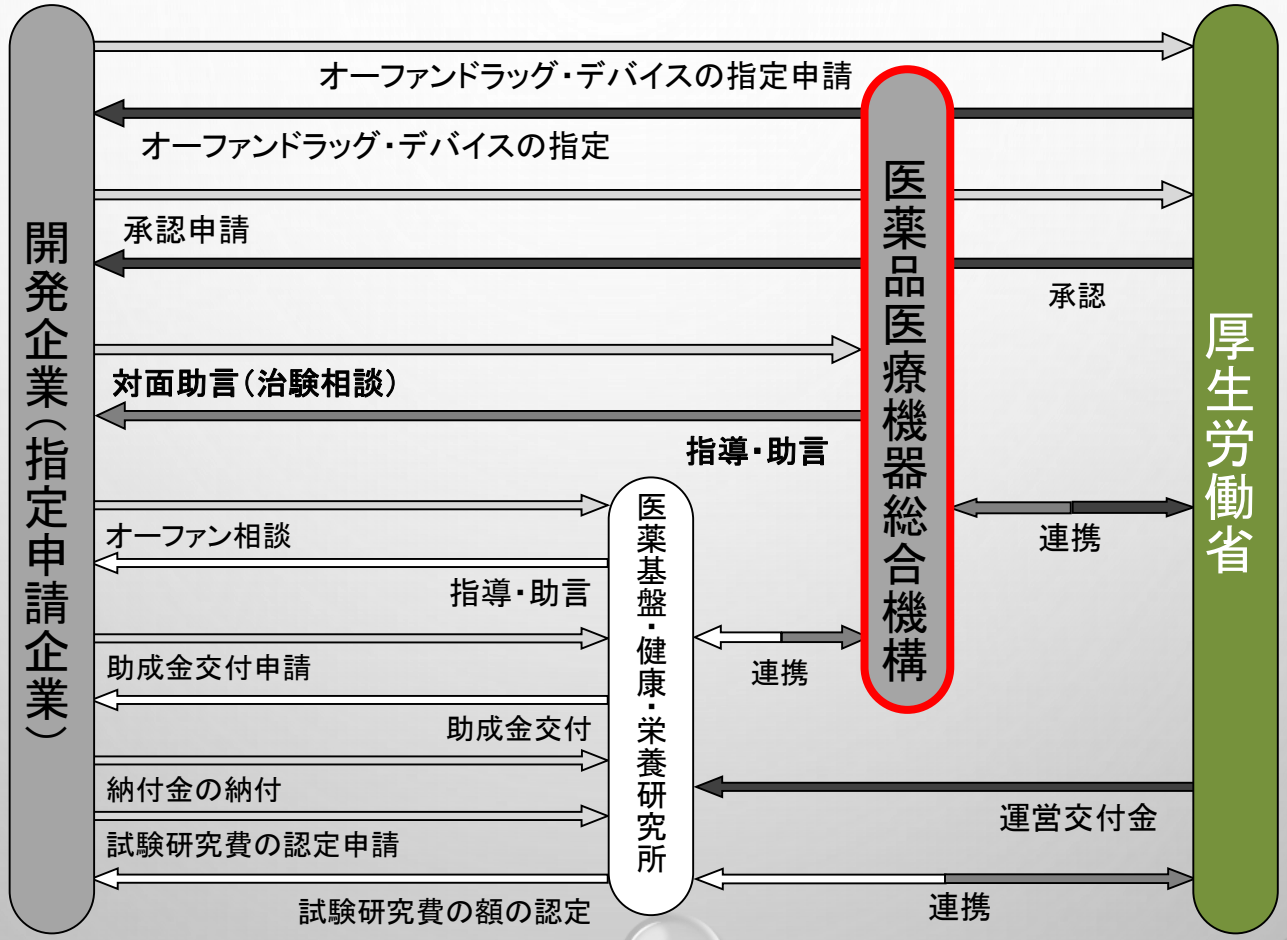
希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品に係る優先的な対面助言、優先審査及び手数料の減免とRS戦略相談／総合相談について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

- 大阪会場：ワクチン等審査部　仲井　友子
- 東京会場：新薬審査第五部　河野　紘隆

希少疾病用医薬品・医療機器・再生医療等製品の指定制度におけるＰＭＤＡの役割



希少疾病用医薬品・医療機器・再生医療等製品の開発を促進するための支援措置について

(1)助成金の交付
(2)指導・助言
(3)税制措置
(4)優先審査
(5)再審査期間の延長

支援措置：(4)優先審査

できるだけ早く医療の現場に提供できるよう、通常、他の医薬品・医療機器に優先して承認審査がなされる。

✓審査順位の優先

✓総審査期間（平成28年度目標値）：

医薬品：70%タイル値で9ヵ月

（通常品目：70%タイル値で12ヵ月）

医療機器：70%タイル値で10ヵ月

（通常品目：70%タイル値で14ヵ月）

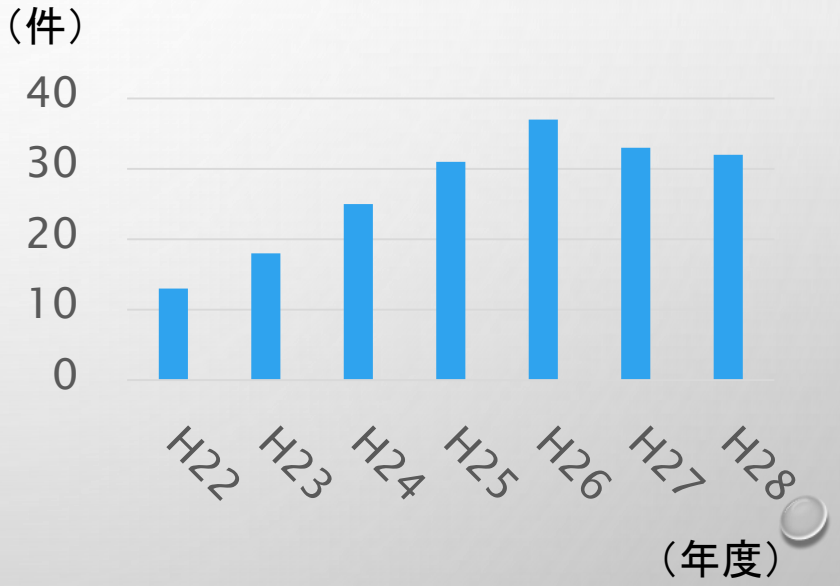
優先審査品目の総審査期間

優先審査品目*の総審査期間（医薬品）

年　度	タイル値	総審査期間	
		目標	実績
平成22年度	50%	10ヵ月	12.0ヵ月
平成23年度	50%	9ヵ月	9.2ヵ月
平成24年度	50%	9ヵ月	9.0ヵ月
平成25年度	50%	9ヵ月	8.0ヵ月
平成26年度	60%	9ヵ月	8.9ヵ月
平成27年度	60%	9ヵ月	8.8ヵ月
平成28年度	70%	9ヵ月	8.8ヵ月

*未承認薬対応の公知申請は除く

優先審査品目*の承認件数（医薬品）



*未承認薬対応の公知申請は除く

支援措置：医薬品承認申請手数料の減額

希少疾病用医薬品に指定された場合、承認申請手数料（審査+適合性調査）が減額される。

＜新規承認の場合の例＞

コード	手数料区分		国＋機構
GAA	新薬その1*（オーファン以外）	先の申請品目	36,642,100円
GAB		規格違い品目	4,980,700円
GAC	新薬その1*（オーファン）	先の申請品目	27,977,000円
GAD		規格違い品目	3,483,600円
GAK	新薬その2**（オーファン以外）	先の申請品目	16,664,000円
GAL		規格違い品目	2,169,400円
GAM	新薬その2**（オーファン）	先の申請品目	12,736,000円
GAN		規格違い品目	1,587,700円

*：新有効成分含有医薬品、新投与経路医薬品、新医療用配合剤及びバイオ後続品が該当する。
**：新効能医薬品、新剤形医薬品、新用量医薬品及び類似処方配合医薬品が該当する。

審査関連業務＞承認審査業務（申請、審査等）＞申請等手続き＞審査等手数料・対面助言等の手数料について：
https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/user-fees/0001.html

支援措置：(2)指導・助言①

✓希少疾病用医薬品･医療機器･再生医療等製品に指定された品目に係る治験相談は、優先的な適用を受けることができる。

→<u>随時、治験相談に申し込むことができる。</u>

※通常品目の場合

1. 毎月第一勤務日のみの申し込みとなる。
2. 希望日時、持ち点（相談区分、申請区分等による点数）を参考に実施予定日時が調整される。

支援措置：(2)指導・助言②

✓相談手数料が減額される(医薬品のみ)

相談区分	手数料 (オーファン以外)	手数料 (オーファン)
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	4,578,500円	3,441,000円
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	1,752,800円	1,320,200円
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	3,737,800円	2,807,000円
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	7,419,900円	5,573,700円
医薬品申請前相談	7,419,900円	5,570,400円
医薬品追加相談	2,889,700円	2,171,200円

関西支部テレビ会議システムについて

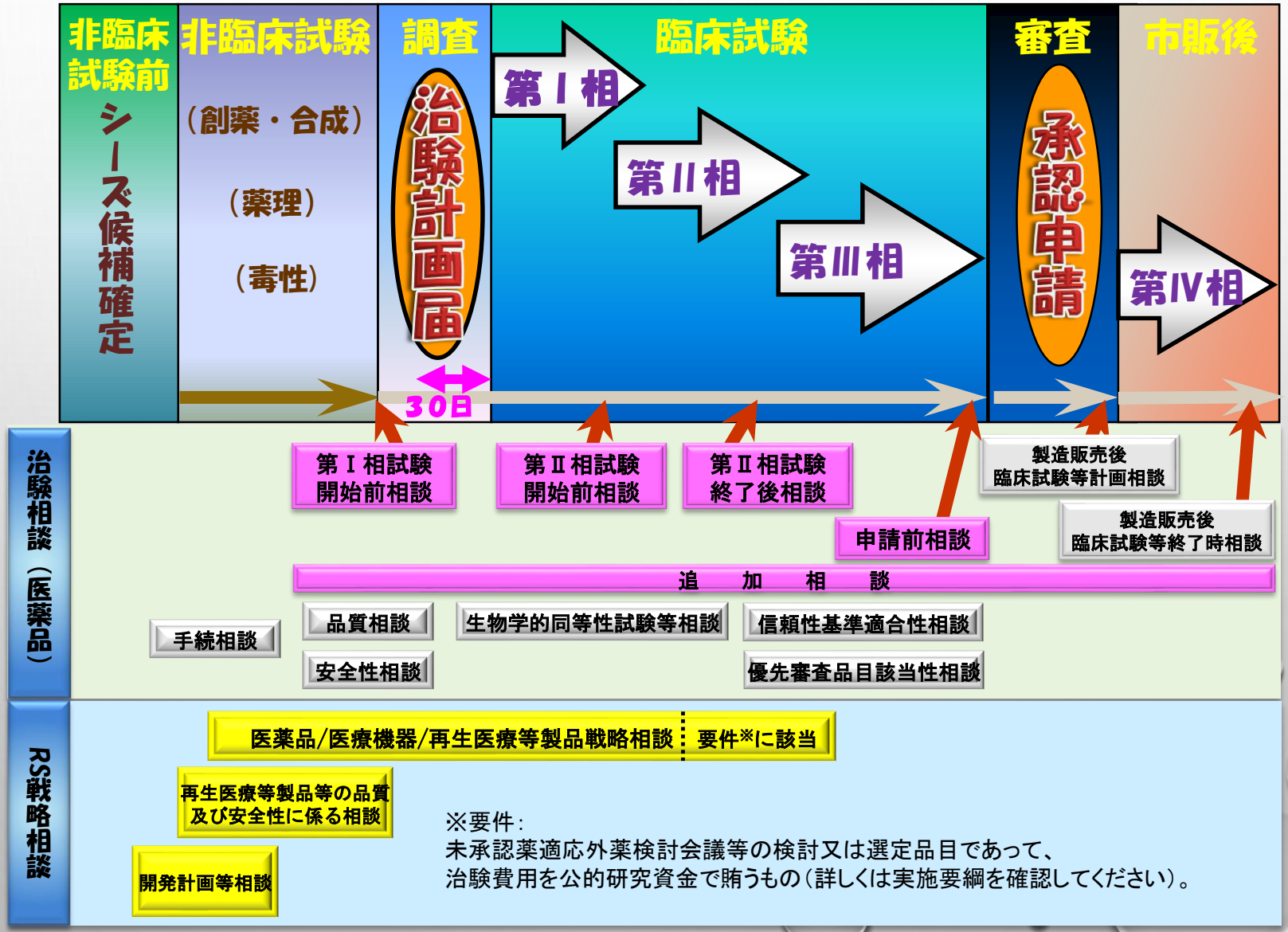
平成28年6月16日から、PMDA関西支部にあるテレビ会議システムを利用して、対面助言・RS戦略相談を実施することが可能となった。

【関西支部】 グランフロント大阪　北館　タワーB　12階

対象となる相談	手数料	平成29年度における手数料※1
対面助言	280,000円	140,000円
RS戦略相談	280,000円	140,000円又は無料※2

※1：平成29年度に関しては、大阪府による「独立行政法人医薬品医療機器総合機構関西支部支援体制確立事業」が実施されるため、平成30年3月31日までに「納付・申込」をした相談に限り減免
※2：低額要件に該当することが確定した場合

PMDAが行う対面助言（各種相談）



RS戦略相談の概要

大学・研究機関
ベンチャー企業

RS※総合相談
（旧個別面談）
（無料）

RS戦略相談に向けて戦略相談課及び相談課（関西支部）のテクニカルエキスパートが対応します。
（20分程度）
相談内容（例）
- RS戦略相談の相談事項の把握
- RS戦略相談の制度・事業の説明　等

一般的な内容

RS戦略相談

事前面談
（無料）

本相談の相談内容の整理のため、審査チームも同席し、テクニカルエキスパートが対応します。
（30分程度）

論点整理

対面助言
（有料）

主として審査チームとテクニカルエキスパートが相談に対応します。必要に応じて当該分野の外部専門家が同席します。
（2時間以内）

科学的議論
（記録は1ヶ月目処に確定）

※ RS: Regulatory Scienceの略

RS戦略相談：手数料

相談の区分	手数料（1相談当たり※1）	別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業に該当する場合の手数料（1相談当たり※1）
医薬品戦略相談	1,541,600円	154,100円
医療機器戦略相談※2	874,000円	87,400円
再生医療等製品戦略相談	874,000円	87,400円
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談※3	1,541,600円	154,100円
開発計画等戦略相談	73,600円	–

※1：対面助言の1相談当たりの相談時間は2時間程度。ただし、開発計画等戦略相談は30分程度とします。
※2：体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談の手数料を適用。
※3：1申し込みで複数回の対面助言が可能

RS戦略相談：対面助言の実施状況

対面助言	開始（注1）～平成24年度	平成25年度	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度6月末まで	合計
医薬品戦略相談	48	66	48	58	40	13	273
医療機器戦略相談	11	38	16	16	20	7	108
再生医療等製品戦略相談（注2）	－	－	2	11	14	3	30
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談（注3）	12 [20]	19 [32]	18 [44]	29 [55]	26[64]	8[15]	112[230]
開発計画等戦略相談（注4）	－	－	1	0	0	0	1
合計	71 [79]	123 [136]	85 [111]	114 [140]	100[138]	31[38]	524[642]

注1：薬事戦略相談事業は、H23.7.1から実施。
注2：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3：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4：H26.11.25から実施。（H29.3.31までは、薬事開発計画等戦略相談として実施。）

PMDAオーファン医薬品WG

希少疾病用医薬品の開発における問題点の整理、医療技術・科学の進展に併せた医薬品等の開発に関する新たな考え方・手法の検討・提案を実施し、希少疾病用医薬品が国内外でタイムラグなく開発されることを目指す

◆オーファン医薬品の開発を取り巻く現状及び新たな動向

- これまでの経験の整理・分析を行うことが必要である。
- 開発に関する新たな考え方や手法に関する情報を収集する。

◆海外規制当局との協力関係の構築

- 海外と日本での医薬品開発のタイムラグは縮まりつつある。
- 欧米規制当局は、オーファン医薬品に係る開発を一層促進するための体制の整備に取り組んでいる。

※横断的基準作成等プロジェクト：医薬品・医療機器の審査の科学的な考え方を明確化することで、製品開発の促進や審査基準等の国際連携の推進、審査迅速化につなげることを目的として関係部署が連携するプロジェクトである。審査情報やレギュラトリーサイエンス研究成果を体系化し、基準・ガイドライン等を作成するためにPMDA内横断的に活動する。→http://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/standards-development/cross-sectional-project/0001.html

主な活動内容

- 国内外へ日本の希少疾病用医薬品・医療機器の指定制度及び希少疾病用医薬品の開発状況等に関する情報を発信
- EMAとTerms of Reference (TOR) を作成

(http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2012/07/WC500130447.pdf)

  - ✓ 双方の希少疾病用医薬品指定制度についての相互理解
  - ✓ 希少疾病用医薬品指定の成果に関する情報交換
  - ✓ 希少疾病用医薬品に関する治験相談や承認審査等に係る情報交換
  - ✓ 希少疾病用医薬品のファーマコビジランス・製造販売後調査などに関する情報交換

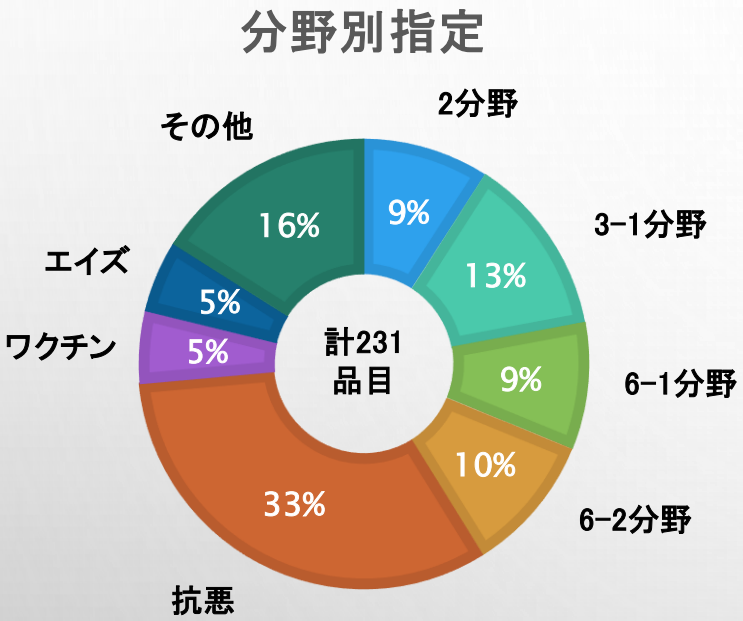
- オーファン医薬品指定品目リストを交換
- 定期的な電話会議により双方の希少疾病用医薬品指定の申請、指定後の開発支援の内容等について理解

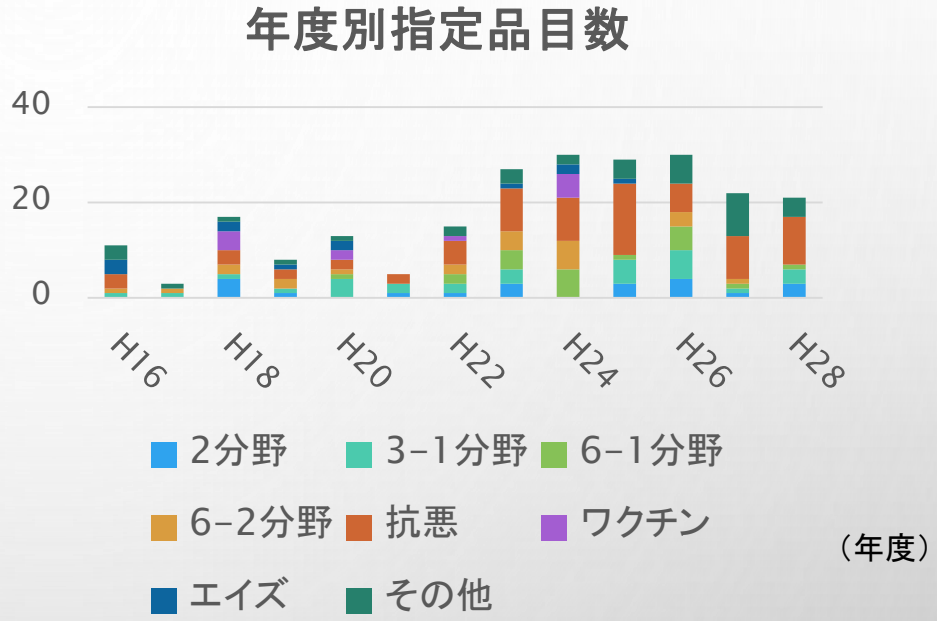
日米欧の開発支援制度

	日本	欧州	米国
	1993年	2000年	1983年
指定要件	・対象者数50,000人未満（3.9人/10,000人） または指定難病であること ・医療上の必要性 ・開発の可能性	・10,000人あたり患者数5人 ・重篤な疾患 ・医療上の必要性	患者数200,000人未満（6.5人/10,000人）または 米国において開発コストの回収が困難である
指定品目数（～2014年まで）	359	1368	3270
承認数/指定数	239/359（67%）	112/1368（8%）	479/3270（15%）
助成制度	医薬基盤研究所による開発支援事業	ECまたは他の団体による	Orphan products grants program
指導、助言	あり	あり	あり
ベンチャー企業への支援	薬事戦略相談	あり	Small business assistance
税制措置	あり	あり	あり

希少疾病用医薬品等の指定品目（分野別）

※平成16～28年度指定品目231品目について集計

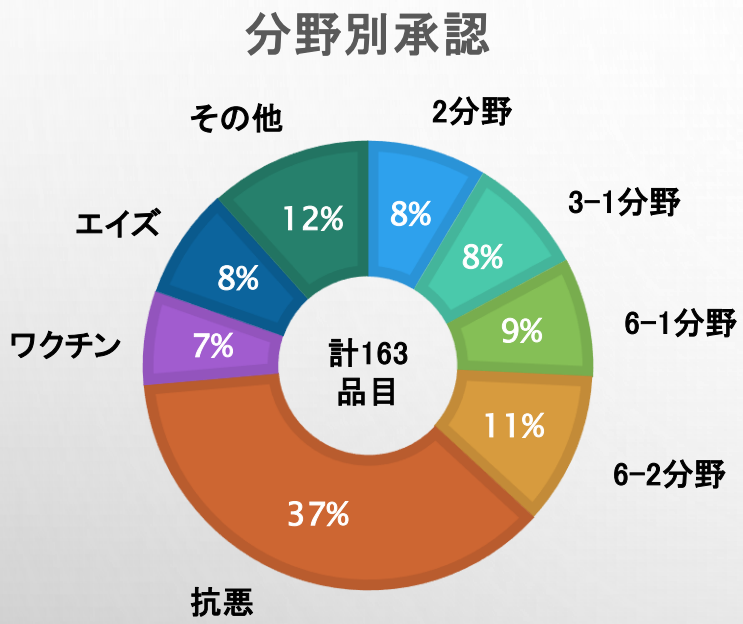


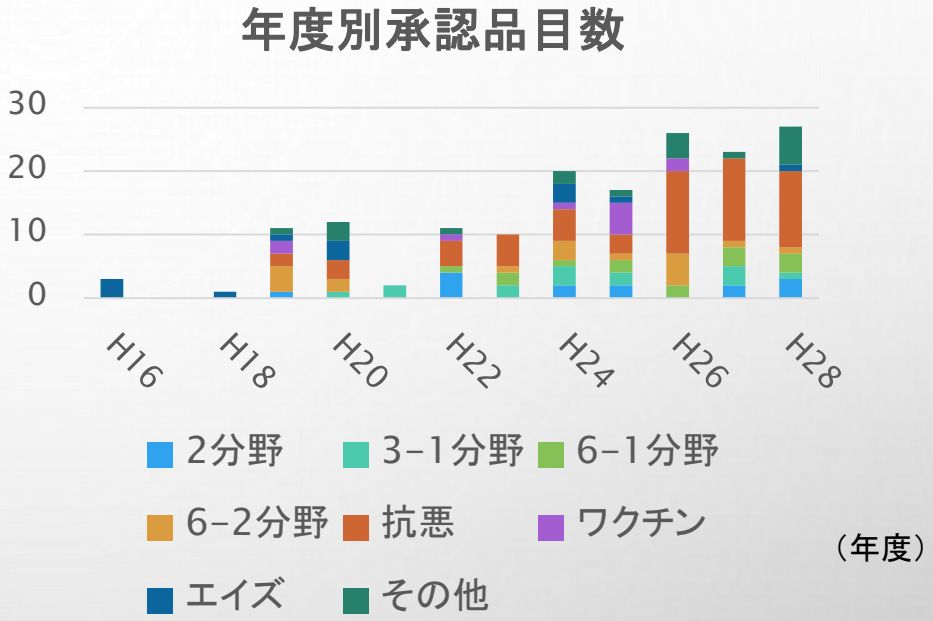


- 2分野：循環器用薬、抗パーキンソン剤、アルツハイマー病薬
- 3-1分野：中枢神経系用薬、末梢神経系用薬。但し、麻薬用薬を除く
- 6-1分野：呼吸器官用薬、アレルギー用薬（内服）、感覚器官用薬（炎症性疾患）
- 6-2分野：ホルモン剤、代謝性疾患用剤（糖尿病、骨粗鬆症、痛風、先天代謝異常等）
- 抗悪：抗悪性腫瘍薬
- ワクチン：ワクチン（感染症の予防）、抗毒素類
- エイズ：HIV感染症治療薬
- その他：消化器官用薬、抗菌剤、感覚器官用薬（炎症性疾患）、造影剤、血液凝固因子製剤
  細胞治療用医薬品、再生医療等製品　など

希少疾病用医薬品等の承認品目（分野別）

※平成16～28年度承認品目163品目について集計





・2分野：循環器用薬、抗パーキンソン剤、アルツハイマー病薬
・3-1分野：中枢神経系用薬、末梢神経系用薬。但し、麻薬用薬を除く
・6-1分野：呼吸器官用薬、アレルギー用薬（内服）、感覚器官用薬（炎症性疾患）
・6-2分野：ホルモン剤、代謝性疾患用剤（糖尿病、骨粗鬆症、痛風、先天代謝異常等）
・抗悪：抗悪性腫瘍薬
・ワクチン：ワクチン（感染症の予防）、抗毒素類
・エイズ：HIV感染症治療薬
・その他：消化器官用薬、抗菌剤、感覚器官用薬（炎症性疾患）、造影剤、血液凝固因子製剤
細胞治療用医薬品、再生医療等製品　など

ご静聴ありがとうございました。