

先駆けパッケージ戦略 (概要版)



先駆けパッケージ戦略

～世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器等の実用化を促進～

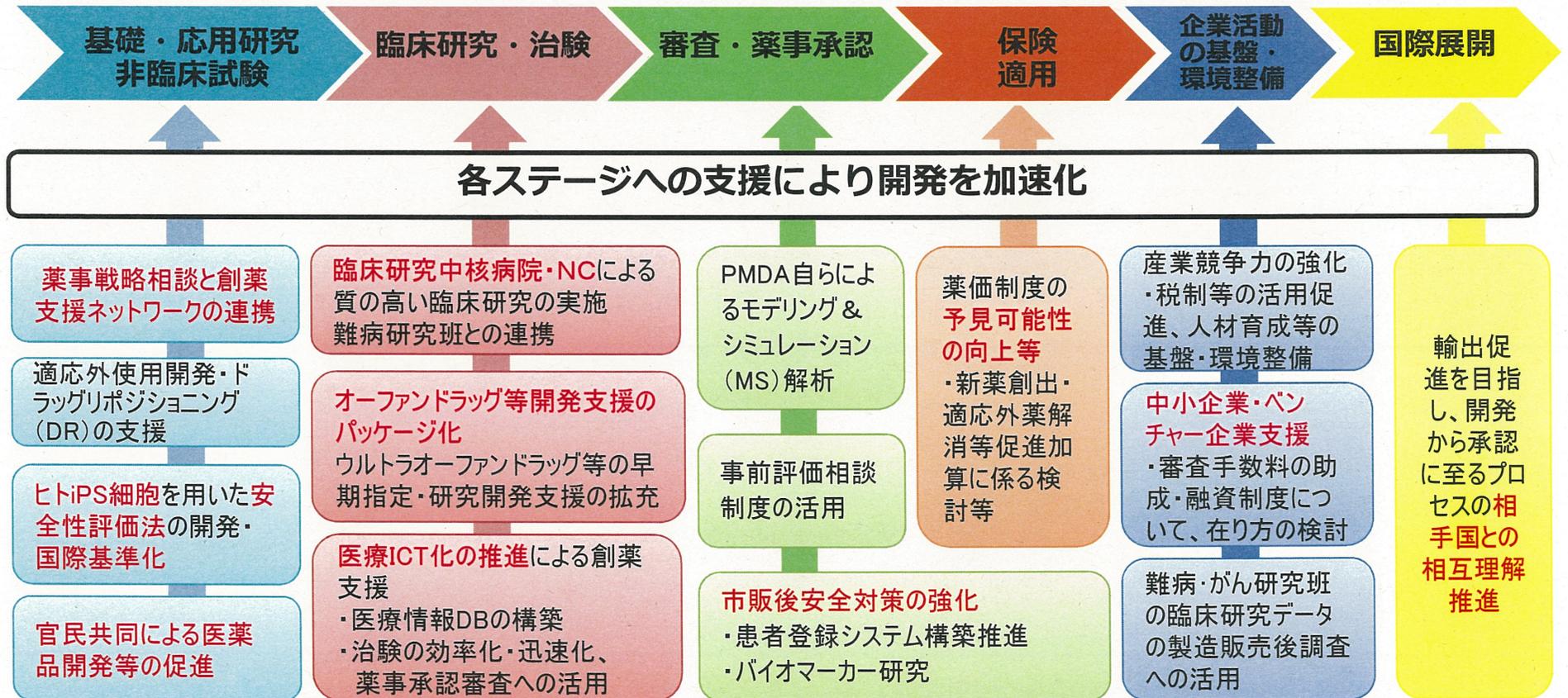
世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患等(希少がん、難病等重篤な疾患)に対し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等を日本で早期に実用化すべく、基礎研究から臨床研究・治験、審査・安全対策、保険適用、国際展開までを一環として支援する戦略パッケージを推進。

重点施策Ⅰ

先駆け審査指定制度

重点施策Ⅱ

未承認薬迅速実用化スキーム (未承認薬等会議の対象範囲の拡大)



PMDAの体制強化(相談・審査・安全対策等の体制強化と質の向上)

レギュラトリーサイエンスの推進(最先端技術の評価手法の開発やガイドラインの作成等)

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発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

指定基準

○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、以下の2要件を基に指定

1. **世界に先駆けて日本で開発され、申請が計画されること**(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**

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**]

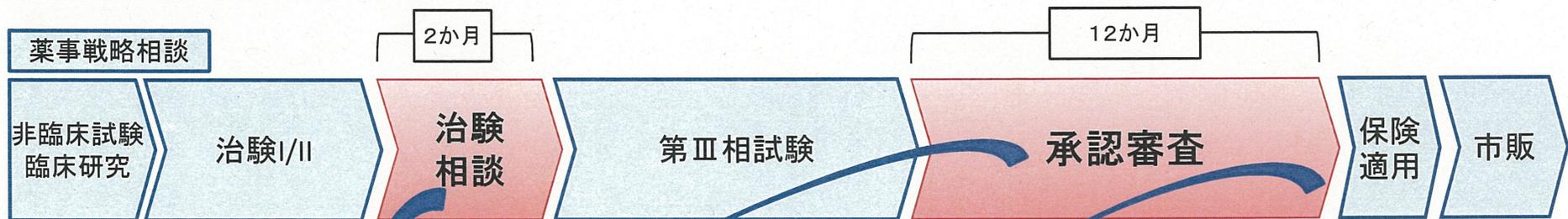
- 再審査期間の延長を含めた製造販売後の安全対策、海外への情報発信、学会との連携等の充実

指定手続

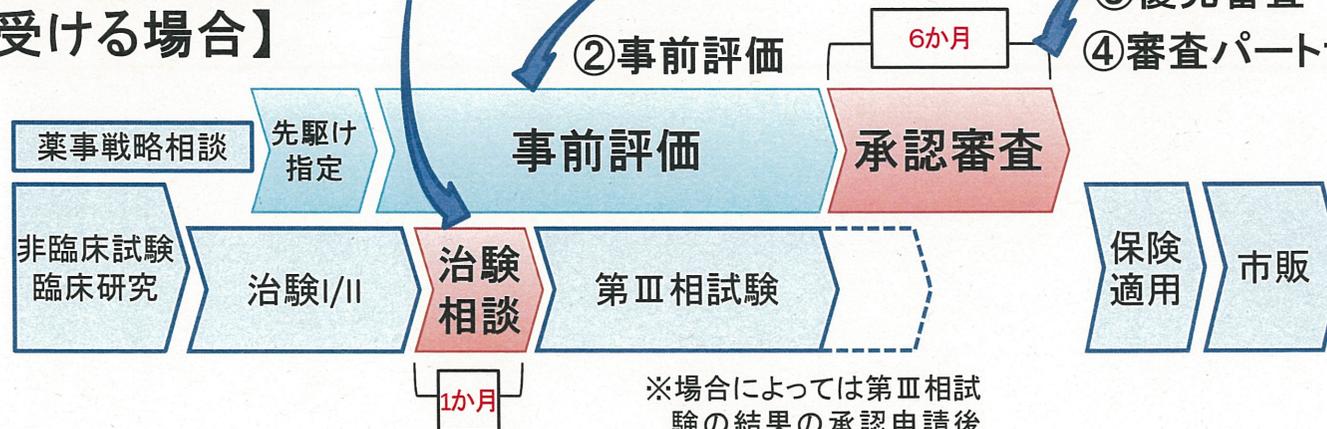
1. 申請者が審査管理課に申請し、PMDAの評価を受け、60日以内に指定の可否を通知。
2. 審査管理課が申請者に指定の申請を打診し、申請があった場合、PMDAの評価を受け、30日以内に指定の可否を通知。

具体的なイメージ図

【通常の承認審査の場合】



【先駆け指定を受ける場合】



①優先相談

②事前評価

③優先審査

④審査パートナー制度

⑤製造販売後の安全対策充実(再審査期間等)

※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る

革新的医薬品等の
早期実用化

未承認薬迅速実用化スキーム

未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬にまで拡大し、企業に対して開発要請を行うことで、世界に先駆けての重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速する。

なお、欧米未承認の品目で国内開発企業とのマッチングに時間を要するものなどについては、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験等に積極的に取り組みデータを取得することで、研究開発支援を強化し、企業が開発に着手しやすい環境を整える。

未承認薬・適応外薬の要望（現在は、欧米既承認のものが対象）

要望は「随時受付」、「随時評価」

要望の対象を、以下のいずれかの要件を満たす欧米未承認の重篤・致命的疾患治療薬にまで拡大

- ① 国内第Ⅲ相試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

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

（医療上の必要性を判断）

【基本的なスキーム】（ほとんどの品目が該当）

企業に対して開発要請 又は 開発企業を公募

企業による治験の実施

薬事承認申請

【海外ベンチャーが開発したものなどで、国内開発企業とのマッチングに時間を要する場合】

臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験又は先進医療を実施し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはPMDAの薬事戦略相談等も活用

開発企業

はじめに

- 厚生労働省では、昨年12月に、厚生労働審議官を主査とする世界に先駆けて革新的医薬品等を実用化するための省内プロジェクトチーム(先駆けPT)を立ち上げ、基礎研究から臨床研究・治験、承認審査・安全対策、保険適用、企業活動の基盤・環境整備、国際展開までをパッケージ化した戦略案を策定することとした。
- 先駆けPTでは、省内関係部局で議論を行うとともに、業界及び有識者のヒアリングを行い、関係施策の検討を行ってきた。この戦略案は、医薬品産業ビジョンの具体化であるとともに、健康医療戦略を厚生労働省の立場から実行するためのアクションプランという性格を持つ。
- 先駆けPTの戦略案は、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発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」と、重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速するため、未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬に拡大するとともに、企業が開発に着手しやすい環境を整える「未承認薬迅速実用化スキーム」をその中心としている。また、研究開発、審査・安全対策、薬価、企業活動の基盤・環境整備、国際展開の各ステージで行うべき施策を取りまとめている。
- 厚生労働省としては、平成27年度の予算要求プロセス等において、これらの施策の具体化を図ることとするとともに、実行可能な施策については、平成26年度から前倒しすることとする。

厚生労働省として取り組むべき具体的な事項

研究開発の推進

- 1 厚生労働科学研究費による医薬品等開発研究の強化と、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)及び創薬支援ネットワークとの連携の推進
 - ・薬事戦略相談及び創薬支援ネットワークの活用によるワンストップサービスを目指した体制の整備
 - ・小児がんや肉腫などの希少がん、難病など、研究開発が進みにくい分野の医薬品等開発研究に対する支援を強化
- 2 特許切れ医薬品を含む既存薬の適応外使用開発などのドラッグ・リポジショニング(DR)の促進
 - ・DR研究への支援と開発促進施策の検討
- 3 研究者や企業、再生医療等製品開発ベンチャー等に対する最先端技術の実用化の道筋を示すレギュラトリーサイエンスの推進
 - ・最新の科学技術の成果を踏まえた迅速・的確な評価手法の確立、ガイドラインの作成
- 4 官民共同による医薬品開発等の促進
 - ・アカデミア、製薬企業、国立高度専門医療研究センター・国立衛研等からなる「技術研究組合」等による共同研究の実施
- 5 iPS由来心筋細胞を用いた心毒性医薬品安全性評価法等の開発
 - ・産学官オールジャパンによるヒトiPS細胞由来心筋細胞の商用化及び評価法の国際標準化の推進
- 6 質の高い臨床研究の実施体制の確保・治験活性化
 - ・臨床研究中核病院において、研究費の重点的配分、研究データの薬事承認申請への活用、GCP適合性実地調査の合理的な実施方法の検討、難病研究班と連携した研究の実施
- 7 オーフアンドラッグ等開発支援のパッケージ化
 - ・ウルトラオーファンドラッグ、デバイス等の早期指定及び支援の拡大
- 8 PMDAにおける相談体制の強化
- 9 医療のICTの推進による創薬支援及び安全対策の強化
 - ・臨床研究・治験の効率化、迅速化及び情報の質の確保のための電子カルテからの情報抽出等技術の開発
 - ・医療情報データベースの整備
- 10 未承認薬迅速実用化スキーム
- 11 ワクチンの開発体制の強化

審査体制・安全対策の強化

- 1 PMDAの審査体制・安全対策体制の強化と質の向上
 - ・PMDA自らが臨床試験データ等を活用したモデリング & シミュレーション (MS) 等の解析
 - ・新しい適合性調査手法 (CDISC 標準対応等) の導入に向けた検討
- 2 実質的な審査の前倒し等効率的な審査の実施と必要な体制整備 (事前評価相談制度の活用)
 - ・開発段階から順次評価を行い、実質的に審査を前倒しする事前評価相談制度の相談体制の強化
- 3 先駆け審査指定制度の導入による革新的医薬品等の早期実用化支援
- 4 市販後安全対策の強化
 - ・重症副作用の発症と関連する遺伝子マーカー及びバイオマーカーの解析
 - ・再生医療等製品等の患者登録システムの構築

薬価制度

- 1 薬価制度の予見可能性の向上等
 - ・26年度薬価制度改革における世界に先駆けて日本で承認を取得した医薬品に係る「先駆導入加算」の導入や原価計算方式に用いる平均的な営業利益率の引上げ幅の拡大
 - ・先駆け審査指定制度の導入などを踏まえて、引き続き革新的医薬品の早期実用化の観点を含め、薬価制度の検討
 - ・新薬創出・適応外薬解消等促進加算の在り方に係る検討
 - ・薬価算定基準における加算率の予見可能性の向上
 - ・薬価算定のルールについて、保険収載時の想定薬価について、医薬品開発企業における予見可能性の向上を図る

企業活動の基盤・環境整備

- 1 産業競争力の強化
 - ・研究開発税制などの効果を検証しつつ、活用促進等を図るなど、民間の研究開発投資強化策の着実な実施、知的財産の創造を促進する観点からの施策についての検討・検証・分析等
 - ・我が国発の革新的なバイオ医薬品の創設に向けた人材育成等の基盤整備の検討
- 2 中小企業・ベンチャー企業支援
 - ・PMDAの薬事戦略相談事業の拡充、審査手数料の助成措置及び中小企業による医療機器の開発を支援する融資制度の検討
 - ・中小企業等の薬事対象者を対象とした承認申請や治験の計画作成に関する教育研修
- 3 世界同時開発につなげるための環境整備
 - ・日本主導型グローバル臨床研究体制の整備

国際展開

- 1 相手国のニーズに応じた医療分野の展開
 - ・新興国等のニーズに応じた企業・医療関係者と関係府省が一体となった国際展開。トップセールスの場の活用
 - ・国民皆保険を実現した日本の経験・知見の移転、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジの導入支援
 - ・規制当局等との対話を通じた医薬品・医療機器の開発から承認に至るプロセス、評価ガイドライン等についての相互理解の促進
- 2 国際展開を図るための環境整備
 - ・医薬品や医療機器等の規制の国際整合に関する活動の推進、企業がグローバルに活動しやすい環境整備
 - ・我が国で承認された医薬品等に関する積極的な情報提供の推進
- 3 国際協力等の枠組を活用した国際展開の推進
 - ・開発途上国向け医薬品の研究開発、供給支援を官民連携で推進、専門家派遣、研修生受入れ等の人的協力