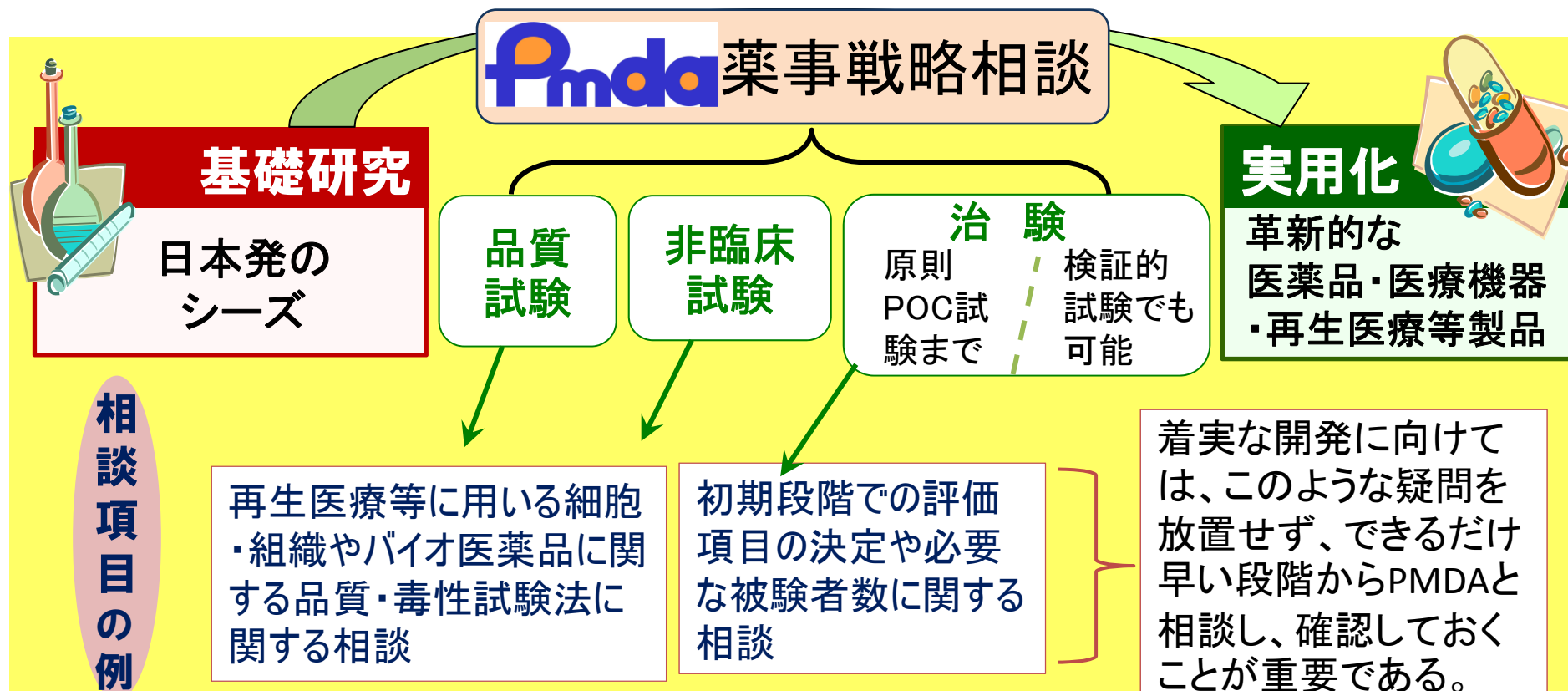


I . 薬事戦略相談のこれまでの実績について

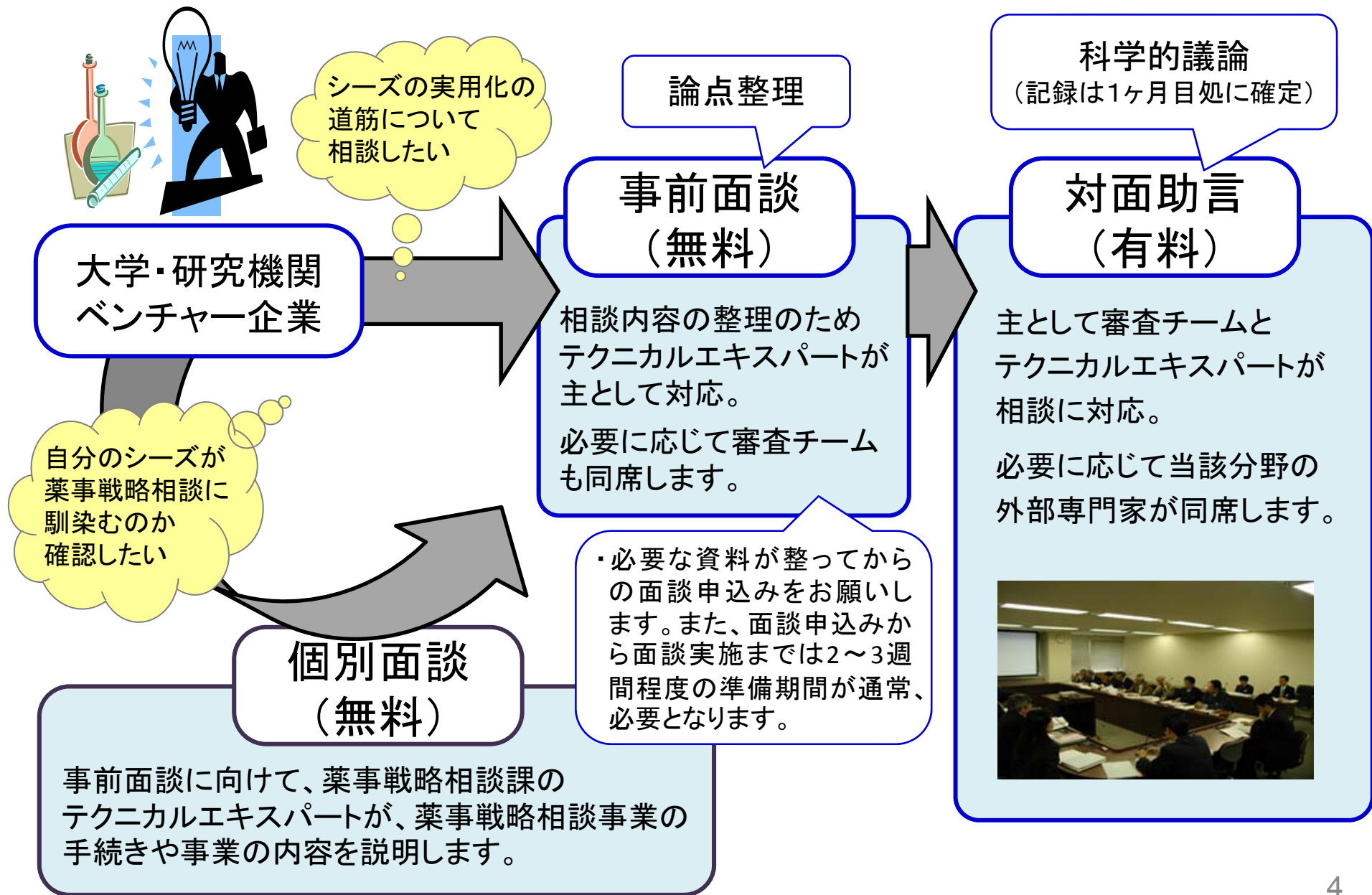
(1) 相談実績について

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・再生医療等製品の創出に向け、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。



薬事戦略相談のプロセスとその関係



薬事戦略相談 実施件数

速報値

個別面談／事前面談	平成23年度 (注1)	平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度 (2月末まで)	合計
個別面談（うち関西支部実施(注2)）	118	302	237 (20)	271 (63)	201 (52)	1,129 (135)
事前面談(注3)(うち関西支部実施(注2))	153	254	346 (26)	325 (57)	377 (57)	1,455 (140)

対面助言	平成23年度 (注1)	平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度 (2月末まで)	合計
医薬品戦略相談	20	28	66	48	45	207
医療機器戦略相談	6	5	38	16	15	80
再生医療等製品戦略相談(注4)	-	-	-	2	8	10
再生医療等製品等の品質及び 安全性に係る相談(注5)	5 [7]	7 [13]	19 [32]	18 [44]	25 [48]	74 [144]
薬事開発計画等戦略相談(注6)	-	-	-	1	0	1
合計	31 [33]	40 [46]	123 [136]	85 [111]	93 [116]	372 [442]

注1:薬事戦略相談事業は、H23.7.1から実施。

注2:H25.10.1から実施。

注3:事前面談には、特区医療機器薬事戦略相談に係る特区事前面談1件を含む。(特区医療機器薬事戦略相談はH27.11.20から開始)

注4:H26.11.25から実施。(それまでは医薬品戦略相談又は医療機器戦略相談として実施。)

注5:H26.11.24まで医薬品戦略相談として受付けたものを含む。また、[]内の数値は、再生医療等製品等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。

注6:H26.11.25から実施。

個別面談／事前面談／対面助言 総数内訳表

速報値

※ 2011/7/1～2016/2/29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	177	170	41	388	34%
企業・ベンチャー	108	482	46	636	56%
研究機関・その他	36	56	13	105	9%
計	321	708	100	1,129	
%	28%	63%	9%		100%
うち関西支部実施	39	78	18	135	

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	428	206	190	824	57%
企業・ベンチャー	68	118	220	406	28%
研究機関・その他	110	39	76	225	15%
計	606	363	486	1,455	
%	42%	25%	33%		100%
うち関西支部実施	71	28	41	140	

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	131	45	41 (61)	217 (237)	58% (54%)
企業・ベンチャー	19	18	54 (90)	91 (127)	24% (29%)
研究機関・その他	41	5	18 (32)	64 (78)	17% (18%)
計	191	68	113 (183)	372 (442)	
%	51%	18%	30% (41%)		100%

注：()内の数値は、再生医療等製品等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。

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	平成26年度	平成27年度 (2月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	45	83	78	58	57	321
医療機器関係(再生医療関係を除く)	70	200	134	184	120	708
再生医療関係	3	19	25	29	24	100
合計	118	302	237	271	201	1,129

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	平成26年度	平成27年度 (2月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	71	89	147	139	160	606
医療機器関係(再生医療関係を除く)	39	93	91	67	73	363
再生医療関係	43	72	108	119	144	486
合計	153	254	346	325	377	1,455

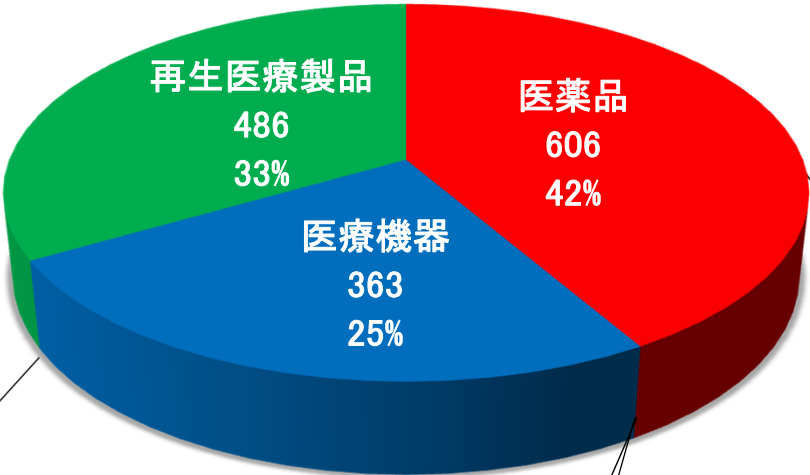
対面助言	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度 (2月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	19	26	58	45	43	191
医療機器関係(再生医療関係を除く)	3	5	33	13	14	68
再生医療関係	9 (11)	9 (15)	32 (45)	27 (53)	36 (59)	113 (183)
合計	31 (33)	40 (46)	123 (136)	85 (111)	93 (116)	372 (442)

注：（）内の数値は、再生医療等製品等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。

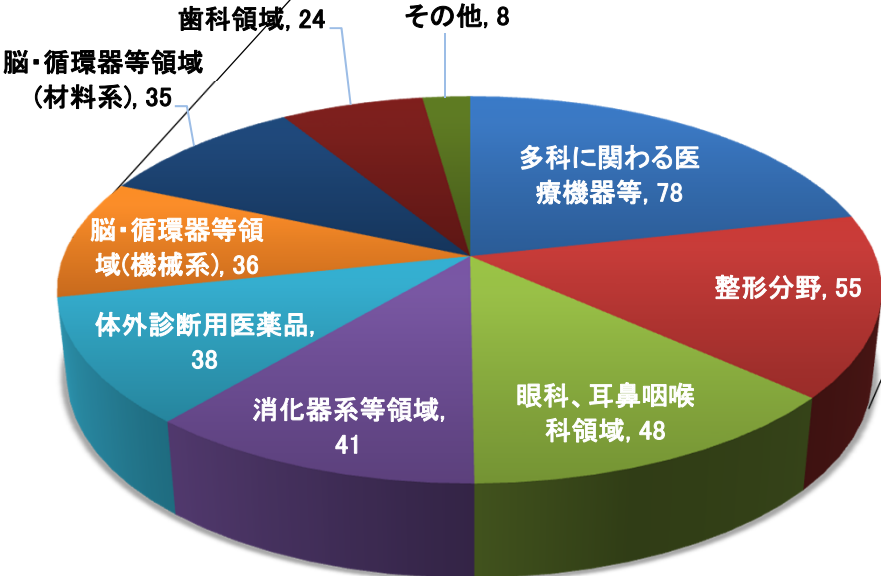
事前面談実施件数の内訳

(H23.7.1～H28.2.29)

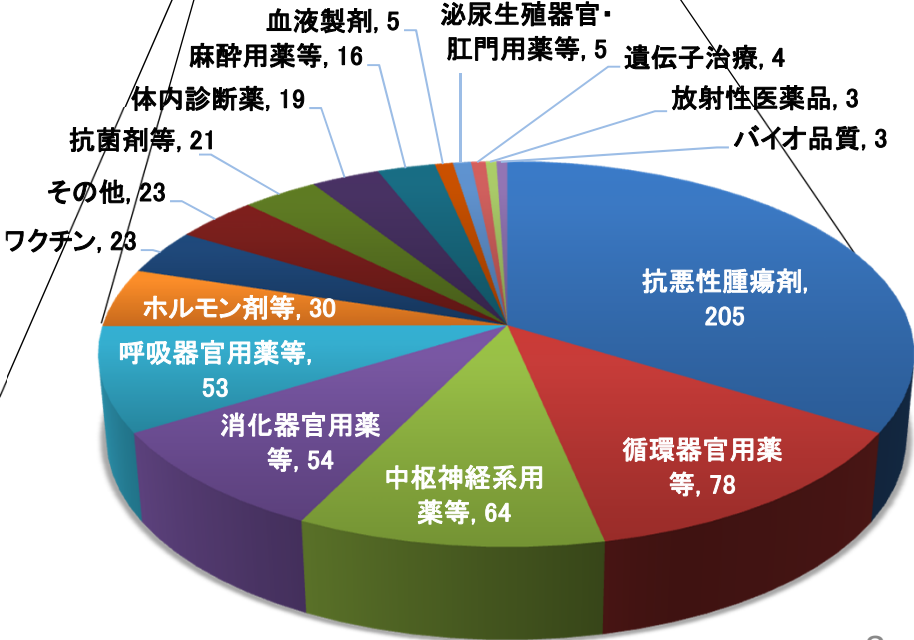
速報値



医療機器の分野別内訳(363件)



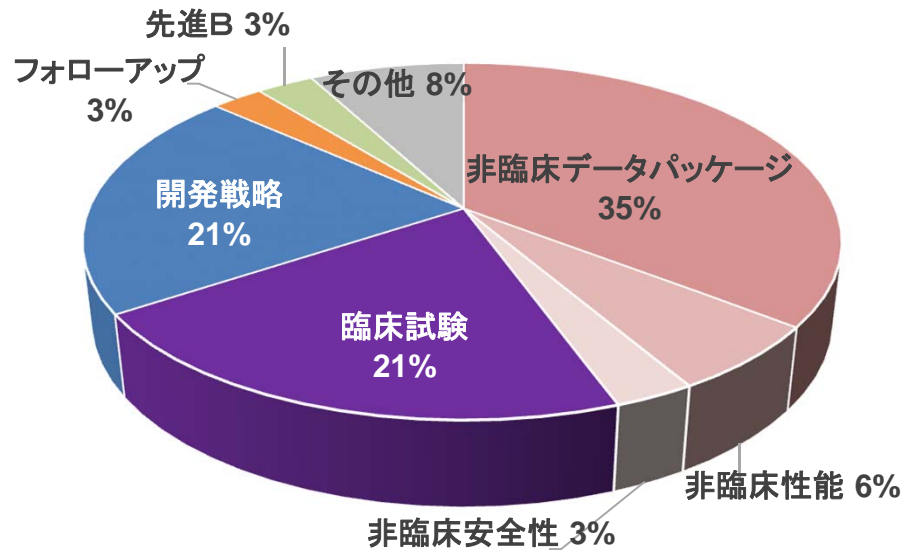
医薬品の分野別内訳(606件)



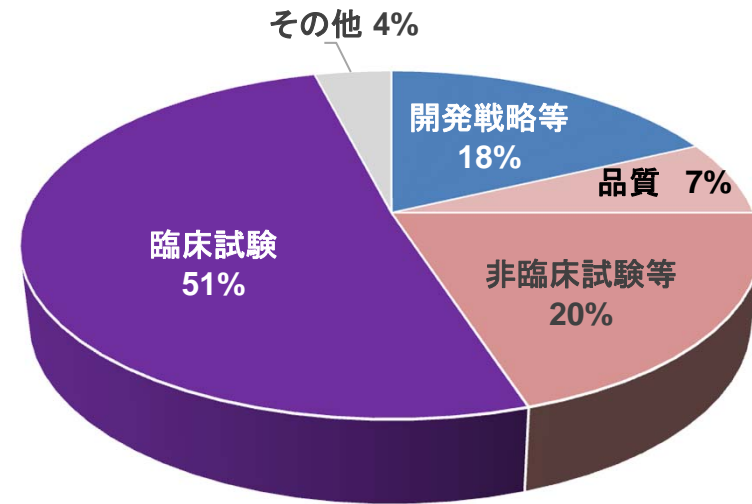
注: 医療機器については、平成27年10月1日付で医療機器審査各部の再編により担当分野を変更しているが、旧分野により集計している。

事前面談の内容

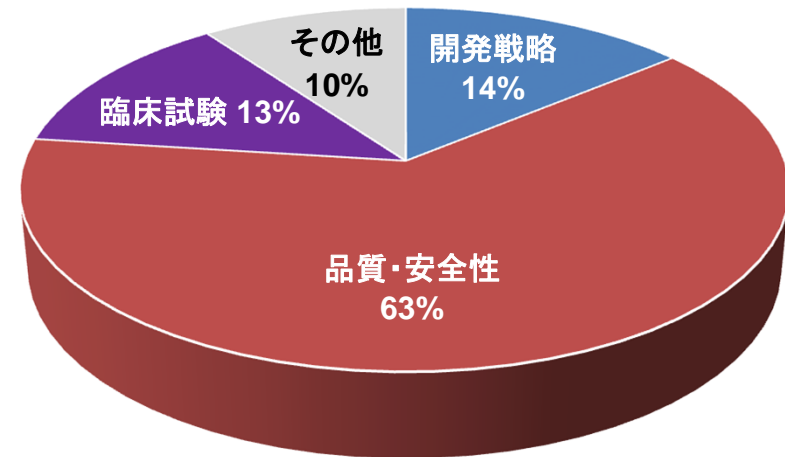
医療機器



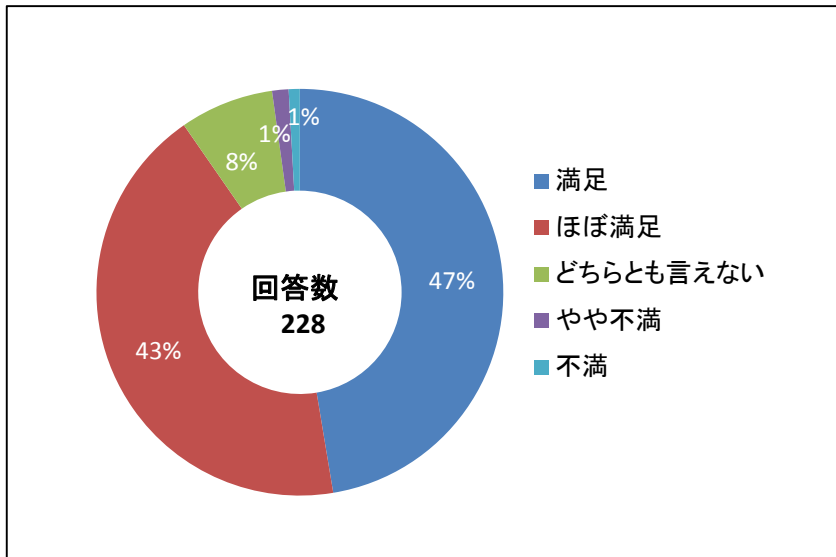
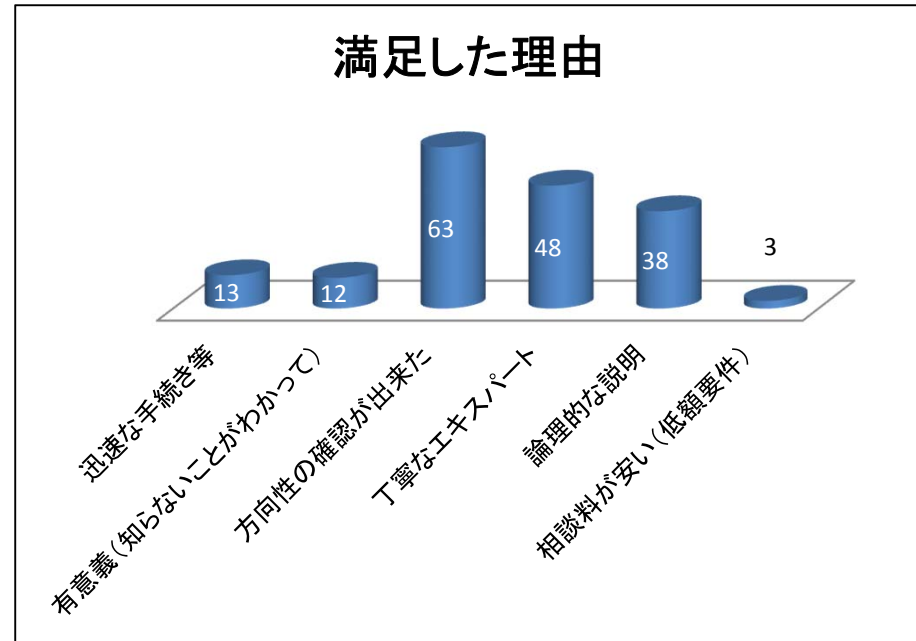
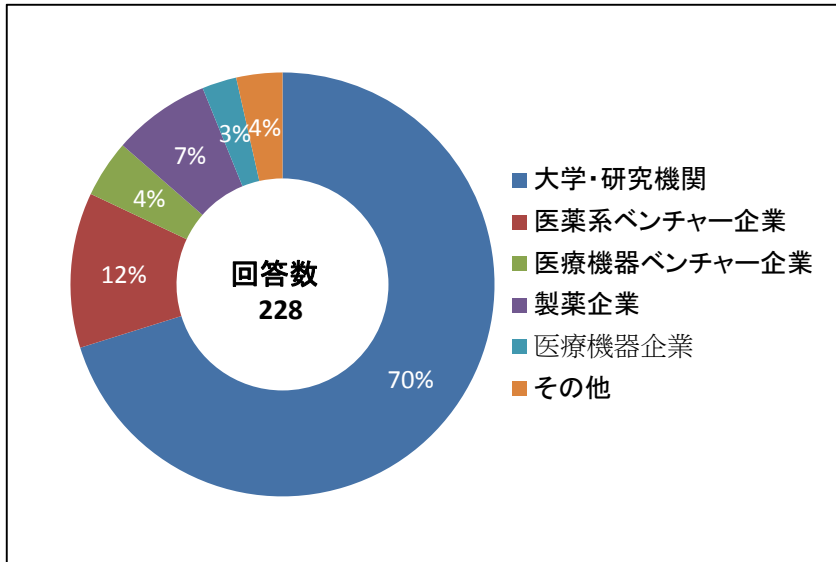
医薬品



再生医療



対面助言のアンケート結果



やや不満: 事前相談に時間を要した

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

薬事戦略相談 対面助言実施例（前回報告以降）

【医薬品】

※表中の内容は、相談終了後に公開に同意いただいたもの。

No.	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形	予定される効能・効果又は性能及び使用目的
1	千葉大学医学部附属病院 神経内科教授 桑原 聡	エクリズマブ(遺伝子組替え)	点滴静注/注射剤	重症ギラン・バレー症候群
2	国立病院機構 名古屋医療センター 臨床研究センター 部長 永井宏和	アレクチニブ塩酸塩	経口/カプセル剤	再発又は難治性のALK融合遺伝子陽性の未分化大細胞リンパ腫
3	岡山大学病院 血液・腫瘍内科 助教 松岡 賢市	テセロイキン(遺伝子組換え)	皮下投与/注射剤	同種造血幹細胞移植の移植片対宿主病の抑制
4	大阪大学医学部附属病院 未来医療開発部 特任准教授 彦惣 俊吾	ペプチド	点滴静注/注射剤	難治性皮膚潰瘍治療
5	国立病院機構 名古屋医療センター 呼吸器科 がん総合診療部長 坂 英雄	タルク	胸膜腔内注入(生理食塩水に懸濁して使用)/粉末剤	外科手術による治療が困難な続発性難治性気胸
6	京都大学大学院医学研究科 肝胆膵移植外科 教授 上本 伸二	エクリズマブ(遺伝子組替え)	点滴静注/注射剤	肝臓移植時における血栓性微小血管障害の抑制
7	神戸大学大学院 医学系研究科 神経内科学/分子脳科学 教授 戸田達史	モルフォリノ核酸	筋肉内投与及び点滴静注/注射剤	福山型筋ジストロフィー
8	国立循環器病研究センター研究所 病態代謝部 部長 斯波真理子	抗PCSK9アンチセンス	皮下投与/注射剤	家族性高コレステロール血症
9	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・福井大学連合小児科発達学研究所 健康発達医学寄附講座 教授 中神 啓徳	SR-0379(新規ペプチド)	経皮投与(噴霧剤)/外用液剤	糖尿病性潰瘍、下腿潰瘍、褥瘡
10	国立がん研究センター中央病院 消化管内科 医員 沖田南都子	Lenvatinib	経口投与/カプセル剤	治癒切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌
11	株式会社エムズサイエンス 代表取締役 三田 四郎	ガンシクロビル	点眼剤	サイトメガロウイルスに起因する角膜内膜炎
12	広島大学 自然科学研究支援開発センター 生命科学実験部門 教授 檜山 英三	テムシロリムス、イリノテカン塩酸塩水和物	点滴静注/注射剤	切除不能あるいは転移性小児肝芽腫
13	慶應義塾大学医学部内科学(消化器) 講師 長沼 誠	OCH-NCNP1	経口/顆粒剤	クローン病の炎症抑制
14	京都大学大学院医学研究科 生体構造医学講座形態形成機構学 教授 萩原正敏	FIT039	経皮投与/外用剤	液体窒素治療後のヒトパピローマウイルス性疣贅
15	福岡大学医学部 腫瘍・血液・感染症内科 治験調整委員会代表 石塚賢治	ニボルマブ(遺伝子組換え)	点滴静注/注射剤	再発又は難治性の成人T細胞白血病・リンパ腫
16	国立成育医療研究センター 成育遺伝研究部 室長 河合 利尚	サリドマイド	経口投与/口腔内崩壊錠	慢性肉芽腫症腸炎
17	大阪大学医学部附属病院 未来医療開発部 未来医療センター 上級オフィサー(新薬開発担当) 斎藤 勝久	シロリムス	経皮投与/ゲル剤	神経線維腫症

薬事戦略相談 対面助言実施例（前回報告以降）

【医薬品】

※表中の内容は、相談終了後に公開に同意いただいたもの。

No.	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形	予定される効能・効果又は性能及び使用目的
18	慶應義塾大学医学部泌尿器科 講師 小坂 威雄	リバビリン	経口投与/錠剤	去勢抵抗性前立腺癌に対するドセタキセルとリバビリン併用療法
19	九州大学先端融合医療レドックスナビ研究拠点 教授 中野 賢二	YB-1 ASO	点滴静注/注射剤	再発又は難治性の膀胱癌、播種癌(卵巣癌、胃癌悪性中皮腫)
20	長崎大学大学院医歯薬総合研究科 教授 川上 純	トシリズマブ(遺伝子組換え)	点滴静注	コルヒチン耐性家族性地中海熱
21	北海道大学病院 消化器内科 助教 桂田武彦	メロニダゾール、アモキシシリン水和物、テトラサイクリン塩酸塩	メロニダゾール(経口/錠剤)、アモキシシリン水和物(経口/カプセル)、テトラサイクリン塩酸塩(経口/カプセル)	潰瘍性大腸炎
22	大阪大学大学院医学系研究科 臨床腫瘍免疫学講座 特任教授 和田 尚	モガムリズマブ(遺伝子組換え) ニボルマブ(遺伝子組換え)	点滴静注/注射剤	固形癌(胃癌、食道癌、肺癌、腎癌)

【医療機器】

No.	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形	予定される効能・効果又は性能及び使用目的
1	横浜市立大学附属病院 血液浄化センター 部長 戸谷 義幸	吸着型血漿浄化器	体外にて分離血漿からアポリポ蛋白B含有リポ蛋白の除去	難治性高コレステロール血症以外の従来治療抵抗性慢性閉塞性動脈硬化症
2	大阪大学大学院医学系研究科 感覚機能形成学 教授 不二門 尚	第3世代人工網膜	複数枚の刺激電極板を強膜ポケット内に埋植	網膜色素変性症患者における視機能改善
3	岡山大学大学院医歯薬学総合研究科 眼科学分野 准教授 松尾俊彦	人工網膜	硝子体手術にて眼内に植込む	網膜色素変性などの網膜疾患で失明した患者の視力、視野を回復する
4	日本医科大学付属病院 放射線科 准教授 村田 智	抗がん剤投与・除去循環システム(仮)	経カテーテル的に、骨盤内に抗がん剤を限局的に循環する。	骨盤内がんの治療を目的とし、閉鎖循環下骨盤内非均衡灌流療法により抗がん剤の投与・除去循環を行う。
5	九州大学病院 ハートセンター 助教 有田 武史	中心循環系血管内塞栓促進用補綴材	人工弁周囲逆流部位に、経カテーテル的に留置する。	人工弁置換術後の弁周囲逆流を閉鎖させる血管塞栓用デバイスである。



薬事戦略相談 対面助言実施例（前回報告以降）

【再生医療】



※表中の内容は、相談終了後に公開に同意いただいたもの。

No.	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形	予定される効能・効果又は性能及び使用目的
1	iHeart Japan株式会社 代表取締役 角田健治	他家iPS細胞由来心血管系細胞三種混合多層体	細胞多層体を心臓に移植	重症心不全に対する心機能改善
2	国立大学法人 熊本大学大学院 生命科学研究部 免疫識別学分野 准教授 千住 寛	インターフェロン β/γ 産生同種iPS細胞由来ミエロイド細胞混合物	腹腔内/注射剤	腫瘍増殖抑制、QOLおよび生命予後の改善
3	鹿児島大学大学院医歯学総合研究科 先進治療科学専攻 遺伝子治療・再生医学分野 教授 小賤 健一郎	Surv.m-CRA-1	腫瘍内局所投与/注射剤	抗悪性腫瘍効果
4	北海道大学病院 臨床研究開発センター センター長 寶金清博	α -GalCer/DC	点滴静注/注射剤	心不全治療
5	順天堂大学医学部形成外科学講座 准教授 田中里佳	生体外増殖抹消血単核球	筋肉内、皮内投与(潰瘍部位局所)/注射剤	潰瘍部位の組織及び血管再生による潰瘍治癒
6	Galadrius Biosciences, Inc. CEO David J. Mazzo (申込代理人:NM Consulting 村尾 典昭)	自家末梢血CD34陽性細胞	筋肉内投与/注射剤	慢性重症下肢虚血(閉塞性動脈硬化症、バージャー病)における潰瘍、疼痛の改善
7	北海道大学病院 臨床研究開発センター センター長 寶金清博	α -GalCer/DC	点滴静注/注射剤	心不全治療
8	北海道大学病院 病院長 寶金清博	自家培養骨髄間質細胞	細胞移植針で脳梗塞周辺部に注入	脳梗塞治療
9	大阪大学医学部附属病院 再生誘導医学寄付講座 教授 玉井克人	ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞	皮膚潰瘍周囲皮下への注射	表皮水疱症における皮膚潰瘍の改善
10	京都大学iPS細胞研究所 臨床応用研究部門 神経再生研究分野 教授 高橋淳	非自己iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞	脳内線条体への移植	パーキンソン病
11	岩手大学 工学部応用化学生命工学科 教授 富田 浩史	改変型ボルボックス由来チャネルロドプシン-1遺伝子を含むアデノ随伴ウイルスベクター2型(AAV-mVChR1)	硝子体内注射/注射剤	視機能回復
12	国立研究開発法人国立成育医療研究センター 再生医療センター 肝細胞移植研究室 長 絵野沢 伸	ヒトES細胞由来加工医薬品	門脈内投与/輸注剤	先天性尿素サイクル異常症
13	九州大学病院 眼科 講師 池田康博	DVC1-0401	網膜下投与	網膜色素変性における視機能低下抑制
14	大阪大学医学部附属病院 老年・高血圧内科 教授 森下竜一	ヒトHGF遺伝子プラスミド	筋肉内注射	慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症、バージャー病)における間歇性跛行症状の改善
15	株式会社 IDファーマ 取締役社長 朱垂峰	遺伝子組換えセンダイウイルスベクター	未定(本品を用いて製造された最終製品によって異なる)	未定(本品は種々細胞をiPS細胞に誘導するもの)




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込んだときの状況	現状 (2016年2月現在)
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)  2015年10月:先駆け審査(医薬品)に指定。(国立精神・神経医療研究センター・武田先生と共同で日本新薬(株)が開発)
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、7月に終了。 ・2014年11月:第I相試験(反復投与)の治験届提出、実施中。
大阪大学 金田眞理	シロリムス	経皮投与/ゲル剤	結節性硬化症に伴う血管線維腫	2012年6月:シロリムスゲル(外用剤)の医師主導治験実施にあたり、追加すべき非臨床試験等について事前面談を実施	対面助言は1回 対面助言を踏まえて医師主導治験を実施。  2015年10月:先駆け審査(医薬品)に指定。(大阪大学・金田先生のシーズを元にノーベルファーマ(株)が開発)

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込んだときの状況	現状(2016年2月現在)
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3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。 2014年6月から製造を開始、2014年12月現在、製造した細胞の特性評価等実施中。
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  2016年2月: <u>先駆け審査(再生医療等製品)に指定。(札幌医科大学・本望教授と共同でニプロ(株)が開発)</u>
東京大学医科 学研究所 藤堂具紀	G47Δ	腫瘍内投与/ 注射剤	悪性脳腫瘍(神経膠腫)に対する遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス製品	2008年10月:遺伝子組換えウイルス製品の開発に関する規制への対応に関して、審査部と面談(薬事戦略相談制度開始前)	対面助言は3回 対面助言を踏まえて、医師主導治験を実施。  2016年2月: <u>2016年2月:藤堂教授と第一三共株式会社の共同申請で、再生医療等製品の先駆け審査品目に指定。</u>

薬事戦略相談対面助言の実施とプロジェクトの進捗-3 (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込んだときの状況	現状(2016年2月現在)
株式会社 日本再生医療機構	自家心臓内幹細胞	冠動脈内注入/注射剤	小児先天性心疾患(機能的単心室症)	2012年12月:小児心不全に対する細胞治療製剤の治験開始にあたり、必要な品質、安全性情報の取得に関して事前面談を実施	対面助言は3回 岡山大学 王英正教授らの臨床研究結果等を元 に実施した対面助言を踏まえて、治験を実施予定。  2016年2月:先駆け審査(再生医療等製品)に指定。(岡山大学・王教授のシーズを元に(株)日本再生医療が開発)
CYBERDYNE株式会社	HAL医療用下肢タイプ	患者に装着して生体電位信号に基づき下肢の動作補助を行い歩行運動を繰り返す	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	<大きな流れ> 開発前相談(2012年2月) 戦略相談(2012年3月、2013年5月) 評価相談(2015年3月、下肢の薬事申請用)  2015年11月:医療用下肢タイプの承認取得
熊本大学 讃岐徹治	チタンブリッジ	甲状軟骨を正中切開し、切開部位を左右に開大固定する	内転型痙攣性発声障害	2013年3月:内転型痙攣性発声障害に対するチタンブリッジの開発にあたり、材質及び設計等への助言、製造販売承認取得にあたっての注意点等について事前面談を実施	対面助言は1回 対面助言を踏まえて医師主導治験を実施。  2016年2月:先駆け審査(医療機器)に指定。(熊本大学を含めた複数の国内大学と共同でノーベルファーマ(株)が開発)

※表中の内容は、公表情報又は相談終了後に公開に同意いただいたもの。

(参考)

【事例紹介1】

山中伸弥教授のiPS細胞の実用化に関して、薬事戦略相談制度開始前に審査部との面談を実施。制度開始2ヶ月後の平成23年9月に、iPS細胞の製造工程及び品質規格について対面助言を実施。



(平成23年2月17日 PMDA訪問時)

【事例紹介2】

(CYBERDYNE(株)山海嘉之代表取締役社長より)

「薬事戦略相談では、新たに創出された医療技術・治療手法などを様々な観点から戦略的に話し合うことができ、適切な治験やスピーディな承認を実現し世界展開を計画するためには、極めて重要な仕組みだと感じています。」

※HAL医療用下肢タイプが平成27年11月25日に承認



(3) 充実に向けたこれまでの取組み
(PMDA第三期中期計画への対応事項以外)

薬事戦略相談に関する取り組み

■ 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会議を常設
 - ◆ これまでに123件の事前面談をWEB会議で実施(平成27年12月末)

■ 薬事戦略広報パンフレットの作成/活用

- 平成27年4月に専用パンフレットを改訂し、学会ブース展示等で配布
 - ◆ これまでに18,300部程度を配布(平成27年12月末)

■ 事前面談利用者のフォローアップ

- 平成25年7月以降、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し、薬事戦略相談制度の活用を促すフォローアップを継続実施している。

■ 関係機関との連携強化:

- 愛知県、富山県、広島県、福岡県、その他地方自治体等主催による出張個別面談の実施
- 厚生労働省、文部科学省、経済産業省が事務局を務める医療機器開発支援ネットワークへの協力 等