



# 薬事戦略相談の事業概要 と その活用について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)  
審査マネジメント部 薬事戦略相談課  
小池 恒

平成26年9月1日  
「福岡県:薬事法関連セミナー」  
会場:アクロス福岡



## 本日の内容

1. PMDAの業務について
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. 薬事戦略相談の活用について



## 本日の内容

1. PMDAの業務について
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. 薬事戦略相談の活用について



## PMDAとは？

**PMDA（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）は、**

- 国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することを目指して、薬事法に基づく医薬品・医療機器等の承認審査及び安全対策、並びに健康被害救済の3つの業務を行う厚生労働省所管の独立行政法人
- このような業務を行う組織は日本\*ではPMDAだけ

\* PMDAと同様の組織は、米国ではFDA(米国食品医薬品局)、欧州ではEMA(欧州医薬品庁)がある



**日本独自のセイフティ・トライアングル  
～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～**



## PMDAの3大業務

### 健康被害救済

医薬品の副作用や生物由来製品を介した感染等による健康被害に対して、迅速な救済を実施

### 承認審査

医薬品や医療機器等の品質・有効性・安全性について、治験前から承認まで一貫した体制で開発への助言・審査を実施

### 安全対策

市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を実施

## PMDAの3つの業務

### 医薬品等の副作用・感染による健康被害の救済

医療費、障害年金、遺族一時金等の支給

特定C型肝炎感染被害者への給付金の支給

スモン患者、HIV感染者への健康管理手当等の支給

### 医薬品・医療機器等の承認審査

開発への助言（対面助言・薬事戦略相談）

治験計画届出調査

有効性・安全性・品質の審査

承認申請資料の信頼性調査（GLP・GCP等への適合性）

GMP/QMSへの適合性調査

基準作成調査

### 医薬品・医療機器等の安全対策

安全性情報の一元的収集・データベース化

安全性情報の科学的評価分析・調査検討

情報提供・一般向け電話相談

## PMDAと厚生労働省の役割分担

### 【PMDA】 科学的な判断の実施

- (例)
- ・ 拠出金の徴収、救済給付金の支給
  - ・ 医薬品等の審査・調査、治験相談
  - ・ 副作用報告の受理・収集・整理・調査
  - ・ 副作用情報の提供



### 【厚生労働省】 行政措置等の実施

- (例)
- ・ 薬事法等の制度設計、法律改正
  - ・ 救済判定
  - ・ 審議会への付議、最終的な承認判断
  - ・ 回収・緊急安全情報発出の指示
  - ・ 緊急かつ重大な案件に係る安全対策業務



7

## 承認審査とは？

申請された医薬品・医療機器が  
薬事法で求められた品質・有効性・安全性の確保が  
なされているか？

を申請資料に基づいて確認すること

※申請資料の信頼性が担保されているか？

も併せて確認

(PMDAで実験・試験を行うものではない)

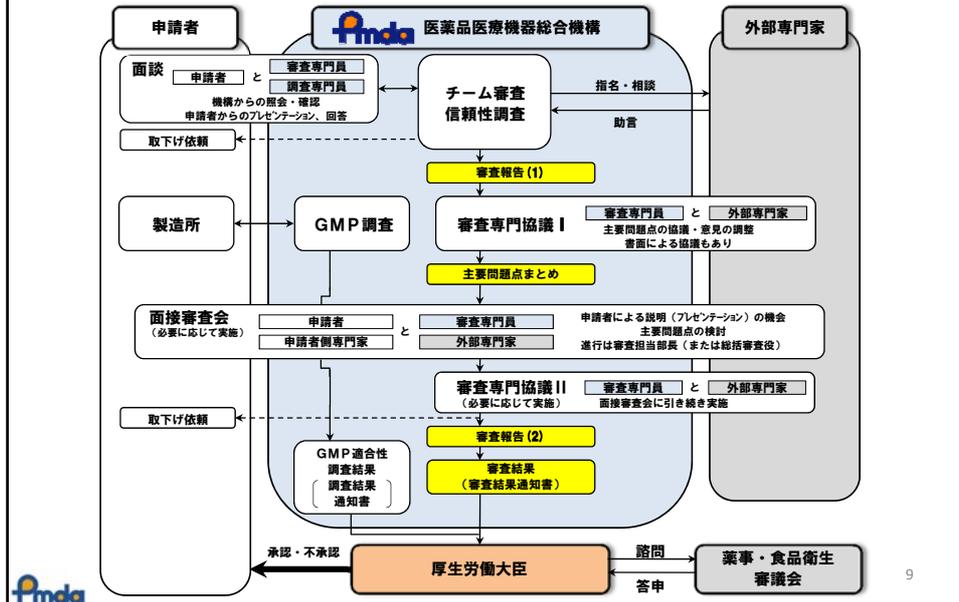
「確認」は常に科学に基づき実施

その科学がレギュラトリーサイエンス



8

# 承認審査のプロセス

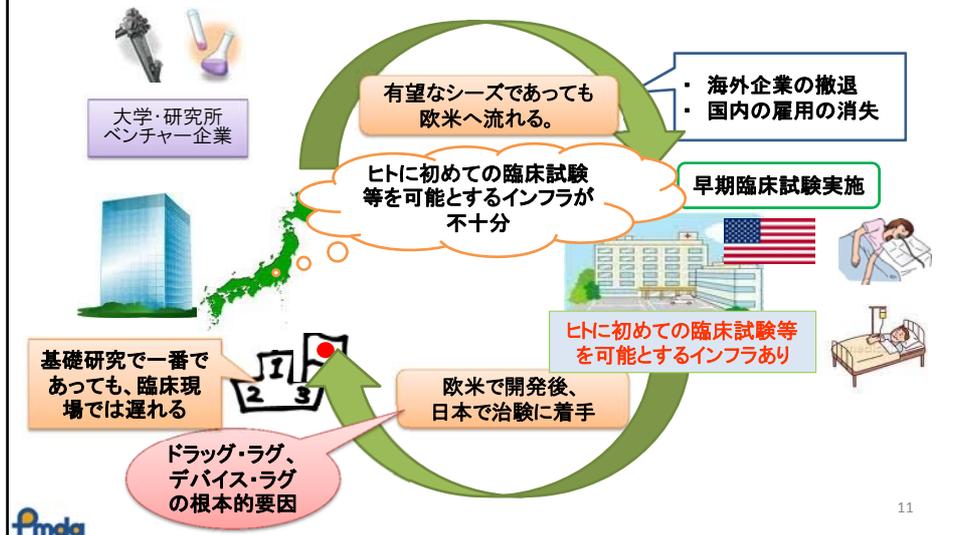


## 本日の内容

1. PMDAの業務について
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. 薬事戦略相談の活用について

## 現状の医薬品・医療機器開発の問題点

- 日本発のシーズであるにもかかわらず、欧米での臨床試験・開発が先行し、日本の患者がその恩恵を受けるのが欧米より遅れるケースもある  
→ 患者・国民の理解が得られない。



### アカデミア・ベンチャー等

開発ストラテジーが設計できず、開発の見通しが立たない。  
基礎研究の成果(創業シーズ)が実用化につなげていけない。

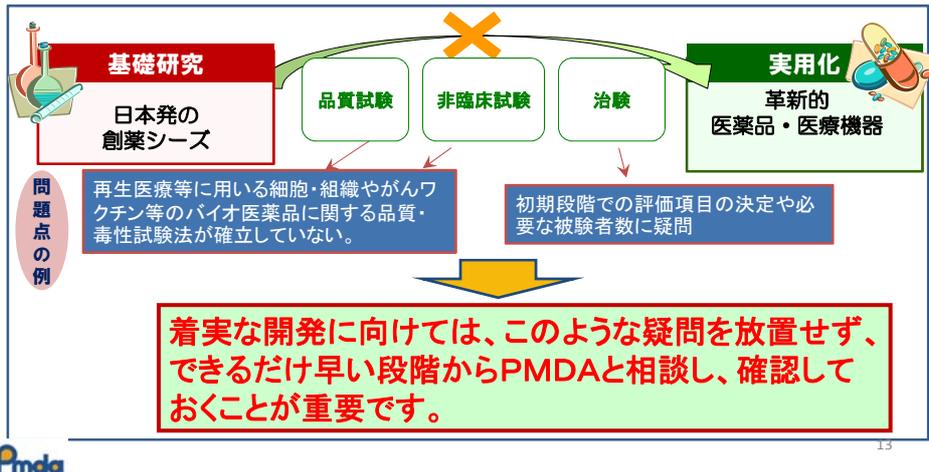
医療イノベーション推進の施策の一環として、  
薬事戦略相談事業を開始

#### 概要等

- シーズ発見後のアカデミア(大学)、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とする「薬事戦略相談」を導入する。
- 「薬事戦略相談」においては、薬事に精通した製薬企業出身者を含む多彩な相談員を確保して、開発・薬事の相談に応じる。
- 官民協力により事業を推進するため、「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」を設置し、相談事業の優先順位付け、実現可能性等の検討を行う。

## 薬事戦略相談(事業の概要)

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する指導・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。



## 薬事戦略相談の対象及び内容

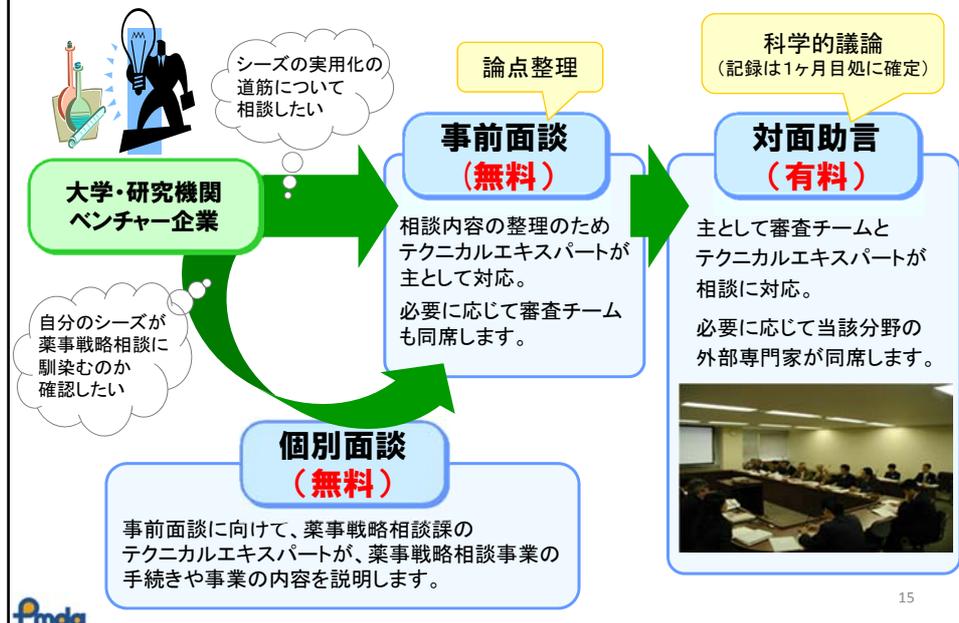
- 有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とし、医薬品・医療機器候補選定の最終段階からPOC試験程度までの承認申請に向けて必要な試験・治験計画策定等に関する相談への指導・助言
- 対面助言の対象については、以下の優先分野に該当し、かつ、有望性が期待できる品目（例えば、医薬品では物質特許を出願中又は取得している品目、医療機器では機器の使用、デザイン、設計に係わる試案又はプロトタイプがある品目、若しくは将来的に画期的医薬品若しくは医療機器として実用化される可能性が高い品目など）

### 優先分野

再生医療(細胞・組織加工製品)分野の製品  
がん分野の製品  
難病、希少疾病分野の製品  
小児分野の製品  
上記以外でも特に革新的な技術を利用した製品  
(注)分野間の順位は問わない

- 従来、確認申請制度で対応してきたヒト又は動物由来の細胞・組織加工製品及び遺伝子治療用医薬品の開発初期段階からの品質及び安全性に係わる相談への指導・助言

## 薬事戦略相談（個別面談、事前面談、対面助言）



## 個別面談について

- 薬事戦略相談事業の理解を深めてもらうため、
- ✓ 薬事戦略相談について詳細に話を聞きたい。
- ✓ 研究内容やシーズ等を踏まえ、承認取得に向けてのご懸念点や、そもそも、どういう相談をどのようなタイミングで受けるようにすればよいか話を聞きたい。

等々、



**お気軽に話を聞きに来てください**

【詳しい申込み方法等はPMDAホームページでご確認ください】



## 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・論点の整理、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。

## 薬事戦略相談対面助言 相談区分と対象

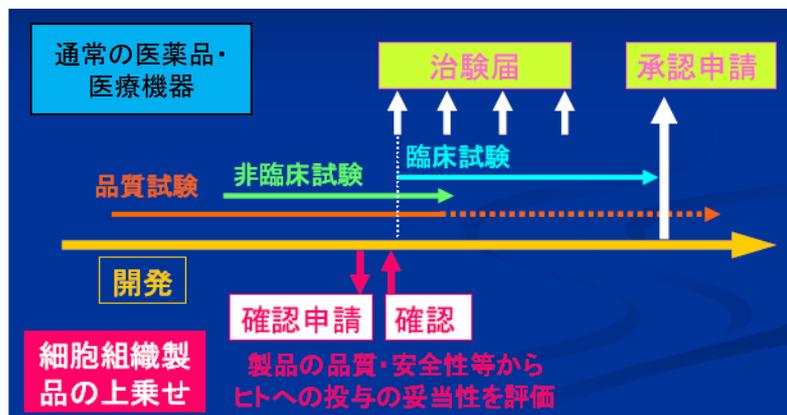
### ○ 医薬品戦略相談

- 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。

## 細胞・組織製加工製品の確認申請について



### 細胞・組織加工製品（平成23年8月31日廃止）

「細胞・組織を利用した医療用具又は医薬品の品質及び安全性の確保等について（医薬発第906号）」に基づく確認申請は、平成23年8月31日をもって廃止。

### 遺伝子治療用医薬品（平成25年8月31日廃止）

「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針について（薬発第1062号）」に基づく確認申請は、平成25年8月31日をもって廃止。

## 確認申請廃止に対する薬事戦略相談開始後の対応

### ① 確認申請で対応してきた細胞・組織加工製品及び遺伝子治療用医薬品に関する相談の基本スタンス

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 開発初期段階での品質・安全性に関する相談

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。

### ③ 細胞・組織加工製品及び遺伝子治療用医薬品の治験計画に対する相談

従来の確認申請では行われていなかった治験プロトコルの相談についても対応する。

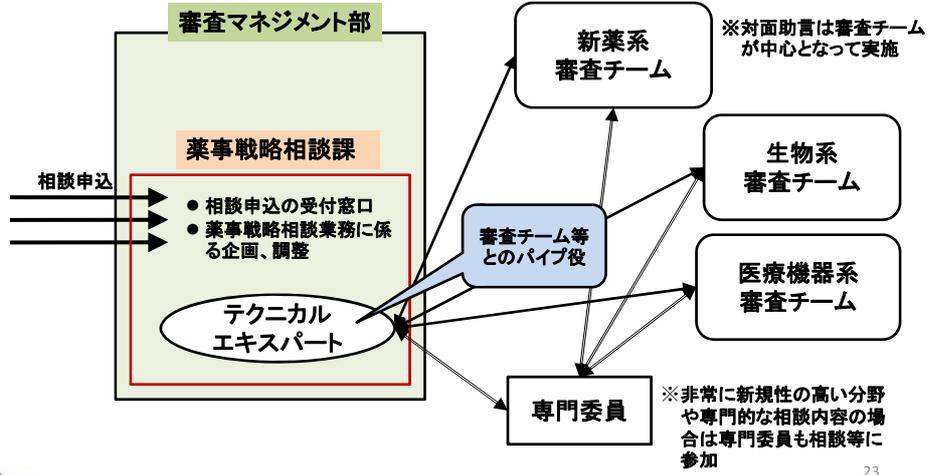
ただし、原則として、確認申請に相当する品質・安全性に関する相談とは別相談扱いとする。

## 相談対象と相談区分の関係

相談区分	相談対象					
	右記以外		細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品			
	医薬品	医療機器・体外診断薬	開発初期段階からの品質及び安全性に係わるもの		治験プロトコル等品質及び安全性以外に係わるもの	
医薬品			医療機器	医薬品	医療機器	
医薬品戦略相談	○	—	○	○	○	—
医療機器戦略相談	—	○	—	—	—	○

## 事前面談・対面助言の相談体制

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課を設置。



## 対面助言の際の相談手数料等

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)

詳細はPMDA  
ホームページで  
ご確認ください

医薬品戦略相談※1	1相談当たり※2	1,541,600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	154,100円
医療機器戦略相談※3	1相談当たり※2	874,000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	87,400円

※1: 細胞・組織加工製品及び遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性に係る相談は、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。

## 本日の内容

1. PMDAの業務について
2. 薬事戦略相談の事業内容
3. 薬事戦略相談の活用について



## 相談項目の立て方のイメージ

例えば、革新的製品で、  
有効性や安全性の評価方法について、  
既存の評価方法がない場合



このような有効性の評価方法を開発したが、この方法で証明できれば、有効性があると考えてよいか？

現時点では適切な指標はないので、最終的には、対象疾患の標準治療法との比較をすることを予定している。この考え方で問題ないか？



26

## 相談者に対するお願い

- 相談対象となる製品の内容、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ください。
- 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ください。

## 事例：アカデミア等からの相談例

Q:このシーズはどのような非臨床試験、臨床試験を実施すれば、承認してもらえますか？

### PMDA

どのような効能効果を考えていますか？

まず、どちらで承認申請を考えておりますか？

.....

### 相談者

〇〇がん選択的に分布するので、〇〇がんの診断薬にもなるし、治療薬にもなる。

もちろん、両方とも！

## 相談者の気持ち

画期的シーズを研究開発中で、その成果は色々なニーズに対応できると考えている。患者のために早く医療現場に提供すべく、頑張っているのだから、PMDAも知恵を出して欲しい。

## PMDAの気持ち

- ・体内診断薬と抗がん剤では、求めるデータパッケージや留意事項が異なる。
- ・異なる効能効果・用法用量の医薬品の申請データとして、共通して使える部分もあるかもしれないが、具体的なアドバイスには次の点を明確に。
  - － どのような効能効果を目指し
  - － どのような用法用量を視野に入れているのか
- ・どのような開発スケジュールを考えているのかわからない。  
(両方の効能とはいっても、どちらが開発しやすいのか)



29

## PMDAの基本スタンス

- 有望なシーズを将来の承認申請に向け開発する上で、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する。
- 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しています。
- 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おり、積極的に取り組んでいます。相談者が苦勞している内容をよく理解して親身いいかえれば懇切丁寧に対応することは大事だと認識しています。
- 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かと思えます。
- 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ります。
- これまでの研究者等との相談では、何でも相談に乗ってもらえるという理解で質問いただく場合もありますが、薬事戦略相談では開発段階から承認申請に向けて「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ます。



## 薬事戦略相談の現状 (2011/7/1～2014/6/30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	105	109	24	238 (35%)
企業・ベンチャー	78	275	23	376 (55%)
研究機関・その他	28	36	6	70 (10%)
計	211 (31%)	420 (61%)	53 (8%)	684 (100%)

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	217	117	85	419 (52%)
企業・ベンチャー	46	99	52	250 (31%)
研究機関・その他	68	24	52	144 (18%)
計	331 (41%)	240 (30%)	242 (30%)	813 (100%)

対面助言相談	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	72	23	20(28)	115(53%)/123(53%)
企業・ベンチャー	12	15	22(33)	49(23%)/60(26%)
研究機関・その他	29	5	11(17)	45(22%)/51(22%)
計	113(54%)	43(21%)	53(25%)/78(33%)	209(100%)/234(100%)

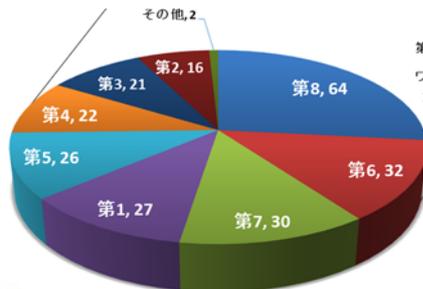
赤字は、細胞組織加工製品の品質及び安全性に係る相談で複数日に渡り行った相談を加えた延べ件数及び割合

31

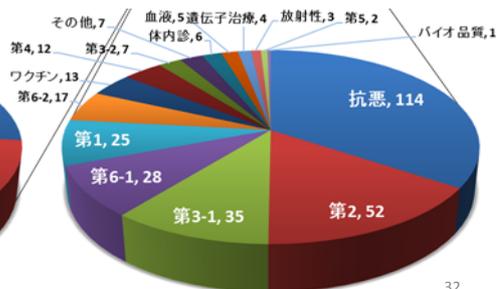
## 事前面談実施件数の内訳 (2011/7/1～2014/6/30)



医療機器の分野別内訳(240件)



医薬品の分野別内訳(331件)



32

## 新医薬品及び医療機器の分野

	分 野	対 象
新 医 薬 品	第1分野	消化器官用薬、外用薬
	第2分野	循環器官用剤、抗パーキンソン病薬、脳循環・代謝改善薬、アルツハイマー病薬
	第3分野の1	中枢神経系用薬、末梢神経系用薬。ただし、麻酔用薬を除く
	第3分野の2	麻酔用薬、感覚器官用薬(炎症性疾患に係るものを除く)、麻薬
	第4分野	抗菌剤、寄生虫・抗ウイルス剤(エイズ医薬品分野を除く)
	第5分野	泌尿生殖器官・肛門用薬、医療用配合剤
	第6分野の1	呼吸器官用薬、アレルギー用薬、感覚器官用薬(炎症性疾患)
	第6分野の2	ホルモン剤、代謝性疾患用薬(配合剤を除く)
	抗悪性腫瘍剤分野	抗悪性腫瘍用薬
	エイズ医薬品分野	HIV感染症治療薬
	放射性医薬品分野	放射性医薬品
	体内診断薬分野	造影剤
	再生医療製品分野	再生医療製品(細胞・組織加工製品)
	遺伝子治療分野	遺伝子治療薬、カルタヘナ
	バイオ品質分野	バイオ品質、バイオ後続品
ワクチン分野	ワクチン、抗毒素類	
血液製剤分野	血液製剤	
医 療 機 器	第1分野	主として眼科、耳鼻咽喉科領域
	第2分野	主として歯科領域
	第3分野	主として脳・循環器、呼吸器、精神・神経領域(材料系)
	第4分野	主として脳・循環器、呼吸器、精神・神経領域(機械系)
	第5分野	主として消化器系、泌尿器系、産婦人科領域
	第6分野	主として整形外科、形成外科、皮膚科関係領域
	第7分野	主として臨床検査領域(体外診断用医薬品関係)
	第8分野	主として多科に関わる医療機器、高度医用電子機器及び他分野に属さない医療機器
	細胞治療・再生医療分野	細胞・組織加工製品



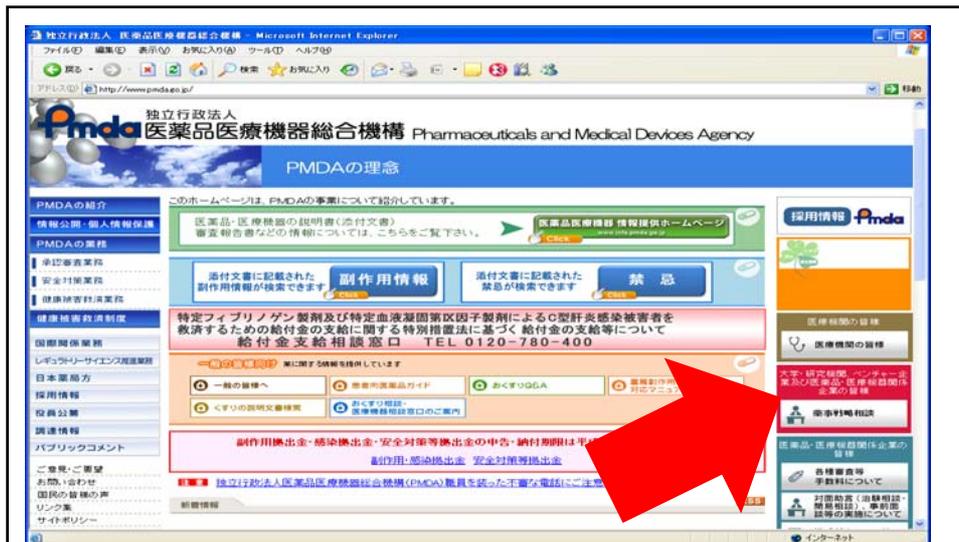
33

## 薬事戦略・対面助言実施例：医療機器・体外診断薬(18件)

相談申込者(所属、氏名等)	被験物の一般的な名称等	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)
京都府立大学法人 京都府立医科大学 眼科 科学教室 講師 外園千恵	再使用可能な視力補正用色付き コンタクトレンズ	重症多型浄出性虹斑による眼後遠視の治療
株式会社CIGS 代表取締役社長 今堀 良夫	未定	ホウ素中性子捕捉療法(BNGT)に使用する中性子線照射装置
独立行政法人国立循環器病研究センター 生体医工学部材料研究室 室長 中山 泰秀	カバードステント	経皮経カテーテル的に脳動脈の脳動脈瘤開口部に留置することで動脈瘤内の 血流を遮断する一方、分岐血管は開存させる、脳動脈瘤閉塞治療用多孔化カ バードステント
岩手医科大学 整形外科学講座 山崎 健准 教授	脊椎内固定器具	脊椎の強制および骨癒合、骨組織修復にいたるまでの一時的固定を補助する 固定用内副子として用いる
富山大学大学院医学薬学研究所 再生医学講 座 二階堂敏雄教授	ヒト乾燥羊膜	翼状片、角膜穿孔等眼表面疾患の修復材料
CYBERDYNE株式会社	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	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 廣岐 徹治 講師	甲状軟骨固定用ブリッジ	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。
株式会社ピー・アイ・テック 代表取締役社長 板東 貴一	体内固定用プレート	機骨遠位端における骨折及び変形治療等に対する内固定及び再建術に使用 する
ノボキア株式会社 代表取締役 島村 義樹	未定	成人患者の再発性芽腫の治療に用いる装置
(独)国立がん研究センター中央病院 放射線治 療科 科長 伊丹 純	加達器中性子捕捉治療装置	加達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 科教授 窪田 吉信	結紮器及び縫合器	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 教授 瀬藤 光利	質量顕微鏡	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 篤志教授	未定	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 教授 伊藤 壽一	手術用ロボット手術ユニット	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
福島県立医科大学付属病院 歯科口腔外科 准教授 長谷川 博	非吸収性骨再生用材料	歯科骨欠損部の外科治療において、骨組織再生を図る目的で使用する
大阪大学大学院医学系研究科 村瀬剛講師	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	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
株式会社ニテック 代表取締役 小澤 崇生	眼撮影装置	眼球内に挿入し、眼球内の観察、診断、撮影又は治療のための画像を提供す る
埼玉医科大学 呼吸器内科 教授 萩原 弘一	コンパニオン診断システム(仮)	高速シーケンサーを用いた多数の薬剤関連遺伝子を同時に測定するシステム



※相談終了後に公開に同意頂いたもの



【詳しい内容はPMDAホームページでご確認ください】

ご静聴ありがとうございました

