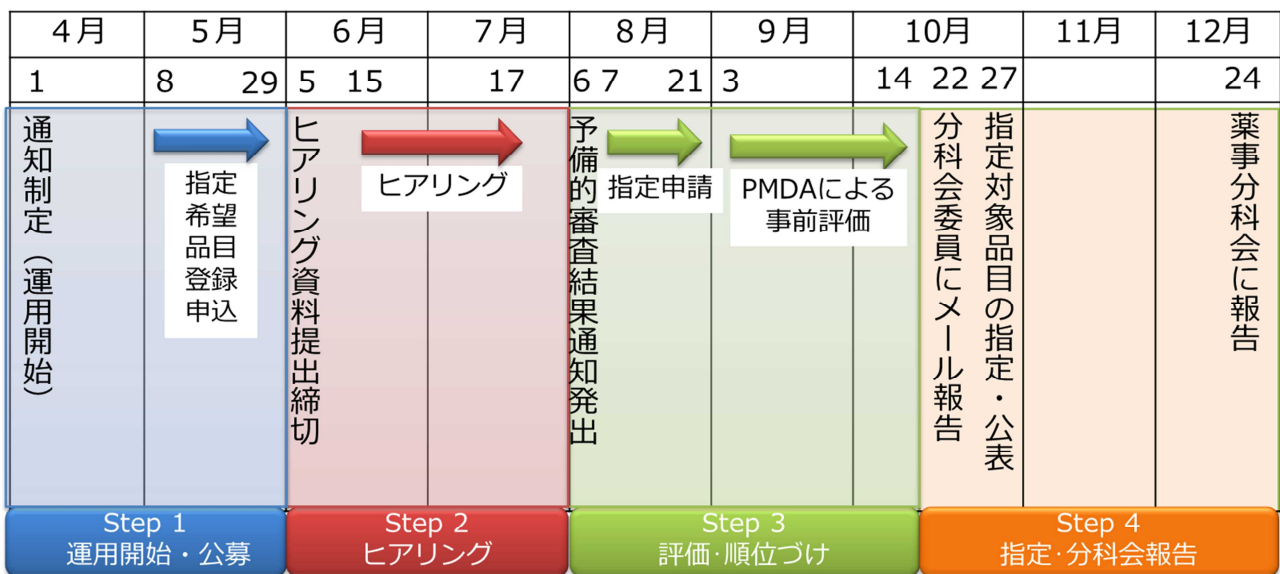


医療用医薬品の先駆け審査指定制度の指定結果について

平成 27 年 12 月 24 日

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課

1. 先駆け審査指定制度の試行的運用の状況について2. 指定申請品目(1) 企業から指定希望品目として登録申込がなされた品目数 **56 品目**(2) (1) のうち、企業から正式に指定申請された品目数 **50 品目**^{※1}

※1：9月17日開催の薬事分科会では、指定申請品目数を51品目としていたが、薬事分科会後に申請者から1品目について指定申請の取下げがあった。

3. 指定品目

別紙1の6品目については、指定要件^{※2}に照らして特に優れていると判断できることから、薬事分科会委員にメールにてご報告の上、10月27日（火）付けで医療用医薬品に係る先駆け審査指定制度の対象品目として指定し、別紙2のとおり公表した。

※2：指定要件

①治療薬の画期性

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対象疾患の重篤性

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対象疾患に係る極めて高い有効性

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・申請する意思

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

品目名	予定効能	申請者	指定理由
1 シロリムス (NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ (株)	<p>① 他疾患には本薬と同一作用機序の既承認薬が存在するが、本疾患への適応は初めてである。</p> <p>② 指定難病である結節性硬化症に特異的な顔面皮膚症状であり、根治療法がない。</p> <p>③ 本疾患に対しては既承認薬が存在しない。</p> <p>④ 国内第Ⅲ相試験が計画中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2 NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	日本新薬 (株)	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② 指定難病であり、生命に重大な影響がある重篤な疾患。</p> <p>③ 国内第Ⅰ相試験の結果、忍容性は良好であり、既承認薬と比較して歩行可能期間の延長等の生命予後の改善が期待できる。</p> <p>④ 国内第Ⅰ/Ⅱ相試験が計画中であり、世界に先駆けて日本で承認申請又は日本を含めて世界同時に承認申請予定。</p>
3 S-033188	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)	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② インフルエンザウイルス感染症は、高齢者や小児を中心に重症な肺炎や脳症を引き起こす場合があり、死亡例も報告されている。</p> <p>③ 非臨床試験の結果、既承認薬よりも高い抗ウイルス活性や既承認薬抵抗性ウイルスへの効果が確認されており、既承認薬と比較して著しく高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国内第Ⅰ相試験実施済みで、国内第Ⅱ相試験が計画中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
4 BCX7353	遺伝性血管浮腫の患者を対象とした血管性浮腫の発作管理	(株) Integrated Development Associates	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序であり、本疾患に対する予防投与は初めてである。</p> <p>② 本疾患は、指定難病である原発性免疫不全症候群の1つであり、上気道閉塞により死亡に至る場合がある。</p> <p>③ 既承認薬である「ベリナート」は、本疾患の治療のみの適応であり、医療機関での投与が必須のため緊急時の治療が困難な場合があることから、予防効果が期待でき、経口可能である本薬は医療上の必要性が高いと考えられる。</p> <p>④ 国内第Ⅰ相試験が実施中、また、国内第Ⅱ/Ⅲ相試験が計画中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
5 ASP2215	初回再発又は治療抵抗性のFLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	アステラス製薬 (株)	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② 生命に重大な影響がある重篤な疾患。</p> <p>③ 海外第Ⅰ/Ⅱ相試験の結果、61/106例(57.5%)に寛解が認められており、既承認薬と比較して著しく高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国際共同第Ⅲ相試験が実施中であり、日本を含めて世界同時に承認申請予定。</p>
6 ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	治療切除不能な進行・再発の胃癌	MSD (株)	<p>① 他疾患には本薬と同一作用機序の既承認薬が存在するが、本疾患への適応が初めてである。</p> <p>② 生命に重大な影響がある重篤な疾患。</p> <p>③ 国際共同第Ⅰb相試験の結果、8/36例(22.2%)に寛解が認められており、既承認薬と比較して著しく高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国際共同第Ⅱ相試験及び第Ⅲ相試験が実施中であり、日本を含めて世界同時に承認申請予定。</p>

(注) 指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品が必要とされる場合には併せて対応を行う。

Press Release

報道関係者 各位

平成 27 年 10 月 27 日

【照会先】

医薬・生活衛生局審査管理課

課長補佐 清原 宏真(内線 2746)

審査調整官 廣元 健一(内線 2740)

(代表電話) 03(5253)1111

(直通電話) 03(3595)2431

「先駆け審査指定制度」の対象品目を初めて指定しました

～ 6 品目の医薬品を指定。目標審査期間を通常の半分の 6 か月に短縮～

厚生労働省は、今年 8 月に指定申請があった 50 品目の医薬品について評価を行い、本日付で以下の 6 品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として初めて指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用*することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

【対象品目】

医薬品の名称	予定される効能または効果	申請者の氏名または名称
シロリムス (NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ株式会社
NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	日本新薬株式会社
S-033188	A 型または 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
BCX7353	遺伝性血管浮腫 (HAE) の患者を対象とした血管性浮腫の発作の管理	株式会社 Integrated Development Associates
ASP2215	初回再発または治療抵抗性の FLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	アステラス製薬株式会社
ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	MSD 株式会社

※指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品が必要とされる場合には併せて対応を行う。

[参考] 先駆け審査指定制度について

* 指定制度の内容は、①優先相談 ②事前評価の充実 ③優先審査の 3 つの取組で期間の短縮を実施
④審査パートナー制度 (独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) が実施) ⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取組で、開発の促進を支援。

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。

1



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～

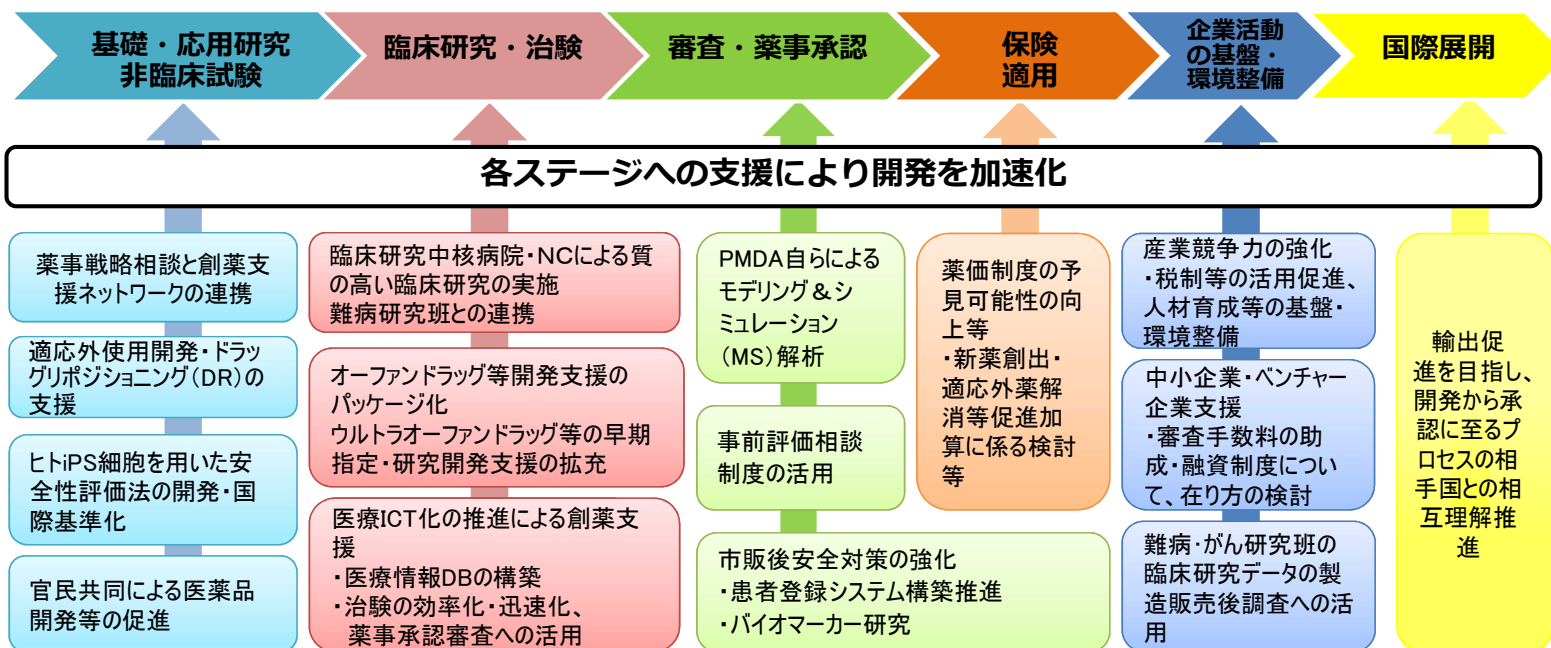
世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患等(希少がん、難病等重篤な疾患)に対し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等を日本で早期に実用化すべく、基礎研究から臨床研究・治験、審査・安全対策、保険適用、国際展開までを一環として支援する戦略パッケージを推進。

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)

2

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

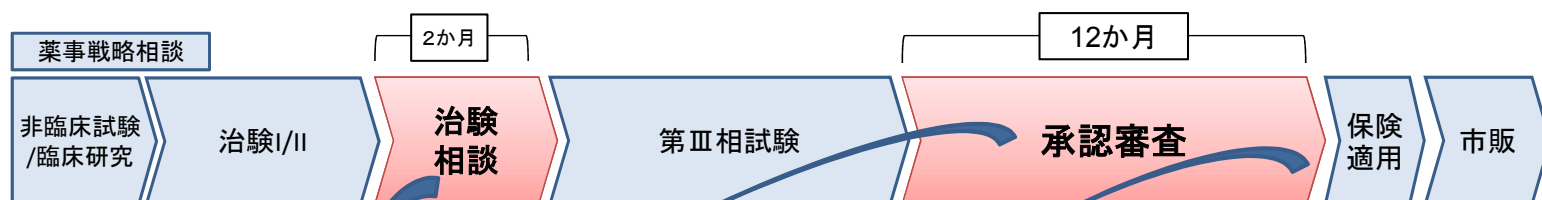
指定手続

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。

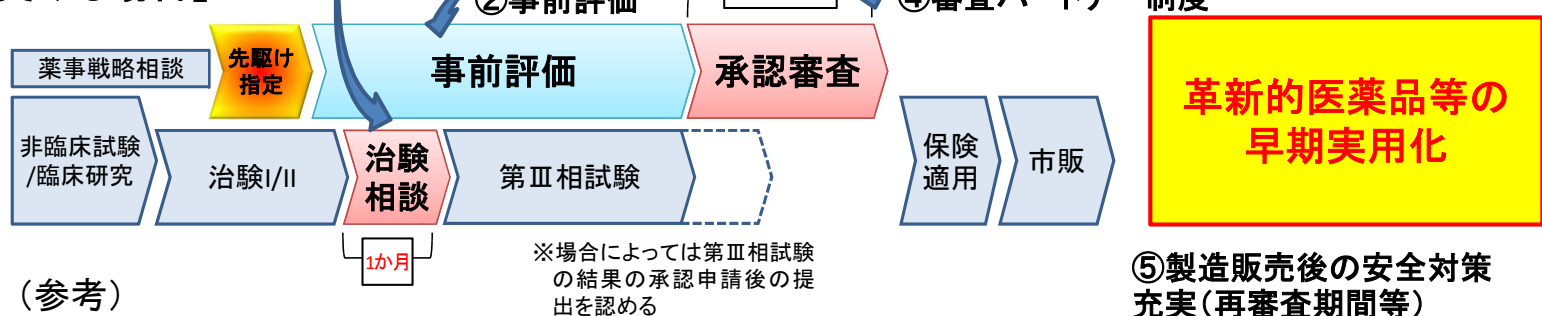
3

先駆け審査指定制度のイメージ

【通常の承認審査の場合】

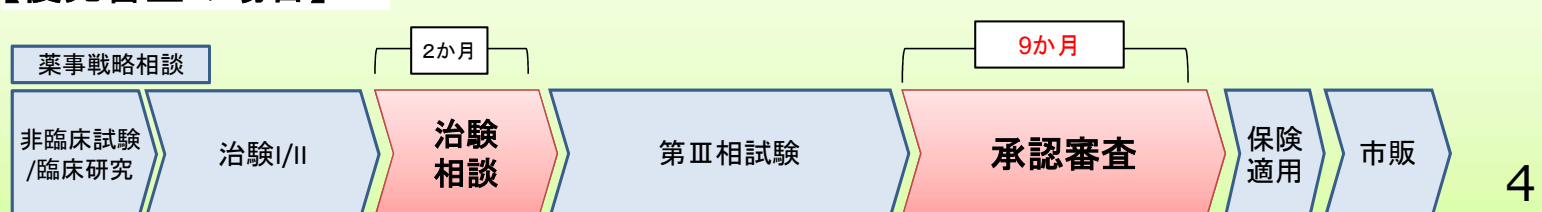


【先駆け指定を受ける場合】



(参考)

【優先審査の場合】



4

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。

5

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）。

6

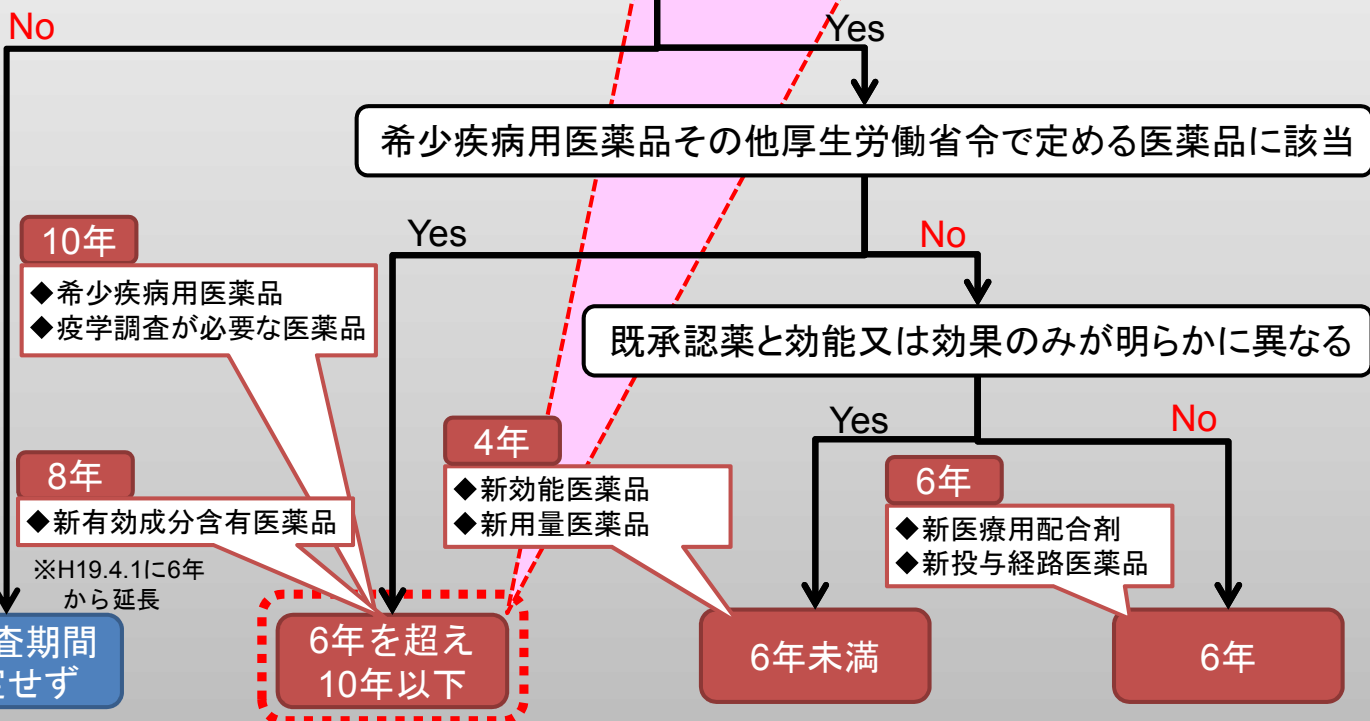
2. 制度の内容

～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



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。