

# 医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の 先駆け審査指定制度について

1. 指定基準
2. 制度の内容
3. 指定手続き

# 1. 指定基準

## ①治療方法／診断法の画期性について

原則として、医療機器では新規原理、体外診断用医薬品では新規原理／新規測定項目、再生医療等製品では新規作用機序を有するもの（新医療機器等）

## ②一刻も早い実用化が求められている疾患について

以下のいずれかの疾患に該当するもの

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 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対象疾患に係る著明な有効性について

既存の治療法／診断法がない又は既存の治療法／診断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・申請されるものについて

日本における早期からの開発を重視し、世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のもの。なお、非臨床試験までの結果により、有効性等が一定程度期待できる製品であって、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

※指定段階で、世界で一番早く日本に申請を目指していることが確認できれば、他国の開発優遇制度との重複指定は問題ない。

## 2. 制度の内容

### ①優先相談

〔 2か月 → 1か月 〕

⇒優先対面助言として、搬入資料を用意した上で随時募集対応とすることで、事実上1ヶ月で実施する（資料搬入は4週間前）。

### ②事前評価の充実

〔 実質的な審査の前倒し 〕

⇒先駆け審査指定を受けた品目は原則として、事前の相談制度を活用する。

⇒精度の高い相談資料及び確定的な相談記録の要求は時間と負荷が増加するため、相談資料・相談結果記録をより簡便なものとする新たな相談枠を設定する。

### ③優先審査

〔12か月→6か月（医療機器の場合）〕

⇒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、例えば、医療機器の総審査期間の目標を6か月に短縮する。

### ④審査パートナー制度

〔 PMDA版コンシェルジュ 〕

⇒専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定し、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する。

# 3. 指定手続き

## ステップ1：試行運用開始と公募

- ◆ PMDAの特定の分野に案件が集中した場合、事務処理が滞り結果として有効なサービスの実現が困難となる恐れがあるため、初年度は試行として、医薬品と同様に公募形式から制度運用を開始する。
- ◆ 平成27年度中に品目の指定を実施する。

## ステップ2：候補品目に関するヒアリングと予備的選別

- ◆ 応募された候補品目に関するヒアリングを医療機器・再生医療等製品担当参事官室にて実施し、指定基準に該当する可能性があるものを予備的に選別するとともに、評価用の資料の整備を行う。

## ステップ3：評価と順位付け

- ◆ 応募案件を集計評価し、指定基準への適合性を確認し、適合した中でも優先順位をつける（通常の審査に悪影響を及ぼさない範囲で、上位の品目を指定（試行運用開始））。

## ステップ4：指定と分科会報告

- ◆ 評価結果に基づいて、先駆け審査指定品目を指定するとともに公表。
- ◆ 指定結果について直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告。

※指定基準に該当しないことが明確になった場合には指定を取消し、直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告。

# 参考資料

## 医薬品の先駆け審査指定制度

(平成26年度第5回薬事・食品衛生審議会薬事分科会 資料No.34)

# 「日本再興戦略」改訂2014

－未来への挑戦－

平成26年6月24日

薬事分科会  
資料No.34

## 第二 3つのアクションプラン

### 二. 戦略市場創造プラン

テーマ1: 国民の「健康寿命」の延伸

(3) 新たに講ずべき具体的施策

V) その他

②世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器等の実用化の推進(「先駆けパッケージ戦略」)

早期の治験段階で著明な有効性が見込まれるとして指定した医薬品等について、実用化までの承認審査期間の半減（12か月から6か月へ短縮）を目指す「先駆け審査指定制度」の創設など、各種施策をパッケージで推進することにより、世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患（希少がん、難病等重篤な疾患）等の革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、日本の早期実用化を目指す。



# 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)

基礎・応用研究  
非臨床試験

臨床研究・治験

審査・薬事承認

保険  
適用

企業活動  
の基盤・  
環境整備

国際展開

## 各ステージへの支援により開発を加速化

薬事戦略相談と創薬支援ネットワークの連携

適応外使用開発・ドラッグリポジショニング(DR)の支援

ヒトiPS細胞を用いた安全性評価法の開発・国際基準化

官民共同による医薬品開発等の促進

臨床研究中核病院・NCによる質の高い臨床研究の実施  
難病研究班との連携

オーファ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等の早期指定・研究開発支援の拡充

医療ICT化の推進による創薬支援  
・医療情報DBの構築  
・治験の効率化・迅速化、薬事承認審査への活用

PMDA自らによるモデリング&シミュレーション(MS)解析

事前評価相談制度の活用

市販後安全対策の強化  
・患者登録システム構築推進  
・バイオマーカー研究

薬価制度の予見可能性の向上等  
・新薬創出・適応外薬解消等促進加算に係る検討等

産業競争力の強化・税制等の活用促進、人材育成等の基盤・環境整備

中小企業・ベンチャー企業支援  
・審査手数料の助成・融資制度について、在り方の検討

難病・がん研究班の臨床研究データの製造販売後調査への活用

輸出促進を目指し、開発から承認に至るプロセスの相手国との相互理解推進

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. 世界に先駆けて開発され、日本に最初(世界同時申請も可)に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

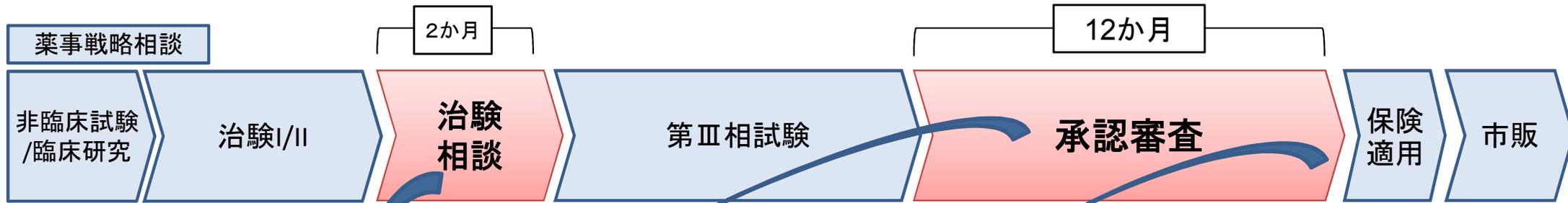
〔 再審査期間の延長 〕

- 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

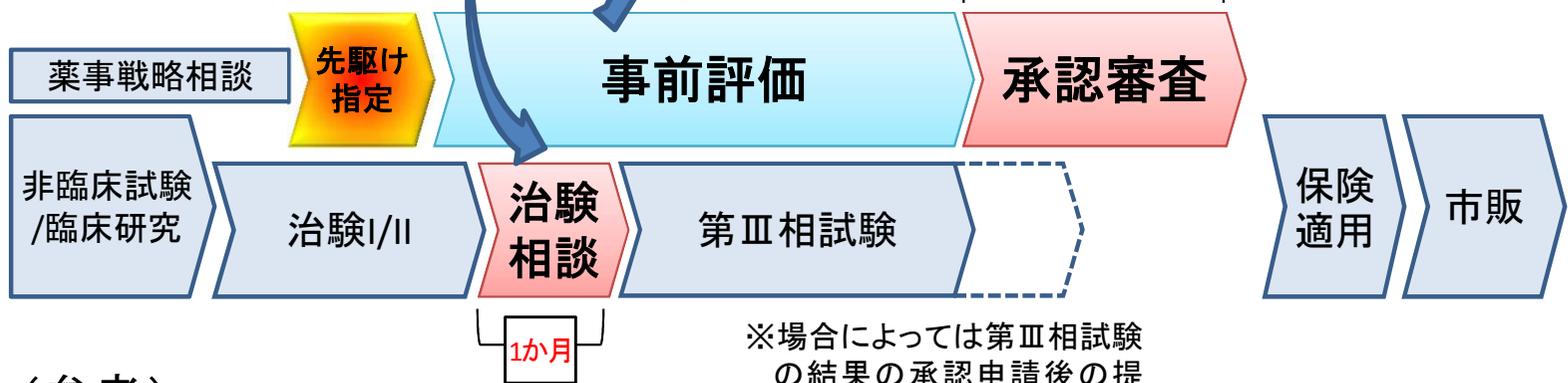
## 指定手続

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。

### 【通常の承認審査の場合】



### 【先駆け指定を受ける場合】



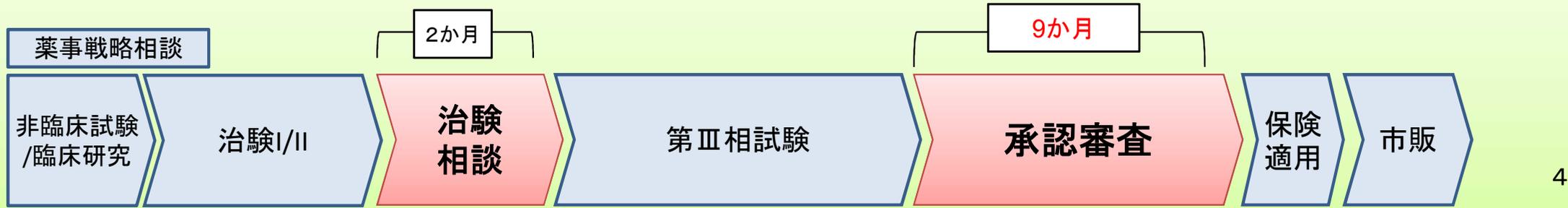
**革新的医薬品等の  
早期実用化**

(参考)

※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

⑤製造販売後の安全対策充実(再審査期間等)

### 【優先審査の場合】



# 1. 指定基準

## ①治療方法の画期性について

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、革新的な薬物送達システムを用いているものなどで、その結果、大幅な改善が見込まれるものも含む。）

## ②一刻も早い実用化が求められている疾患について

以下のいずれかの疾患に該当するもの

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 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対象疾患に係る著明な有効性について

既承認薬が存在しない又は既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の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・申請されるものについて

日本における早期からの開発を重視し、世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のもの。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下のいずれか若しくは両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ FIH試験が日本で行われたもの、
- ・ POC試験が日本で行われたもの

※指定段階で、世界で一番早く日本に申請を目指していることが確認できれば、他国の開発優遇制度との重複指定は問題ない。

## 2. 制度の内容

### ①優先相談 [ 2か月 → 1か月 ]

⇒優先対面助言として、搬入資料を用意した上で随時募集対応とすることで、事実上1ヶ月で実施する（資料搬入は4週間前）。

### ②事前評価の充実 [ 実質的な審査の前倒し ]

⇒半期に1回募集し、選択しているところ、先駆け審査指定を受けた品目は原則として、全て事前評価可能とする。

⇒精度の高い相談資料及び確定的な相談記録の要求は時間と負荷が増加するため、相談資料・相談結果記録をより簡便なものとする新たな相談枠を設定する。

### ③優先審査 [ 12か月 → 6か月 ]

⇒審査、GMP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か月に短縮する。

### ④審査パートナー制度 [ PMDA版コンシェルジュ ]

⇒専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定し、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 [ 再審査期間の延長 ]

⇒法律の範囲内で合理的に設定（次ページ参照）。

# 2. 制度の内容

## ～⑤製造販売後の安全対策充実～

### 現状の再審査期間

「六年を超える期間当該医薬品の副作用によるものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又はその使用によるものと疑われる感染症その他の使用の成績等に関する調査が必要」性を評価して、6～10年で設定

既承認薬と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が、明らかに異なる

No

Yes

希少疾病用医薬品その他厚生労働省令で定める医薬品に該当

10年

- ◆ 希少疾病用医薬品
- ◆ 疫学調査が必要な医薬品

8年

- ◆ 新有効成分含有医薬品

※H19.4.1に6年から延長

再審査期間  
設定せず

Yes

No

既承認薬と効能又は効果のみが明らかに異なる

4年

- ◆ 新効能医薬品
- ◆ 新用量医薬品

Yes

No

6年

- ◆ 新医療用配合剤
- ◆ 新投与経路医薬品

6年を超え  
10年以下

6年未満

6年

# 3. 指定手続き

## ステップ1：試行運用開始と公募

- ◆ PMDAの特定の審査部に案件が集中した場合、事務処理が滞り結果として有効なサービスの実現が困難となる恐れがあるため、初年度は試行として、事前評価相談と同様に公募形式から制度運用を開始する。
- ◆ 平成27年度始めに通知を発出し、1ヶ月程度の周知期間の後に、候補品目を公募する。

## ステップ2：候補品目に関するヒアリングと予備的選別

- ◆ 応募された候補品目に関するヒアリングを審査管理課にて実施し、指定基準に該当する可能性があるものを予備的に選別するとともに、評価用の資料の整備を行う。

## ステップ3：評価と順位付け

- ◆ PMDAの審査部別に応募案件を集計評価し、指定基準への適合性を確認し、適合した中でも優先順位をつける。特に優れていると判断されたものを選定する。

## ステップ4：指定と分科会報告

- ◆ 評価結果に基づいて、先駆け審査指定品目の指定するとともに公表。
- ◆ 指定結果について直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

※指定基準に該当しないことが明確になった場合には指定を取消し、直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告。