

医薬品・医療機器 薬事戦略相談の実施にあたって

平成23年6月22日

1. 相談事業の対象となる分野の優先順位
2. 薬事戦略相談の実施方法
3. その他

1. 相談事業の対象となる分野 の優先順位

1. 相談事業の対象となる分野の優先順位について

<案>

相談の件数が多く、例えばデータの評価を伴う相談を絞らざるを得ない場合、以下の分野を優先してはどうか。また、分野間の順位は問わないこととしてはどうか。

- ① 再生医療(細胞・組織加工医薬品・医療機器)分野の製品
- ② がん分野の製品
- ③ 難病、希少疾病分野の製品
- ④ 小児分野の製品
- ⑤ 革新的技術を利用した製品

なお、必要に応じ、優先分野においても、シーズの特徴等に基づき、実用化の可能性なども考慮に入れて選定することとしてはどうか。

(参考)医療イノベーションにおける個別重点分野の研究開発支援

日本発の革新的な医薬品・医療機器の研究開発の推進

基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況を解消するため、基礎研究から実用化の間の橋渡しに支援を重点化する。臨床研究中核病院等の創設をはじめ、基礎研究から非臨床試験・臨床試験につながる段階の支援体制を強化するとともに、臨床試験の推進体制・制度改革を検討する。

これまでの課題

○ 新薬の開発には多大な費用と長い時間がかかり、リスクも高い。そのため、優れたシーズを広く学会などから吸い上げ、産業界の新薬開発につなげることが不可欠であるが、この橋渡しが円滑に進まない。

○ 日本は、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験体制(人材及び設備)が不十分であるため、基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況にある。

具体的な政策

【日本の臨床研究の質・量の向上】

- ①臨床研究中核病院等の創設
ICH-GCP水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院等を創設し、ヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験等を推進し、臨床研究中核病院等においては、**未承認等の医薬品・医療機器について、その特性に応じて先進医療制度の申請・審査手続きの効率化**を図る。
- ②臨床研究に係る研究費の拡充・集中及び審査組織の創設
臨床研究のプロトコル審査を一元的に行う組織を創設するとともに、その審査で見込みのある研究に対して研究費を集中的に投入する。
- ③革新的な医薬品・医療機器創出のための人材の育成
- ④臨床研究・治験活性化のためのIT基盤の整備
- ⑤臨床研究・治験の無過失補償制度の創設の検討 等

【個別重点分野】

- ①がん
日本発のがんワクチン療法による革新的がん治療の開発のほか、難治性がんや再発がんを中心に、バイオマーカーを用いた新規性の高い画像診断方法の開発や、がん幹細胞を標的とした革新的な治療技術の開発を推進する。
- ②再生医療
切れ目ない**基礎研究から臨床研究・実用化への移行を可能とする仕組みを構築**するとともに、効率的で加速度的な臨床研究が実施できる**臨床研究支援体制等の基盤構築**を目的とした研究を実施する。
- ③医療機器
世界標準の臨床試験実施体制を有する施設における試験研究が円滑に実施できるよう、薬事に係る諸手続の合理化等を行うとともに、改良・改善に伴うリスク評価を可能にする基準の策定や、ものづくり企業の技術が早期に実用化されるよう審査・相談体制を強化する。
- ④個別化医療
病態の解明や日本発の診断・治療法の開発に必要な基盤整備を目指して、バイオバンクを構築する。また、難治性疾患患者の遺伝子の解析を推進するとともに、医薬品等の安全対策の向上に活用するための医療情報データベースを構築する。

※ICH-GCP (International Conference on Harmonisation-Good Clinical Practice) 人を対象とする治験・臨床研究の倫理的、科学的な質を確保するための国際的な基準

2. 薬事戦略相談の実施方法

相談区分

○ 医薬品戦略相談

- 開発初期段階から、今後の新有効成分含有医薬品の承認に向けて、事前の面談を踏まえ、必要な試験等について、データの評価を伴う案件の相談を行う。

○ 医療機器戦略相談

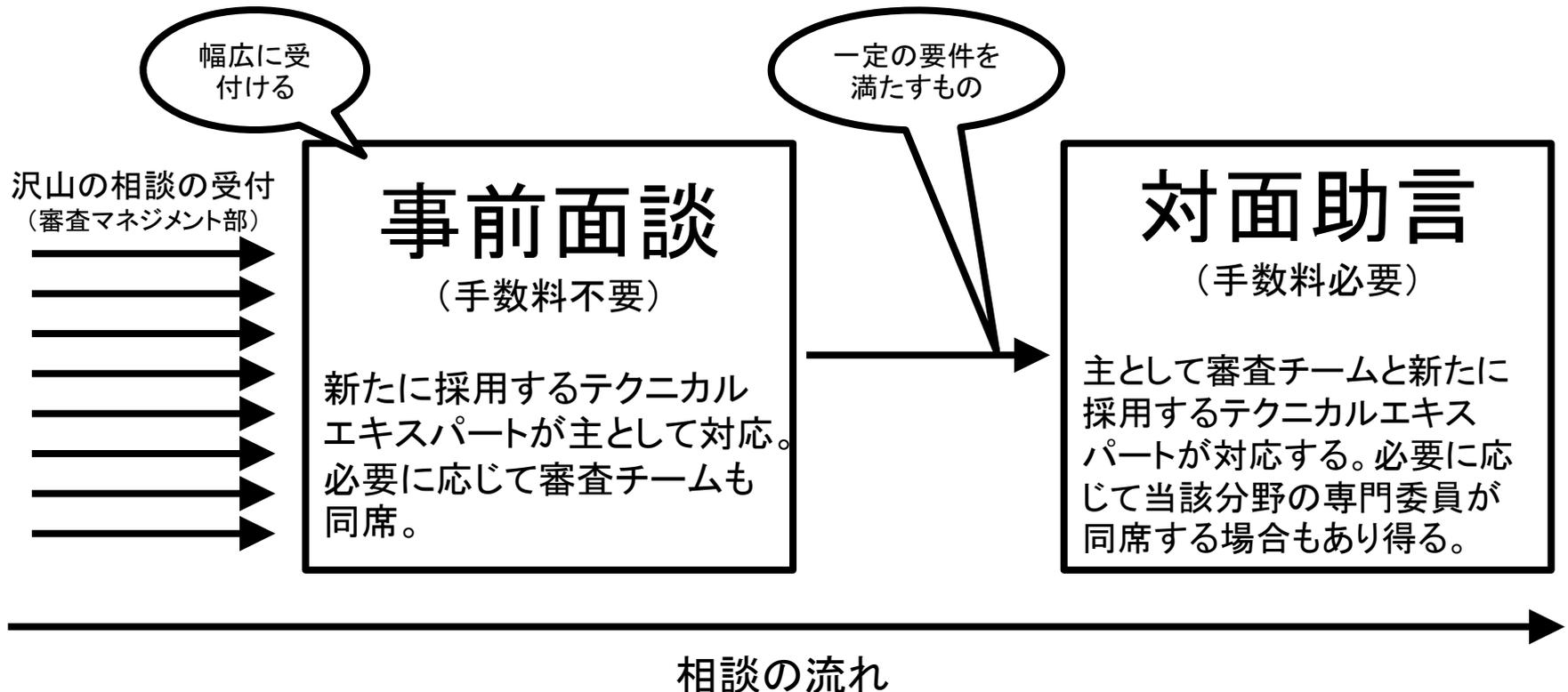
- 開発初期段階から、今後の医療機器、体外診断薬の承認に向けて、事前の面談を踏まえ、必要な試験等について、データの評価を伴う案件の相談を行う。

相談対象

- 開発初期からPOC試験程度までの承認申請に向けて必要な試験について、有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とする。

相談の流れの概要

- 予め事前面談を行い、その結果を踏まえて対面助言を行う。
- 医薬品や医療機器に関連する研究・開発・薬事等の何れかに精通した者を新たにテクニカルエキスパートとして採用する。

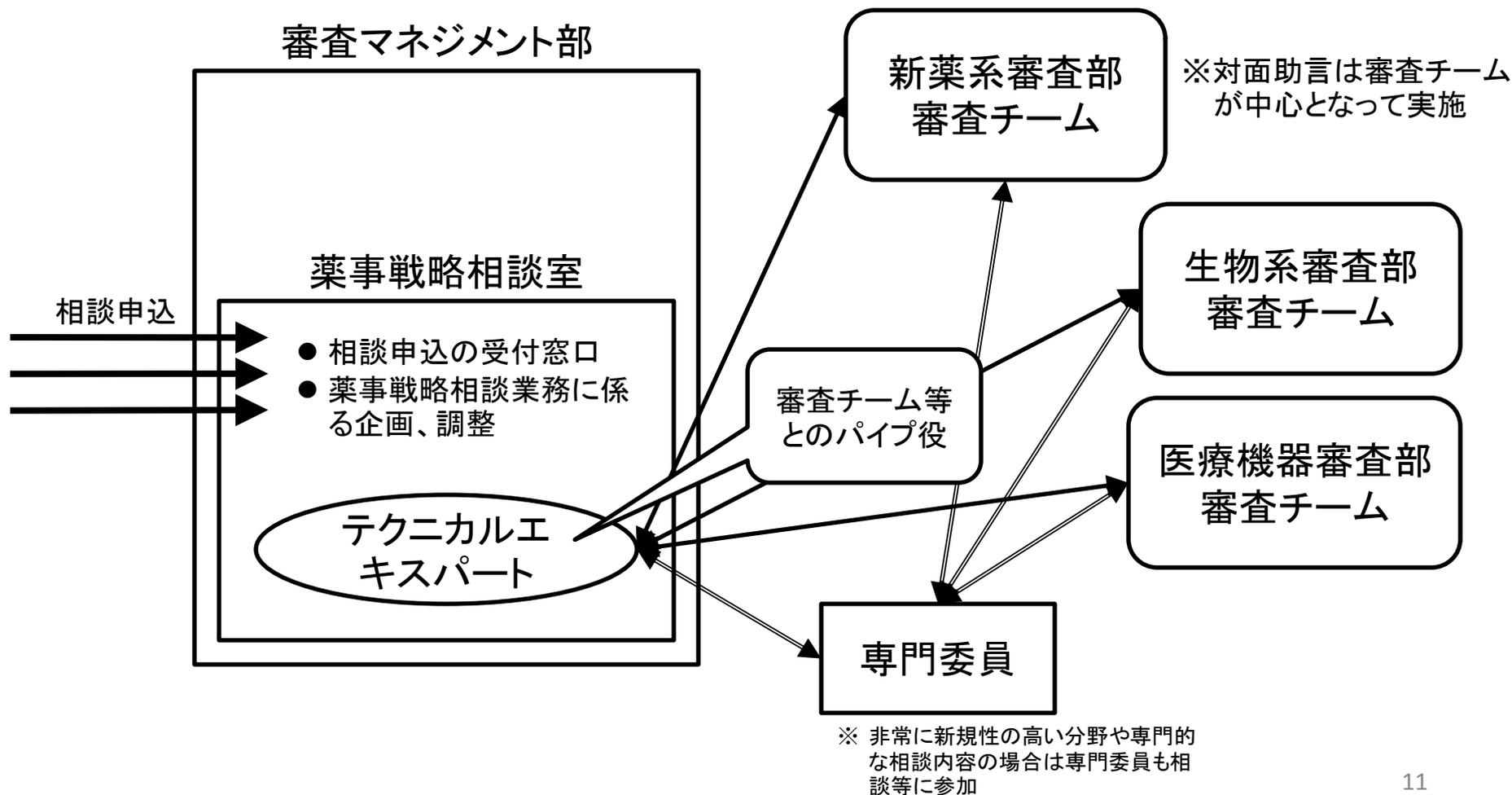


相談体制

- PMDAにおいては、新たに研究・開発・薬事等に精通したテクニカルエキスパートを雇用して、大学・研究機関、ベンチャー企業等との相談窓口とする。
- 相談は、テクニカルエキスパートに承認審査を担当する審査員も加えた対面で実施する。
- また、テクニカルエキスパートは、相談者毎に担当を決めるなどして、相談後のフォローアップも行えるようにする。
- 大学・研究機関、ベンチャー企業等に対し、薬事戦略相談に関する説明会を開催する。

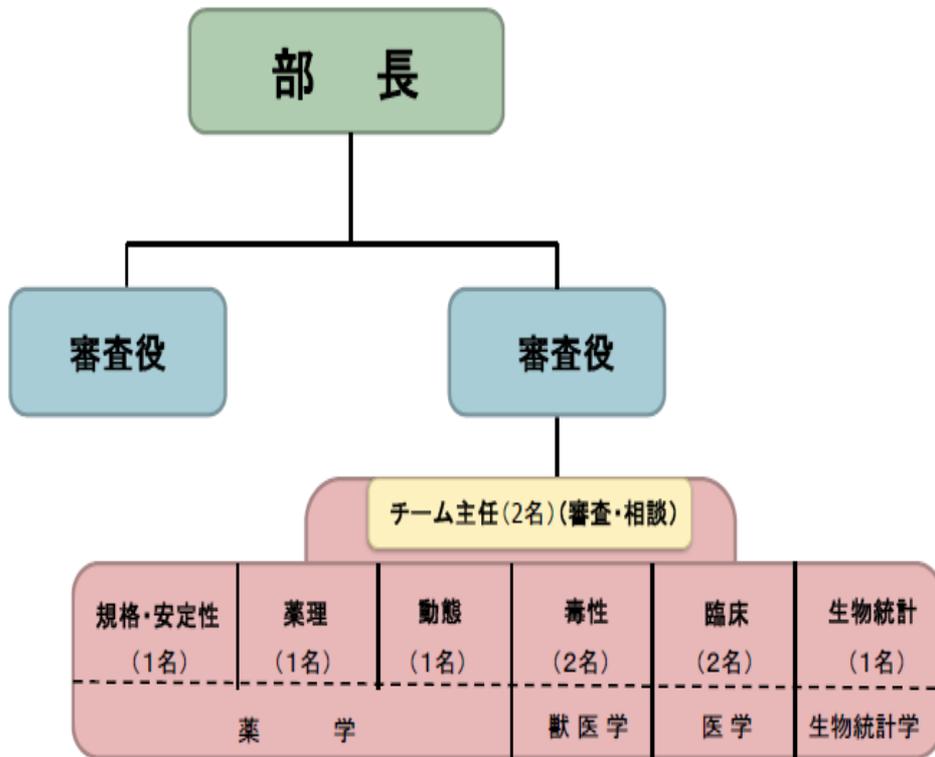
相談体制

- 薬事戦略相談業務を円滑に行うため、審査マネジメント部に新たに薬事戦略相談室を設置予定。

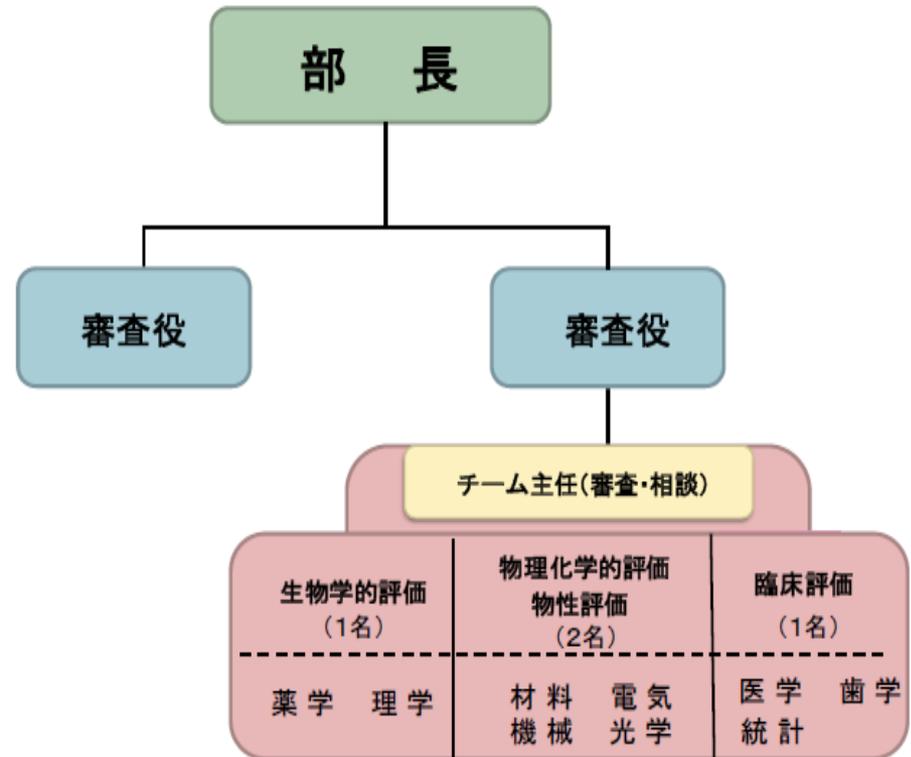


(参考) 審査チームの体制

【新医薬品の審査の場合】



【新医療機器の審査の場合】



対面助言を実施する要件

- PMDAの現状の審査体制や予算の観点から、相談を受けることができる件数には限りがあることから、事前面談を受けたものの中で、本懇談会におけるご意見等により、優先順位が高いとされた分野であって、なおかつ、その中でも、例えば、医薬品の場合は物質特許を出願中もしくは取得しているもの、医療機器の場合は機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの、又は将来的に画期的医薬品もしくは医療機器として実用化される可能性が高いもの等、有望性が期待できるものを優先的に対面助言の対象としてはどうか。ただし、機構における相談の受け付け状況等によっては、それら以外のものについても、相談を受け付ける場合もある。

注)なお、従来の確認申請に相当する相談案件で、対面助言を受ける状況にある場合には、治験に入る段階であることもあり、事前面談で対面助言の対象となるかどうかの判断をすることはしないものと考えている。

医薬品戦略相談	医療機器戦略相談
<ul style="list-style-type: none">○「優先分野」 <u>本懇談会の意見等を踏まえ決定。</u>○「有望性」の例<ul style="list-style-type: none">①医薬品シーズについての物質特許を出願中もしくは取得しているもの②将来的に画期的医薬品として実用化される可能性が高いもの	<ul style="list-style-type: none">○「優先分野」 <u>本懇談会の意見等を踏まえ決定。</u>○「有望性」の例<ul style="list-style-type: none">①機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの②将来的に画期的医療機器として実用化される可能性が高いもの

事前面談と対面助言

(事前面談(手数料不要))

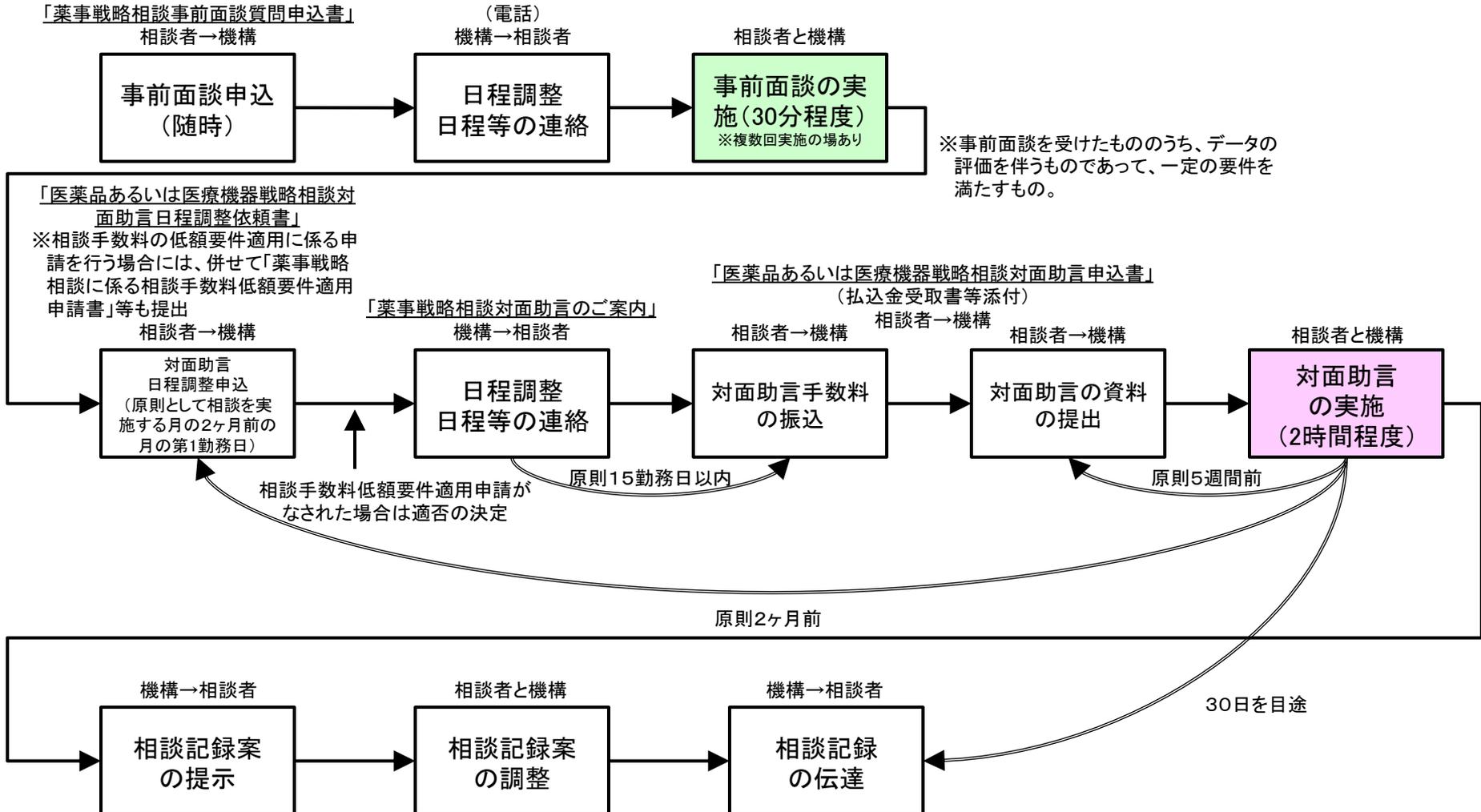
- 薬事戦略相談については、あらかじめ、相談範囲の整理、データ等の確認、承認申請等に係る一般的なアドバイス等に関して事前に面談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録は作成しない。

(対面助言(手数料必要))

- 事前面談に引き続き、一定の要件を満たすものについては、提出された資料に基づき、現在得られているデータをもとに、今後の治験の実施、承認申請に向けての課題の整理や、具体的な指導・助言を行う。
- 相談1回当たり2時間程度とする。
- 相談記録は作成する。
- なお、細胞・組織加工製品(従来、確認申請制度で対応してきた人又は動物由来の細胞・組織を加工(薬剤処理、生物学的特性改変、遺伝子工学的改変等をいう)した治験薬又は治験機器)については、治験計画の届出を行う前の当該製品の品質及び安全性等に係る相談にも対応する。

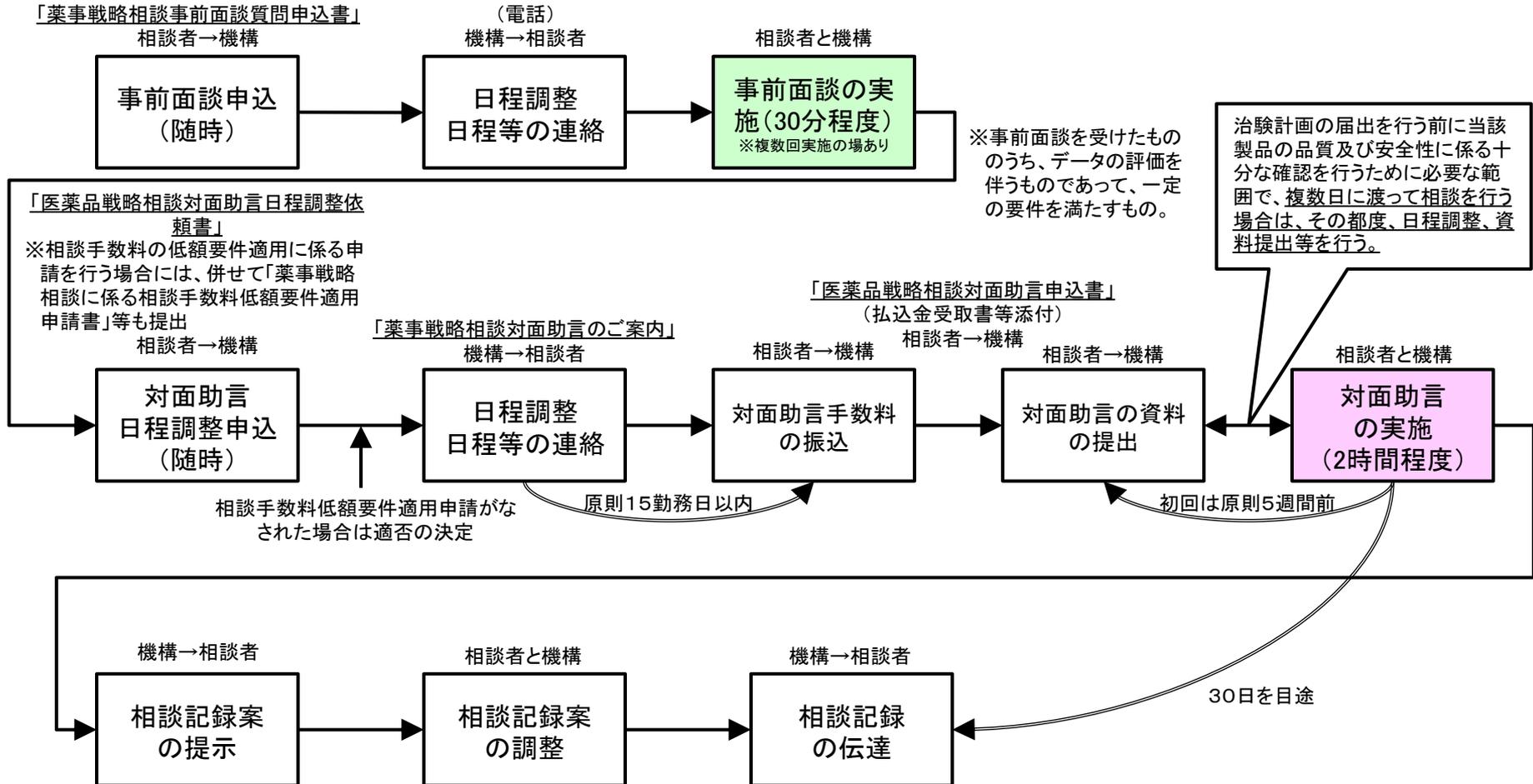
薬事戦略相談の流れの詳細(案)

(従来の確認申請相当分を除く薬事戦略相談の場合)



薬事戦略相談の流れの詳細(案)

(従来の確認申請相当分の薬事戦略相談の場合)



対面助言の際の相談手数料等

医薬品戦略相談※1	1相談当たり※2	1,498,800円
医薬品戦略相談(別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業)※1	1相談当たり※2	149,800円
医療機器戦略相談※3	1相談当たり※2	849,700円
医療機器戦略相談(別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業)※3	1相談当たり※2	84,900円

※1:細胞・組織加工製品は、医薬品戦略相談の手数料を適用。

※2:対面助言の1相談当たりの相談時間は2時間程度。

※3:体外診断薬は、医療機器戦略相談の手数料を適用。

(細胞・組織加工製品の手数料等に係る取り扱い)

- 品質及び安全性に係る相談については、治験薬、治験機器のいずれにおいても、当該手数料は、「医薬品戦略相談」区分の手数料(1,498,800円)とする。
- また、その場合は、同一の治験薬又は治験機器を対象とするものであって、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う場合であっても、「医薬品戦略相談」1相談分の手数料とする。
- ただし、治験プロトコル等品質及び安全性以外に係る相談を併せて希望する場合には、相談区分に応じた手数料を別途納付して頂くことになる。この場合、品質及び安全性に係る相談に引き続き併せて治験プロトコル等に係る相談を行うことは可能。

「別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業」(低額要件適用対象)(案)

原則として、下記の要件をすべて満たすこと。

(大学・研究機関)

- 国から当該シーズに係る研究費を医薬品については9,000万円、医療機器については5,000万円程度以上受けていないこと
- 当該シーズに係る製薬企業・医療機器開発企業との共同研究契約等により、当該シーズの実用化に向けた研究費を当該企業から受けていないこと

(ベンチャー企業)

- 中小企業であること(従業員数300人以下又は資本金3億円以下)
- 他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと
- 複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと
- 前事業年度において、当期利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと

相談手数料の低額要件適用 に係る申請書類

(大学・研究機関の場合)

- ① 薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書
- ② 当該研究の代表者が取得している当該シーズに係るすべての研究費について、当該内訳及び研究テーマが把握できる資料並びに交付決定通知書の写し(前事業年度を含む3事業年度分)。

(ベンチャー企業の場合)

- ① 薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書
- ② 前事業年度に係る事業報告、貸借対照表、損益計算書及び法人税確定申告書別表第二の写し(又は株主(出資者)名簿)。ただし、資本金が3億円を超える場合には、併せて、労働保険概算・増加概算確定保険料申告書の写し等従業員数が確認できる書類。

相談記録

- PMDA側と相談者側の出席者名、相談内容とそれに対するPMDAの意見等をまとめた記録を作成し、相談者に伝達する。
- ただし、薬事戦略相談については、治験相談より開発初期段階からの相談であるので、PMDAとしての意見を示しにくい場合もあると考えられる。この場合、PMDA審査員と相談者との意見交換した内容を中心に記録をまとめる場合もある。

3. その他

PMDAの基本スタンス①

- 審査当局であるPMDAでは、有望なシーズを将来の承認申請に向けて、どのような試験が必要かについての的確なアドバイスをしていくことが求められていると認識。
- 開発初期段階ではアドバイスできることが限られたり、得られた試験結果によっては、追加の試験をお願いしたりすることも出て、相談者と意見が対立することもあると思うが、医療イノベーションを進め国民・患者により有効で安全な医薬品・医療機器を迅速に提供するために、重要な仕事と認識しているので、積極的に取り組むものである。

PMDAの基本スタンス②

- 審査当局である以上、国民の命と健康を守る観点から、厳しい指摘をせざる得ない場合もあるが、相談者が苦勞している内容をよく理解して親身いかえれば懇切丁寧に対応することは大事だと認識。
- 相談者が、相談したい項目、内容に対して、現在の科学技術や実行可能性を踏まえて、極力、的確に応えて行くことが重要と認識。
- なお、これまでの研究者等との相談では、PMDAに対して何でも相談に乗ってくれるとして質問されてこられる場合もあるが、PMDAからは品質、有効性及び安全性をどのように確保できるかという面からのアドバイスに限られる。

相談者に対するお願い

- 相談対象となる医薬品、医療機器の内容、これまでに得られているデータ、どのように使用し、どのような効能を目指しているかを明確にして、相談資料を作成していただきたい。
- 相談の際には、相談者として実用化に向けて、どのような課題があるのか、相談者としての考えを明確にしていただきたい。

従来、確認申請で対応してきた細胞・組織加工製品に対する対応

①従来、確認申請で対応してきた細胞・組織加工製品に関する相談の基本スタンス

薬事戦略相談は、確認申請と異なり、事前審査報告書を作成するわけではなく、品質・安全性について、治験に入っているレベルにあるかどうかを評価し、必要な指導を行うことが基本である。

②細胞・組織加工製品の治験プロトコールに対する相談

細胞・組織加工製品について、従来の確認申請では行われていなかった治験プロトコールの相談についても対応する。ただし、原則として、確認申請に相当する品質・安全性に関する相談とは別相談扱いとする。

③開発初期段階での品質・安全性に関する相談

従来の確認申請では、治験に入れるレベルの品質・安全性のデータを揃えてから、確認申請を行うこととなっていたが、薬事戦略相談では、開発初期から必要な品質・安全性に関する試験の相談にも対応する。

(参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組

PMDAのHPにて使用した資料等を紹介

<http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/report.html>

- [「新たに医療機器産業に参入する企業のためのセミナー」スライドについて\(PDF形式\)](#)
- [「新たに医療機器産業に参入する企業のためのセミナー」開催のご案内について\(PDF形式\)](#)
- [平成22年度医薬部外品承認申請実務担当者説明会資料](#)
- [平成22年度 GCP研修会開催のご案内](#) (募集は締め切りました)
- [第16回GLP研修会\(平成22年度\)開催のご案内](#) (募集は締め切りました)
- [平成22年度初級臨床研究コーディネーター養成研修およびローカルデータマネージャー養成研修の開催について](#) (募集は締め切りました)
- [医薬品承認申請実務担当者研修会講演資料](#)
- [承認申請書記載要領・軽微変更等に関する説明会資料\(PDF形式\)](#)
- [細胞・組織を利用した医療用具又は医薬品の確認申請について](#)
- [「再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会」](#)
- [「平成22年度 再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会」](#)
- [QMS調査について\(PDF形式\)](#)
- 外国機関報告書の邦訳
 - [厚生労働省・医薬品医療機器総合機構と欧州委員会\(EC\)・欧州医薬品庁との間で、秘密保持契約を締結](#)
 - [新しい医薬品・医療機器のためのクリティカル・パス上に存在する課題と機会\(米FDA、2004年3月\)\(PDF形式\)](#)
 - [クリティカル・パス計画報告書ー医薬品・医療機器の研究開発に関するヒントー\(米FDA、2006年3月\)\(PDF形式\)](#)
 - [欧州医薬品庁2010年へ向けてのロードマップ: 将来に向けた基盤整備\(欧州医薬品庁\(EMA\)、2005年3月\)\(PDF形式\)](#)

(参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組 (事例の一部をご紹介します)

再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会

1. 日時

平成22年6月28日(月)13:30～17:40 講習会は終了いたしました

2. 会場

医薬品医療機器総合機構会議室

3. 対象

再生医療/細胞・組織加工製品について、基礎的研究の段階を含め薬事法に基づく、開発、実用化に関心のある方。

4. 定員

140名 程度 (無料)
(200名 を超えるご参加を頂きました。)

5. 内容

開会の辞 医薬品医療機器総合機構 理事長 近藤 達也

再生医療/細胞・組織加工製品に係る薬事法規制概論 [資料①](#)

再生医療/細胞・組織加工製品の審査/相談ケーススタディ(薬事法下での開発を見据えた基礎研究、品質評価、非臨床評価、臨床評価など)

[資料②](#)、[資料③](#)

対面助言業務の実際 [資料④](#)

意見交換会

閉会の辞 医薬品医療機器総合機構 理事・審査センター長 内海 英雄

(参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組 (事例の一部をご紹介します)

新たに医療機器産業に参入 する企業のためのセミナー

医療現場で使用する医療機器や医薬品について、その品質、安全性等の審査を行っている独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、社団法人電子情報技術産業協会(JEITA)と協力し、新たに医療機器産業に新規参入を検討されている電機、電子、電子部品・材料等企業の役員クラス、関係部門責任者を対象としたセミナーを開催することにいたしました。

近年、医療機器専業企業以外のエレクトロニクス企業などが医療機器産業に関心もち、新規市場として参入を目指す動きがあります。

このような背景から独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、薬事法の様々な制度、開発段階から審査、承認に至るスキームについて、わかりやすく解説いたします。

日時：平成23年4月7日(木) 10:00~17:20

於：独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA) 6階会議室

東京都千代田区霞が関3-2-2新霞が関ビル

受講料：無料定員：100名

※定員になり次第締め切らせて頂きます。その場合のみご連絡差し上げます。聴講申込期限：
平成23年4月1日(金)

対象：新規参入を検討されている企業の役員クラス、関係部門責任者

(参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組 (事例の一部をご紹介します)

平成22年度 GCP研修会のご案内

**主催:独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
財団法人 日本薬剤師研修センター**

今般、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、財団法人 日本薬剤師研修センターと共催で医薬品等に係るGCP及びGPMSP/GPSPに関する平成22年度の研修会を企画いたしました。本研修会では、例年、薬事法に定められた承認申請資料等の基準適合性調査の目的や調査の際の問題点に加え、適切な臨床試験を実施するための留意点等について最近の事例を紹介しております。

GCP及びGPMSP/GPSPを巡る状況をまとめて研修できる機会であります。治験依頼者及び治験実施医療機関等でご活躍の皆様にとって有意義な研修になるものと確信しており、実務における本研修会の活用を期待いたしております。職種を問わず積極的にご参加いただきますようご案内申し上げます。