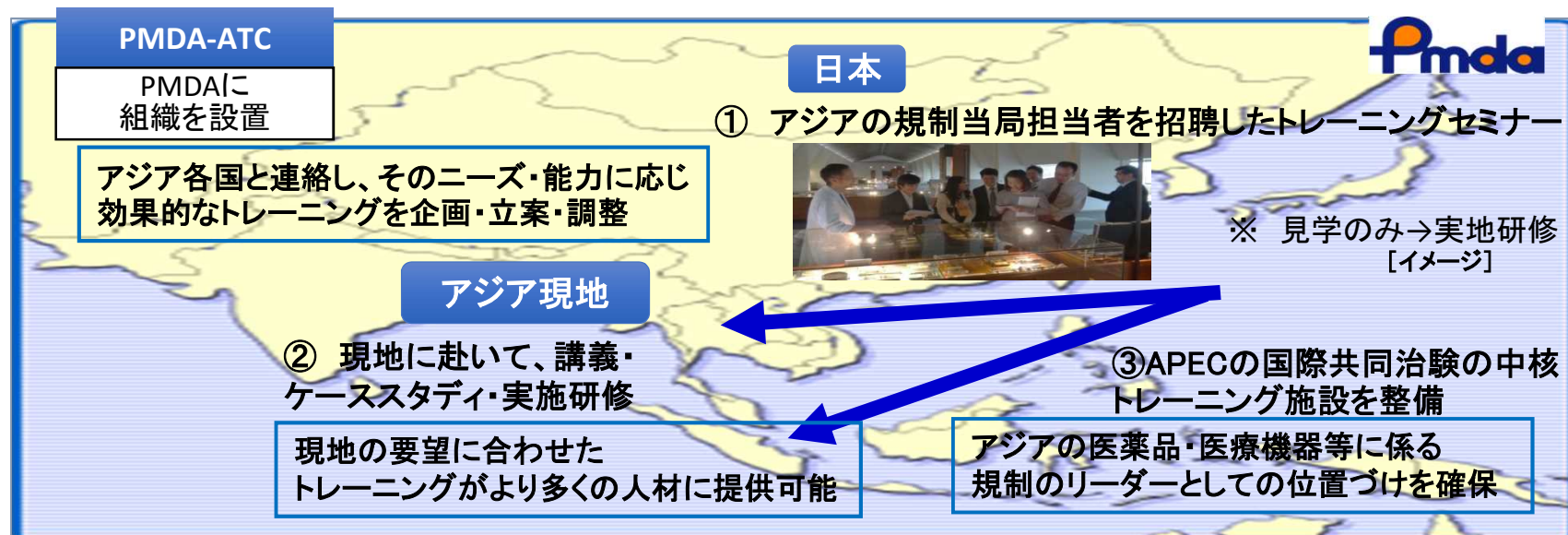
背景

- 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	5月18日～19日	ジャカルタ	インドネシアから30名参加
2	医薬品の審査、安全対策等	6月26日～30日	PMDA・富山県	11カ国から28名参加
3	GMP (Good Manufacturing Practice)	7月31日～8月4日	山口県光市	13カ国から13名参加
4	抗感染症薬関連	10月3日～4日	ハノイ	ベトナムから30名参加
5	医薬品の適切な申請及び審査手続き*	10月31日～11月2日	台北	8カ国から30名参加
6	医療機器の審査、安全対策等	11月6日～10日	PMDA	12カ国から30名参加
7	医薬品の審査、安全対策等	12月12日～15日	バンコク	スリランカ及びタイから20名参加
8	医薬品の国際共同治験*	1月15日～18日	PMDA	11カ国から25名参加
9	医薬品安全性監視(ファーマコビジランス)*	2月5日～8日	PMDA	17カ国から29名参加

* 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>)

薬剤耐性感染症(ARI)治療薬・診断薬の早期導入について

- ・ **薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン**(平成28年4月5日、国際的に脅威となる感染症対策閣僚会議)において、**薬剤耐性感染症(ARI)治療薬の優先審査制度の創設や、ARI治療薬に特化した薬事戦略相談の創設等**が提言された。
- ・ これを踏まえ、市場性の低いARIに対する新薬の開発を促進するために、**未承認薬迅速実用化スキーム**等を活用し、企業に対して開発要請を行うことで、**ARI治療薬・ARI診断薬の実用化を加速**する。

AMR: Antimicrobial Resistance、ARI: Antimicrobial-resistant Infection

欧米未承認薬・未承認体外診断用医薬品の要望

(以下のいずれかの要件を満たすものが対象)

- ① 医師主導による国内第Ⅲ相治験を実施中又は終了したもの
- ② 優れた試験成績が論文等で公表されているもの
- ③ 先進医療Bで一定の実績があるもの

要望は「随時受付」、「随時評価」

ARI治療薬又はARI診断薬の要望については、**開発初期の欧米未承認品目**についても対応する。

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議(ARI治療薬)
医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会(ARI診断薬)

(医療上の必要性を判断)

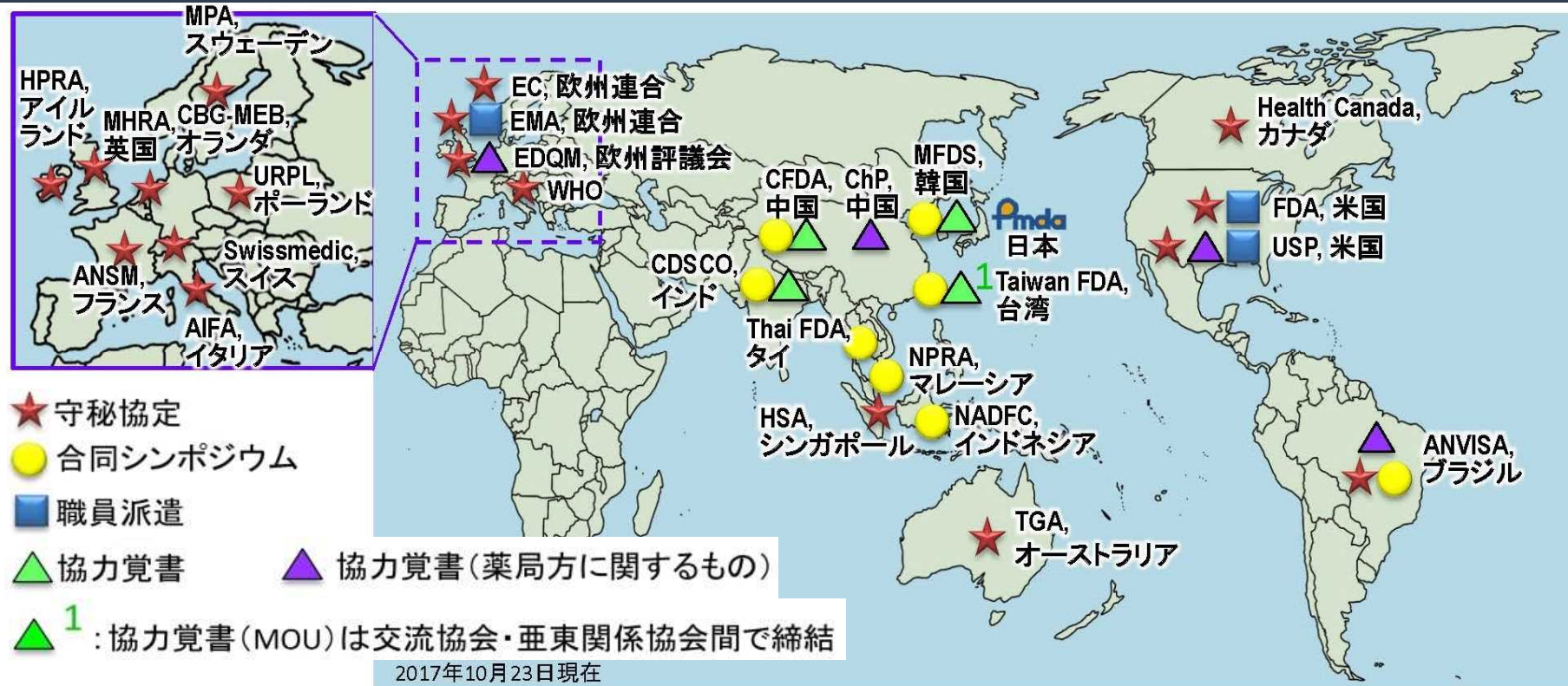
【基本的なスキーム】

企業に対して開発要請 又は 開発企業を公募

企業による治験・臨床性能試験等の実施

薬事承認申請

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

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

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を見直し)

2. 科学的な視点での確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) **長年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

※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の実施

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