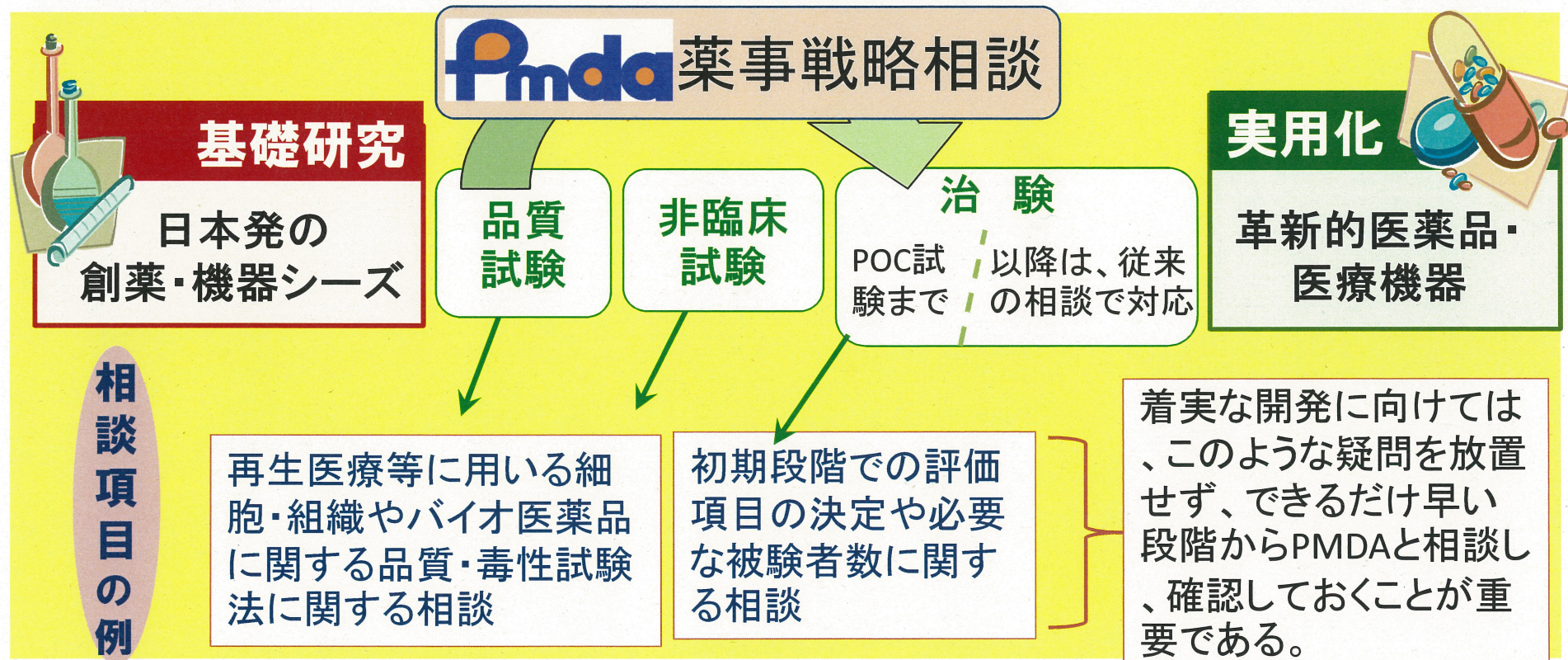


I . 薬事戦略相談のこれまでの実績について (前回懇談会以後の実績を中心に)

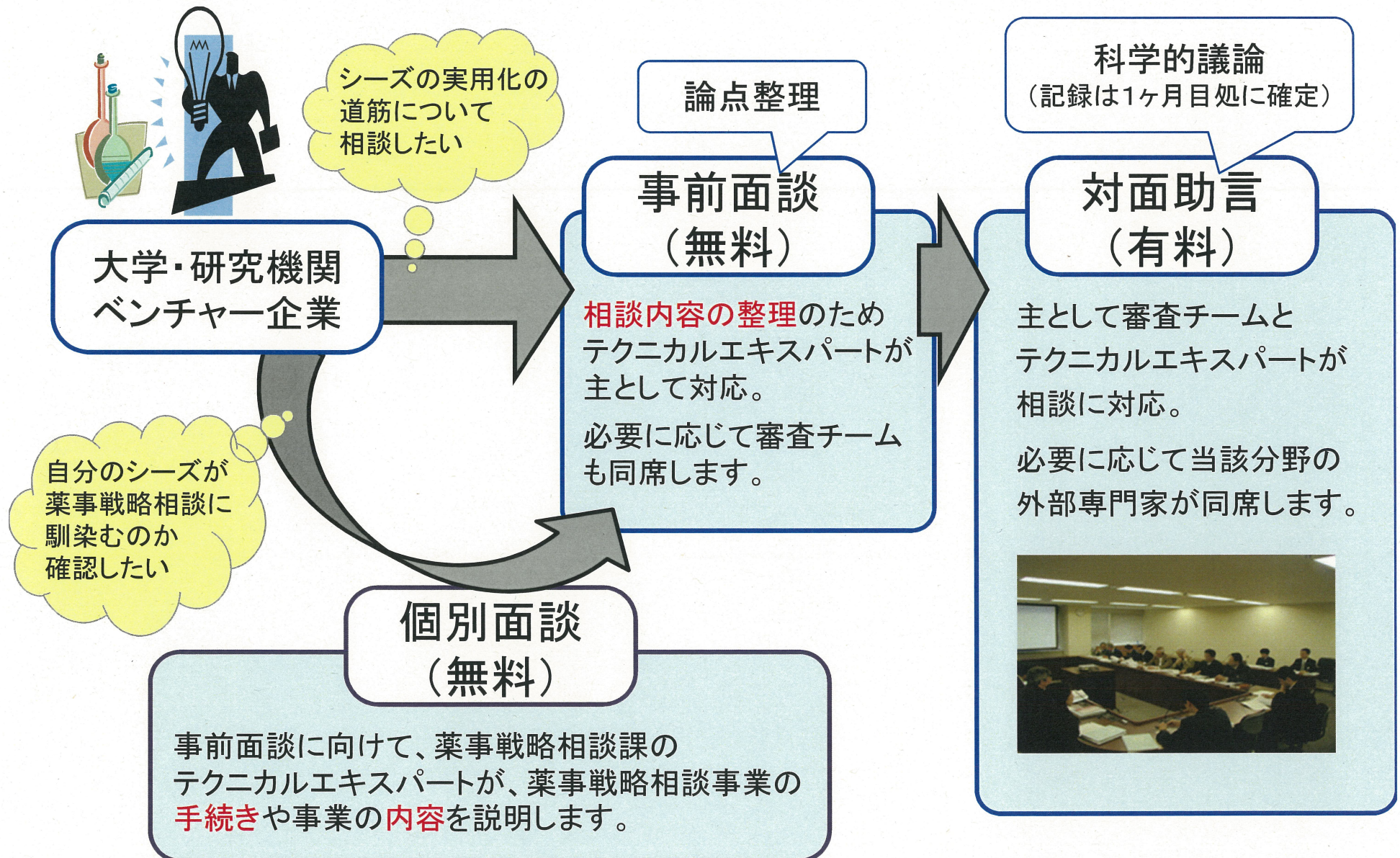
①相談実績について

薬事戦略相談について(事業の概要等)

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な品質・非臨床試験及び治験に関し、倫理面にも配慮した指導・助言を実施するものとして、平成23年7月1日より開始した。



薬事戦略のプロセスとその関係



薬事戦略相談 年度別 相談実施件数

個別面談	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度 (12月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	45	83	61	189
医療機器関係(再生医療関係を除く)	70	200	104	374
再生医療関係	3	19	15	37
合計	118	302	180	600

事前面談	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度 (12月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	71	89	115	275
医療機器関係(再生医療関係を除く)	39	93	64	196
再生医療関係	43	72	83	198
合計	153	254	262	669

対面助言	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度 (12月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	19	26	40	85
医療機器関係(再生医療関係を除く)	3	5	23	31
再生医療関係	9 (11)	9 (15)	24 (33)	42 (59)
合計	31 (33)	40 (46)	87 (96)	158 (175)

注: ()内の数値は、細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品に係る治験計画の届出を行う前に、当該製品の品質及び安全性に係る十分な確認を行うために必要な範囲で、複数日に渡って相談を行ったものを、個別に計上した場合の延べ件数。

対面助言／事前面談／個別面談 総数内訳表

※ 2011/7/1—2013/12/31までの実施ベース

個別面談	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	93	100	19	212	35%
企業・ベンチャー	70	240	13	323	54%
研究機関・その他	26	34	5	65	11%
計	189	374	37	600	
%	32%	62%	6%		100%
うち関西支部実施	5	6	1	12	

※説明会実施の際の個別面談、出張個別面談、WEB面談を含む

事前面談	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	180	90	69	339	51%
企業・ベンチャー	37	86	86	209	31%
研究機関・その他	58	20	43	121	18%
計	275	196	198	669	
%	41%	29%	30%		100%
うち関西支部実施	8	3	4	15	

※説明会実施の際の事前面談を含む

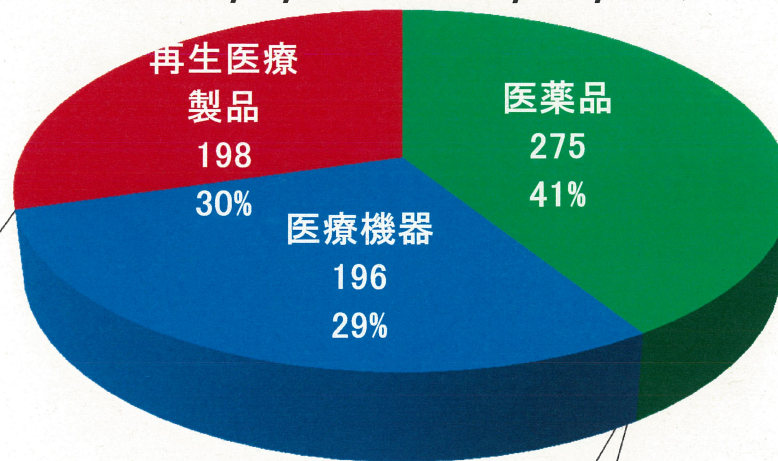
対 面 助 言	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	57	17	15(20)	89(94)	56%(54%)
企業・ベンチャー	7	10	18(26)	35(43)	22%(25%)
研究機関・その他	21	4	9(13)	34(38)	22%(22%)
計	85	31	42(59)	158(175)	
%	54%	20%	27%(34%)		100%

注：()内の数値は、細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品に係る治験計画の届出を行う前に、当該製品の品質及び安全性に係る十分な確認を行うために必要な範囲で、複数日に渡って相談を行ったものを、個別に計上した場合の延べ件数及び割合。

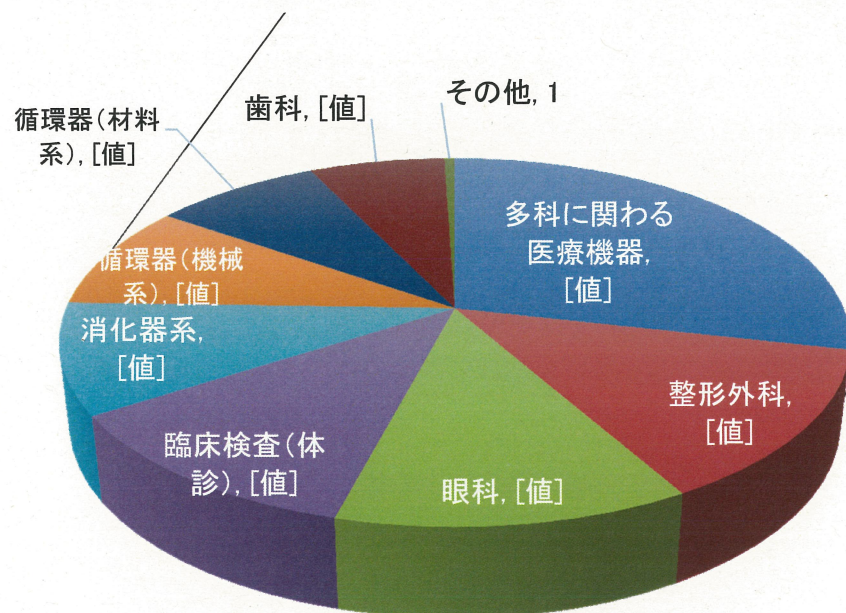
以下の集計では、延べ件数を含まない「計158」について実施。

事前面談実施件数の内訳

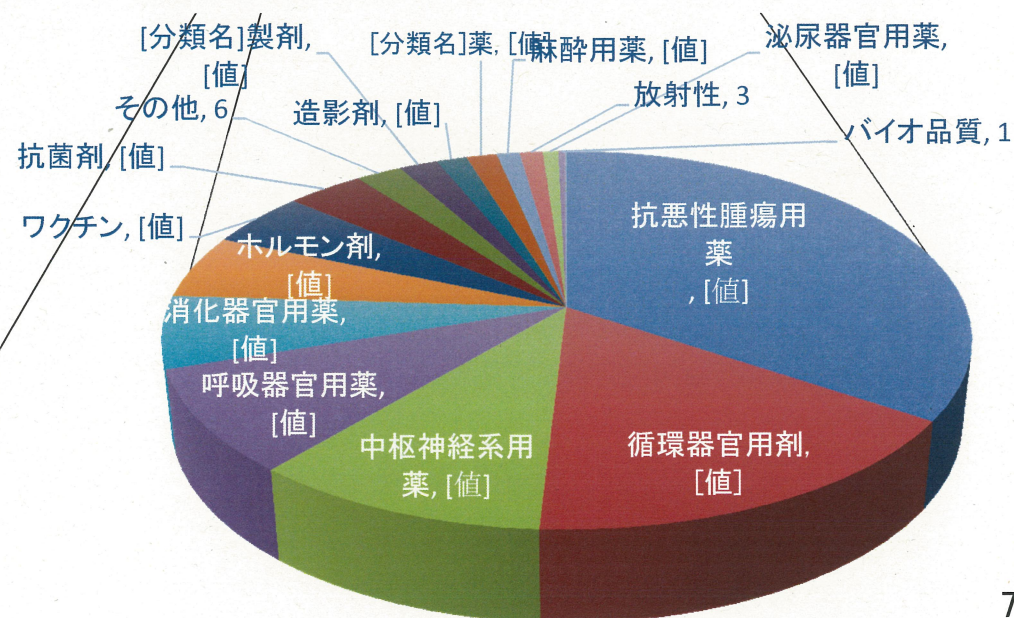
(2011/7/1～2013/12/31)



医療機器の分野別内訳(196件)

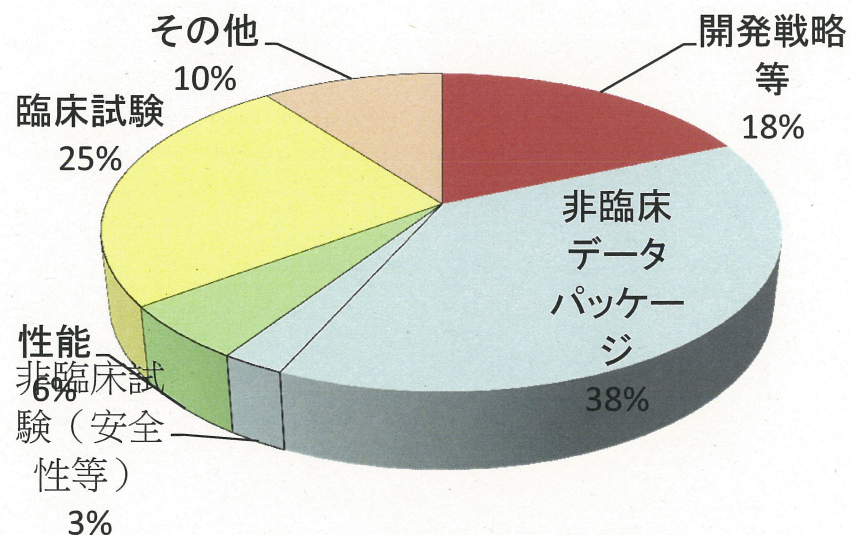


医薬品の分野別内訳(275件)

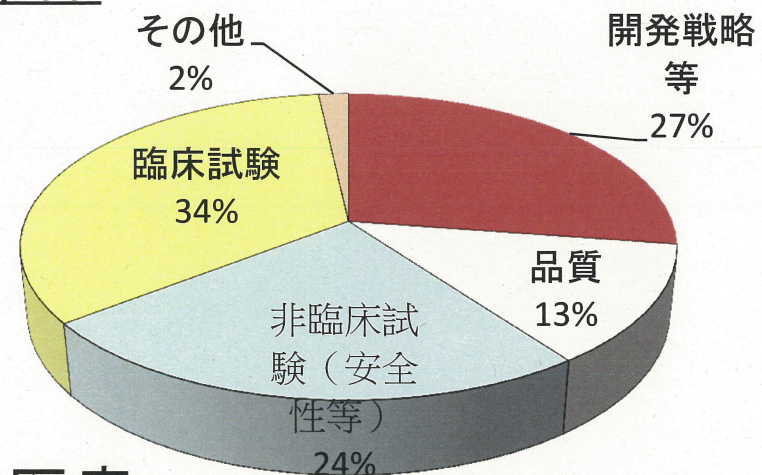


事前面談の内容

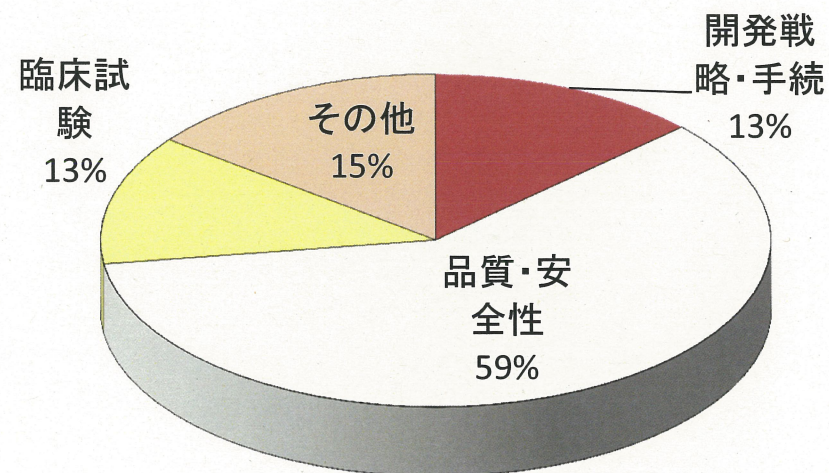
医療機器



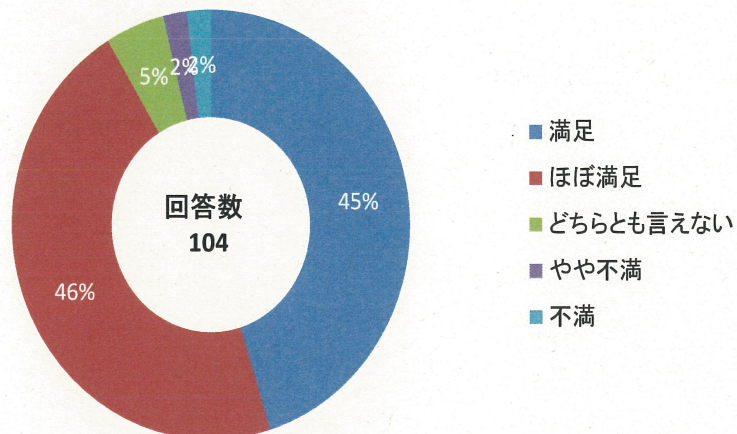
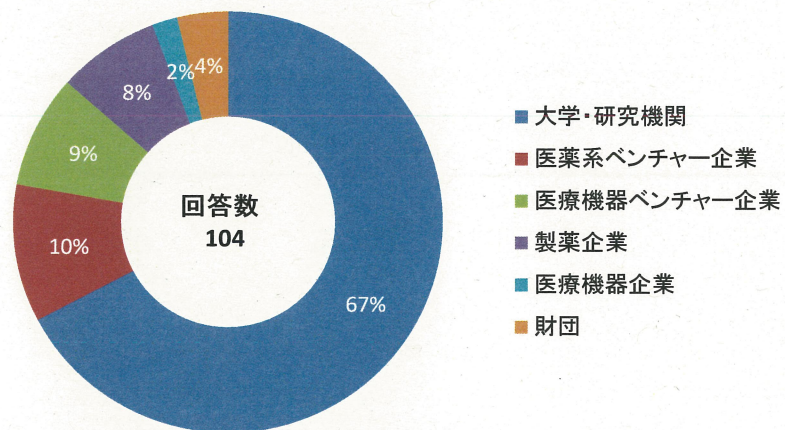
医薬品



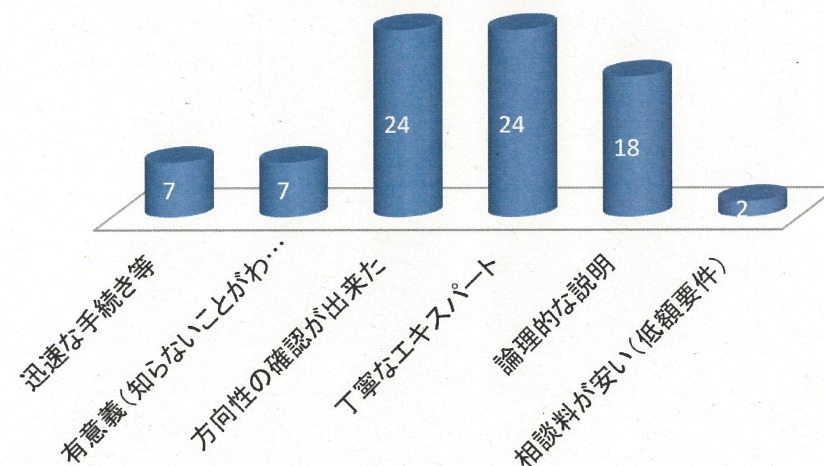
再生医療



対面助言のアンケート結果



満足した理由



やや不満: 対応が画一的

不満:

- ・フォローアップの機会がない
- ・回答不十分で内部連携不足

②薬事戦略相談・対面助言の具体的事例

薬事戦略・対面助言実施例(1): 医薬品

相談申込者(所属、氏名等)	被験物の一般的名称等	予定される投与経路 や剤型	予定される性能及び使用目的(医療機器)又は効能・ 効果(医薬品)等
(独)国立精神・神経医療研究センター神経研究所遺伝子疾患研究部 武田伸一	未定 モルフォリノ核酸	筋肉内投与および 点滴静注/注射剤	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)疾患の治療
東北大学大学院医学系研究科附属創生応用医学研究センター 宮田敏男	PAI-1阻害薬(TM5509)	経口投与/錠剤	臍帯血移植時における造血障害改善
神戸大学大学院医学研究科内科系講座小児科学分野 飯島 一誠	リツキシマブ	点滴静注/注射剤	難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群に対する寛解導入効果
九州大学病院 久保千春	薬物封入PLGAナノ粒子	点滴静注/注射剤	運動耐容能・右心不全の改善 肺高血圧症の改善
大阪大学大学院 大阪大学・金沢大学・浜松医科大学・千葉大学・福井大学連合小児発達学研究科 健康発達医学寄附講座 中神啓徳	SR-0379(新規ペプチド)	外用液剤(滴下投与)	難治性皮膚潰瘍/皮膚潰瘍治癒効果
岐阜大学大学院連合創薬医療情報研究科	P092(低分子)	経口剤/注射剤	プリオン病に対する低分子シャペロン治療薬
独立行政法人国立循環器病研究センター研究所 野尻 崇	カルペリチド	点滴静注/注射液	肺癌術後の再発抑制
(独)農業生物資源研究所 遺伝子組換えセンター 高野誠	スギ花粉症治療米	経口投与	スギ花粉症(減感作療法)
東京大学医科学研究所感染免疫部門 幸義和	MucoRice-CTB	経口ワクチン	コレラ
岩手医科大学 医歯薬総合研究所 佐々木真理	非放射性水分子MRIプロブ	静脈内投与/注射剤	脳血流量測定

薬事戦略・対面助言実施例(2):医療機器

相談申込者(所属、氏名等)	被験物の一般的名称等	予定される投与経路や剤型	予定される性能及び使用目的(医療機器)又は効能・効果(医薬品)等
CYBERDYNE(株)	ロボットスーツHAL医療用(仮称)、および、その機能の一部を用いた運動訓練装置	未定	患者に装着させて運動を行う機器であり、使用目的や効能又は効果が異なる複数のモデルを予定。
熊本大学耳鼻咽喉科・頭頸部外科 讃岐徹治	甲状軟骨固定用ブリッジ	チタンブリッジ	内転型痙攣性発声障害に対して甲状軟骨を正中切開し、切開部位を左右に開大固定するためのブリッジ。
(独)国立がん研究センター中央病院 放射線治療科 伊丹 純	加速器中性子捕捉治療装置	治療装置	加速器中性子捕捉装置によるがん治療
公立大学法人横浜市立大学附属病院 泌尿器科 窪田吉信	結紮器及び縫合器	経腔治療器具	腹圧性尿失禁治療
浜松大学医学部解剖学講座 細胞生物学分野 瀬藤光利	質量顕微鏡	未定	乳がんの層別化による適切な治療方法の選択
公立大学法人 福島県立医科大学会津医療センター 消化器内科学講座 入澤篤志	未定	胃用誘導型カプセル内視鏡システム	食道、胃疾患の診断を補助するための、食道、胃粘膜の撮像装置。
京都大学医学部付属病院 耳鼻咽喉科 伊藤壽一	手術用ロボット手術ユニット	内視鏡手術支援装置	耳鼻咽喉科領域における内視鏡手術実施に際し、術者の内視鏡手術器具操作を支援する。
大阪大学大学院医学系研究科 村瀬剛	カスタムメイド上肢骨カッティングガイド及び接合プレート	カッティングガイド:矯正等における骨手術の切削、切除、穿孔等に用いる 骨接合プレート:上肢骨の矯正後内固定	矯正部の初期固定向上による早期の上肢機能改善、手術手技の簡便化、正確性の向上

薬事戦略・対面助言実施例(3):再生医療

相談申込者(所属、氏名等)	被験物の一般的名称等	予定される投与経路や剤型	予定される性能及び使用目的(医療機器)又は効能・効果(医薬品)等
国立大学法人京都大学iPS細胞研究所 山中伸弥	iPS細胞	他家由来臨床用iPS細胞	様々な移植適合型提供者より「再生医療用iPS細胞バンク」を構築し、品質の保証されたiPS細胞及びiPS細胞から作成した移植用細胞を準備しておくことによって樹立に要する時間短縮・コスト削減の課題を解決し、より多くの難治性疾患に対する再生医療を可能とすることを目的とする
北海道公立大学法人札幌医科大学 本望修	自家骨髄間葉系幹細胞	点滴静注/注射剤	脳梗塞に伴う神経症候、日常生活動作障害、機能障害の改善
北海道大学病院 寶金清博	未定	脳内投与/注射剤	脳梗塞に対する自己培養骨髄間質細胞治療
大阪大学大学院医学系研究科 早期・探索的臨床試験拠点 姚 香景	ベベルミノゲン ペルプラスミド	心臓直接筋注投与/注射剤	重症慢性心不全患者の心機能改善
北海道大学病院 高度先進医療支援センター 佐藤典宏	未定	点滴静注/注射剤	心不全治療
千葉大学医学部附属病院未来開拓センター 黒田正幸	LCATを分泌する自家培養前脂肪細胞	皮下脂肪組織内投与/注射剤	家族性(又は先天性)LCAT欠損症ならびに低下症の改善
独立行政法人国立循環器病研究センター再生医療部 山原研一	他家羊膜由来間葉系幹細胞	点滴静注/注射剤	造血幹細胞移植後に発症した急性移植片対宿主病、クローン病
大阪大学医学部附属病院 老年・高血圧内科 森下 竜一	ベベルミノゲン ペルプラスミド	筋肉内投与、注射剤	慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症、バージャー病)における四肢潰瘍ならびに安静時疼痛の改善
三重大学大学院医学系研究科 遺伝子・免疫細胞治療学講座 珠玖 洋	MAGE-A4抗原特異的TCR遺伝子導入Tリンパ球	静脈内点滴/注射剤(細胞懸濁液)	MAGE-A4陽性の切除不能な進行・再発の食道癌
独立行政法人理化学研究所 統合生命医科学研究センター 藤井眞一郎	他家由来免疫賦活細胞	静脈内投与/注射剤	癌に対する自然免疫・獲得免疫の両方を活性化作用
九州大学薬学研究院 米満吉和	ヒト塩基性線維芽細胞増殖因子遺伝子を発現するF遺伝子非伝搬型遺伝子組換えセンダイウイルスベクター	局所筋肉注射/凍結溶液剤	下肢慢性動脈硬化症における間歇性跛行、安静時疼痛の改善

薬事戦略相談対面助言の実施とプロジェクトの進捗－1 (医薬品関係)

相談申込者	被験物の名称及び識別記号	予定投与経路や剤型	予定される性能、使用目的、効能又は効果等	薬事戦略相談を初めて申し込んだときの状況	現状（2014年3月現在）
(独)国立精神・神経医療研究センター神経研究所遺伝子疾患研究部 武田伸一	モルフォリノ核酸(NS-065/ NCNP- 01)	筋肉内投与および点滴静注/注射剤	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)疾患の治療	2011年9月 (最初の事前面談) 品質規格及び治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに2回の対面助言を実施(2011年12月及び2013年3月) ・2013年5月 第Ⅰ相試験の治験届提出 ・2014年1月 コホート1(1.25mg/kg)について全例の投与が終了。 ・2014年1月 コホート2(5mg/kg)について1例目の投与開始。 継続中
東北大学大学院医学系研究科附属創生応用医学研究センター 宮田敏男	PAI-1阻害薬 (TM5509)	経口投与/錠剤	臍帯血移植時における造血促進	2011年11月 (最初の事前面談) 治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに2回の対面助言を実施(2012年3月及び2013年1月) ・2013年5月 第Ⅰ相試験(低用量)の治験届提出、10月に低用量終了。 ・2014年1月 第Ⅰ相試験(高用量)の治験届提出、継続中

薬事戦略相談対面助言の実施とプロジェクトの進捗-2 (再生医療及び医療機器関係)

相談申込者	被験物の名称及び識別記号	予定投与経路や剤型	予定される性能、使用目的、効能又は効果等	薬事戦略相談を初めて申し込んだときの状況	現状（2014年3月現在）
国立大学法人 京都大学iPS細胞研究所 山中伸弥1	iPS細胞	他家由来臨床用iPS細胞	様々な移植適合型提供者より「再生医療用iPS細胞ストック」を構築し、品質の保証されたiPS細胞及びiPS細胞から作成した移植用細胞を準備しておくことによって樹立に要する時間短縮・コスト削減の課題を解決し、より多くの難治性疾患に対する再生医療を可能とすることを目的とする。	薬事戦略相談制度開始前に審査部との面談を実施済 2011年9月 （最初の対面助言） iPS細胞の製造工程及び品質規格について検討開始	対面助言は1回 対面助言を踏まえて、現在、他家iPS細胞ストック作成のプロセスを構築中（健常者より細胞採取を開始） 培養に使用する培地成分に含まれる生物由来原料基準への適合性を検討中、2014年6月には製造開始予定
北海道公立大学法人札幌医科大学 本望 修	自家骨髄間葉系幹細胞	点滴静注/注射剤	脳梗塞に伴う神経症候、日常生活動作障害、機能障害の改善	2011年10月 （最初の事前面談） 品質規格及び治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに5回の対面助言を実施（2011年12月～2012年11月）：うち1回はGMPの観点から施設の現地調査を実施 2013年3月 第Ⅰ/Ⅱ相の治験を開始、近く1例目の経過観察終了、継続中。 2013年10月 別効能（脊髄損傷）に対する治験届を提出、継続中
CYBERDYNE(株)	ロボットスーツHAL医療用(仮称)、および、その機能の一部を用いた運動訓練装置	未定	患者に装着させて運動を行う機器であり、使用目的や効能又は効果が異なる複数のモデルを予定。	2011年9月 （最初の事前面談） 非臨床試験データパッケージ及び開発戦略について検討開始	これまでに2回の対面助言（2012年3月及び2013年5月）を実施 2013年2月オーファン用の装置については、通常の対面助言でプロトコル相談を実施後、現在、新潟病院にて治験中。 単関節等の他の装置については、今後、治験を実施予定

③充実に向けたこれまでの取組み及び最近の動き

薬事戦略相談に関する前回懇談会以降の取り組み

■ WEBを利用した会議の実施

- 平成25年10月に関西支部を設置し、WEB会議の常設化

◆ 10月～12月で15件の事前面談をWEB会議で実施

■ 薬事戦略広報パンフレットの作成/活用

- 専用パンフレットを作成し、面談、学会ブース展示等で配布

◆ これまでに8,000部程度を配布済み

■ 事前面談利用者のフォローアップ

- 平成25年7月以降は、事前面談実施後6ヶ月を経過した時点で電話での状況確認を実施し、薬事戦略相談制度の活用を促している。

■ 関係機関との連携強化:

- 福島県主催の会出張個別面談の実施
- 文部科学省・橋渡し研究加速ネットワークとの意見交換
- 地方経済産業局担当者との意見交換 等

最近の動き

○7月1日

遺伝子治療用医薬品の確認申請が廃止され、薬事戦略相談に移行

○10月1日

- ・関西支部設立

（開所式、開所記念シンポジウム）

- ・関西支部においても薬事戦略相談を実施

【大阪】 事前面談（Web会議）、個別面談

関西支部（グランフロント大阪 ナレッジキャピタル タワーC 9階）

【神戸】 個別面談（原則、毎月第3水曜日）

薬事戦略相談連携センター（国際医療開発センター（IMDA） 2階）



○11月19日 「PMDA薬事戦略フォーラム」開催（全社協・灘尾ホール）

- ・参加者数 367人

- ・薬事戦略相談を踏まえて実用化への取り組みが進められている具体的な事例について、各機関の先生方から報告された。

遺伝子治療確認申請制度の廃止及び PMDAが行う薬事戦略相談への代替について

平成 7年 薬発第1062号により、遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性に係る指針を定め、大臣確認申請制度を開始

平成 14年 指針の改正（臨床研究と治験での重複審査の軽減、治験前的大臣確認申請を要件化）

平成 25年 薬発第0701号により、遺伝子治療用医薬品における確認申請制度が平成25年8月31日をもって廃止され、治験計画の届出を行う前に品質及び安全性を確認するため薬事戦略相談を適切に活用するよう通知された



平成26年2月申込分までで、5件の対面助言を実施済み

PMDA関西支部の設置について

- 【設置場所】 **うめきた・グランフロント大阪ナレッジキャピタル 9F**（大阪市北区大深町3-1）
「薬事戦略相談連携センター」（神戸市内のIMDA:国際医療開発センター内）においても出張薬事戦略相談を実施。
- 【設置時期】 平成25年10月1日
- 【実施業務】 ①**薬事戦略相談**（個別面談・事前面談。平成25年10月1日開始）
②**GMP実地調査**（平成26年4月1日開始予定）

