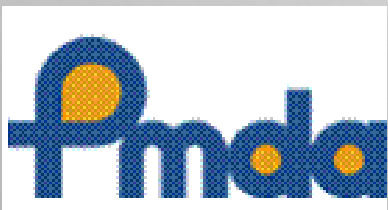


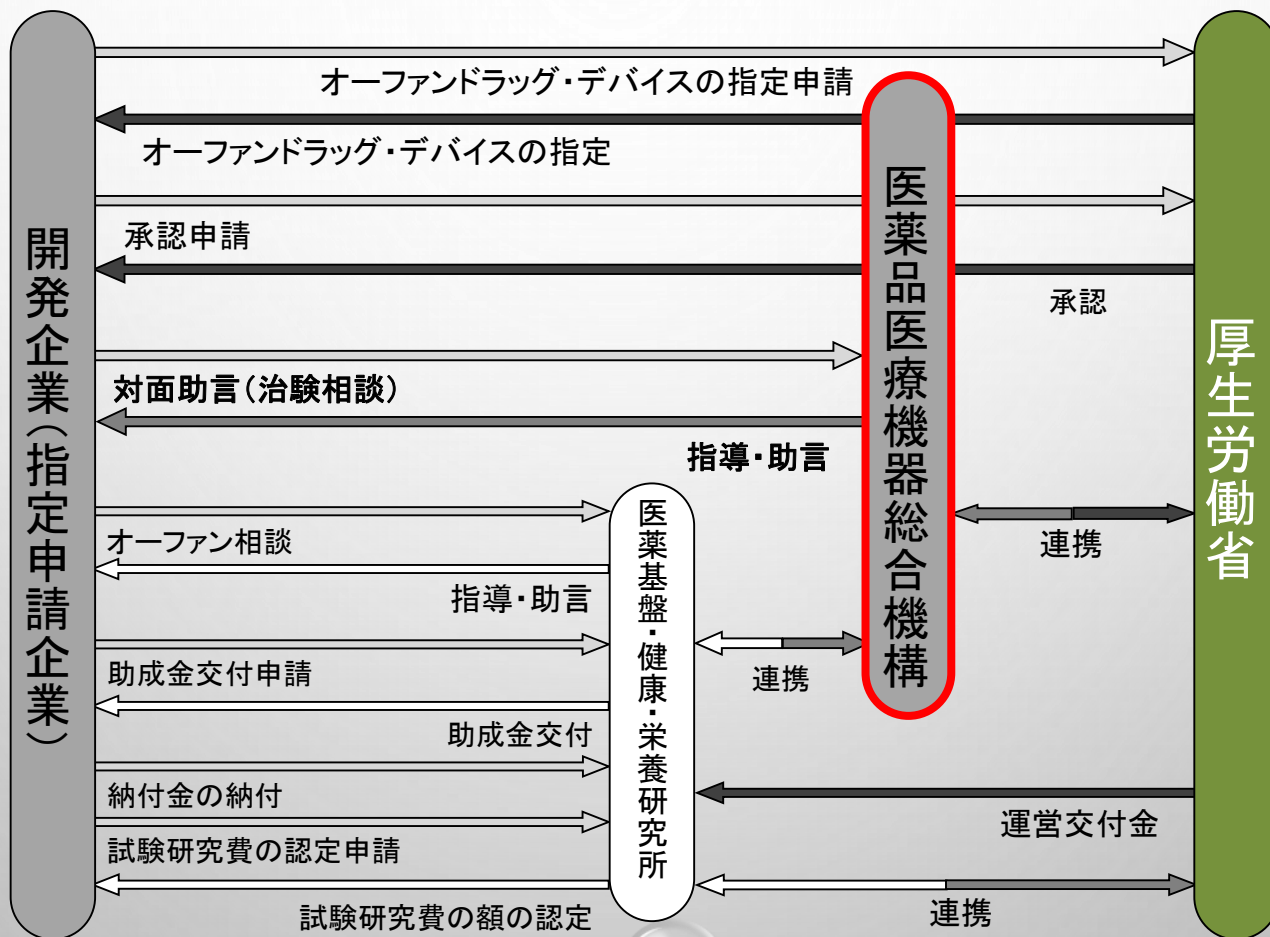
希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・ 希少疾病用再生医療等製品に係る優先的な 対面助言、優先審査及び手数料の減免と 薬事戦略相談について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

- 大阪会場：新薬審査第四部 成田 央
- 東京会場：新薬審査第一部 高松 紗絵子



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%マイル値で9ヵ月

(通常品目：70%マイル値で12ヵ月)

医療機器：70%マイル値で10ヵ月

(通常品目：70%マイル値で14ヵ月)

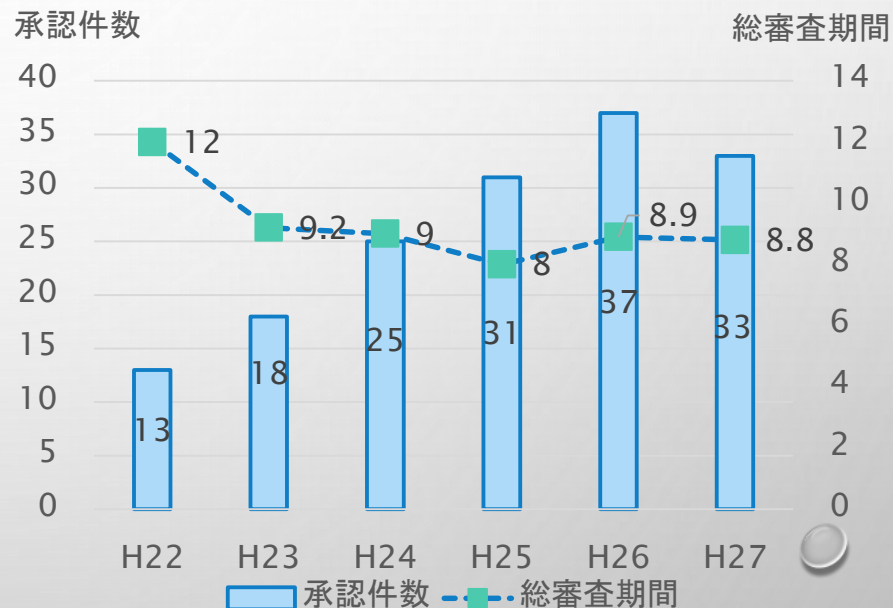
優先審査品目の総審査期間

優先審査品目の総審査期間(医薬品の場合)

年 度	目標値 (中央値)	実績
平成22年度	10ヵ月	12.0ヵ月
平成23年度	9ヵ月	9.2ヵ月
平成24年度	9ヵ月	9.0ヵ月
平成25年度	9ヵ月	8.0ヵ月
平成26年度	9ヵ月	8.9ヵ月
平成27年度	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と総審査期間



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。

例：新規承認

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	31,068,900円
GAB		規格違い品目	4,298,300円
GAC	新薬その1（オーファン）	先の申請品目	23,847,800円
GAD		規格違い品目	3,050,700円
GAK	新薬その2（オーファン以外）	先の申請品目	14,230,600円
GAL		規格違い品目	1,908,200円
GAM	新薬その2（オーファン）	先の申請品目	10,957,300円
GAN		規格違い品目	1,423,400円

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。

→随時、治験相談に申し込むことができる。

※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	4,360,500円	3,277,200円
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	1,669,400円	1,257,400円
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	3,114,900円	2,339,200円
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	6,183,300円	4,644,800円
医薬品申請前相談	6,183,200円	4,642,000円
医薬品追加相談	2,752,100円	2,067,900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・薬事戦略相談を実施することが可能となった。

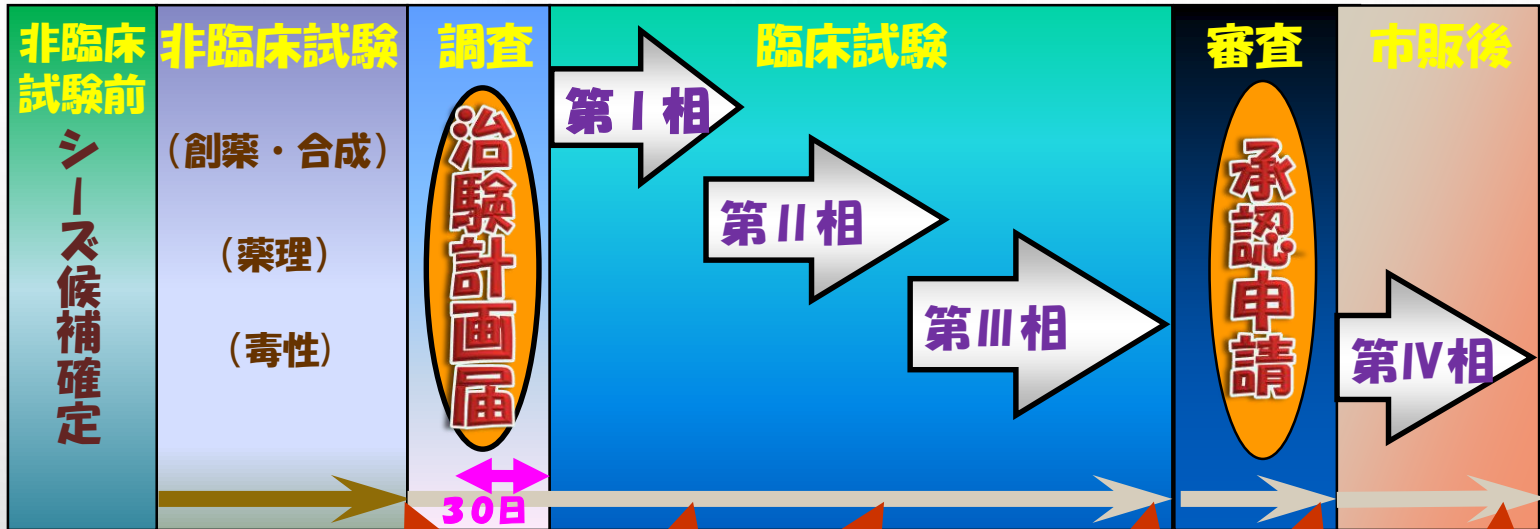
【関西支部】 グランフロント大阪 北館 タワーB 12階

対象となる相談	手数料	平成28年度における手数料※1
対面助言	280,000円	140,000円
薬事戦略相談	280,000円	140,000円又は無料※2

※1: 平成28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29年3月31日までに「納付・申込」をした相談に限り減免

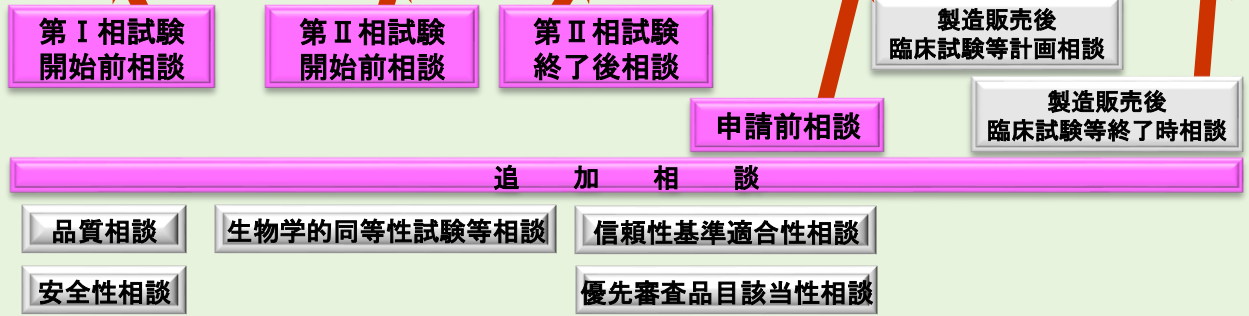
※2: 低額要件に該当することが確定した場合

PMDAが行う対面助言（各種相談）



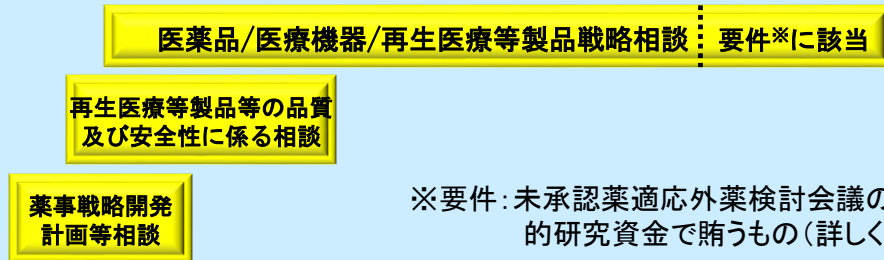
主に製薬企業向け

治験相談（医薬品）



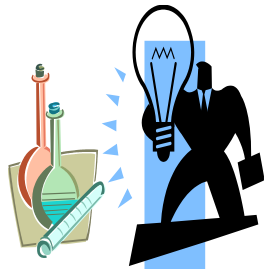
主にアカデミア・ベンチャー向け

薬事戦略相談



※要件: 未承認薬適応外薬検討会議の検討又は選定品目であって、治験費用を公的研究資金で賄うもの(詳しくは実施要綱を確認してください)。

薬事戦略相談のプロセスとその関係



シーズの実用化の道筋について相談したい

大学・研究機関
ベンチャー企業

自分のシーズが薬事戦略相談に馴染むのか確認したい

個別面談
(無料)

事前面談に向けて、薬事戦略相談課のテクニカルエキスパートが、薬事戦略相談事業の手続きや事業の内容を説明します。

論点整理

事前面談
(無料)

相談内容の整理のためテクニカルエキスパートが主として対応。
必要に応じて審査チームも同席します。

・必要な資料が整ってからの面談申込みをお願いします。また、面談申込みから面談実施までは2~3週間程度の準備期間が通常、必要となります。

科学的議論
(記録は1ヶ月目処に確定)

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。
必要に応じて当該分野の外部専門家が同席します。



薬事戦略相談：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
薬事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、薬事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

薬事戦略相談：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	合計
医薬品戦略相談	48	66	48	58	220
医療機器戦略相談	11	38	16	16	81
再生医療等製品戦略相談 ^(注2)	-	-	2	11	13
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]	78 [151]
薬事開発計画等戦略相談 ^(注4)	-	-	1	0	1
合計	71 [79]	123 [136]	85 [111]	114 [140]	393 [466]

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。

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

□国内外への日本の希少疾病用医薬品・医療機器の指定制度に関する情報発信

□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
- オープ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

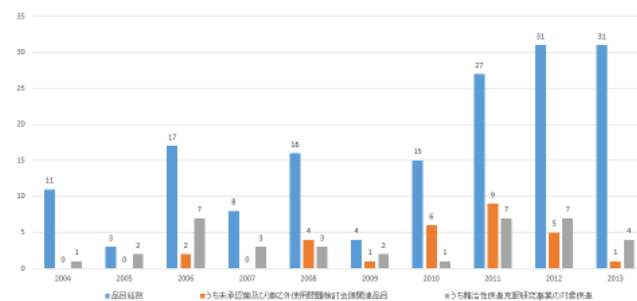
国内外への情報発信

➤ オーフアン医薬品Webサイトの開設

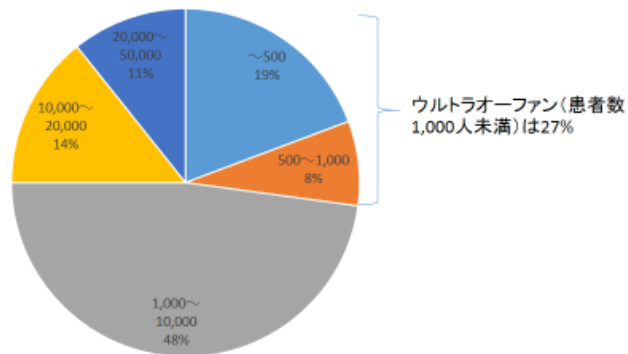


➤ 学会等で日本の希少疾病用医薬品の開発状況について紹介

希少疾病用医薬品指定品目数推移



希少疾病用医薬品指定品目(推定患者数別)



ウルトラオーファン(患者数1,000人未満)は27%

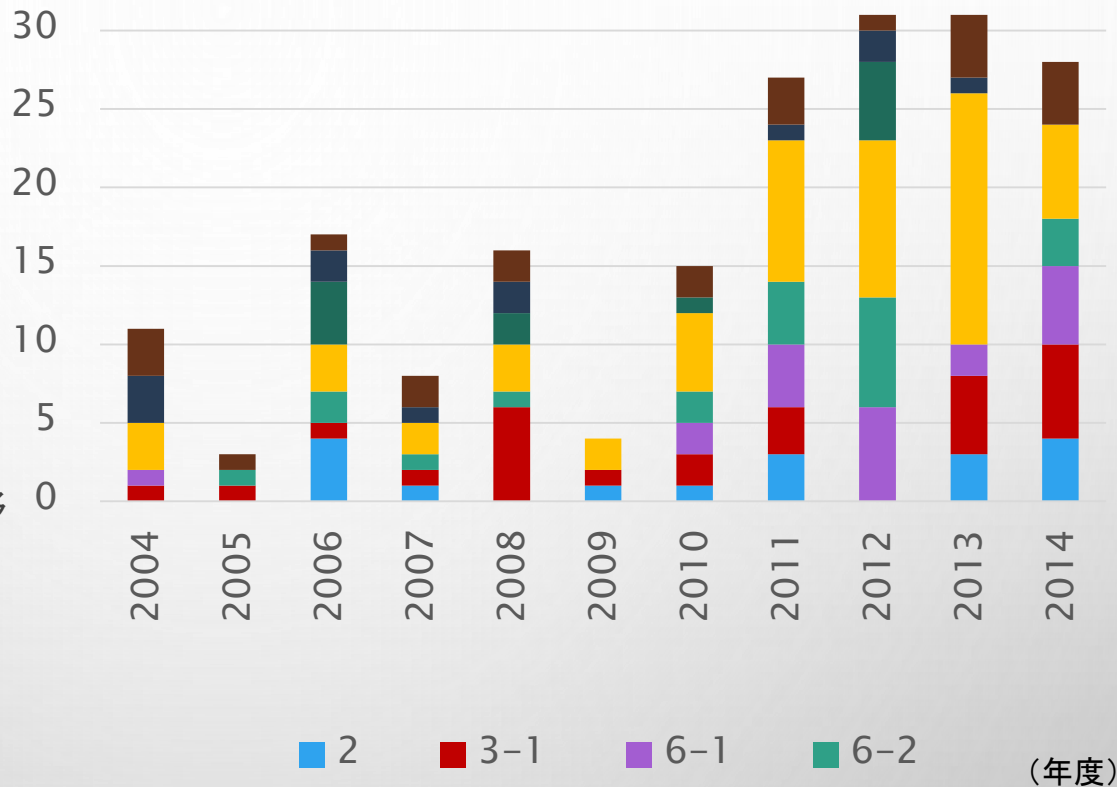
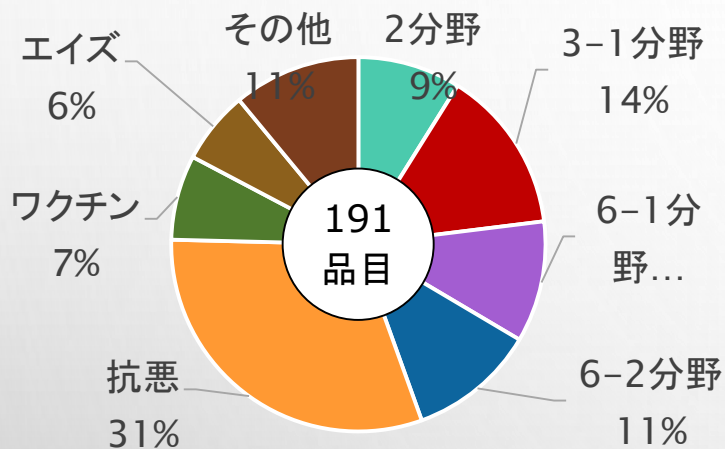
※エイズ治療薬及びワクチンを除いた140品目

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	<ul style="list-style-type: none"> ・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 	<ul style="list-style-type: none"> ・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

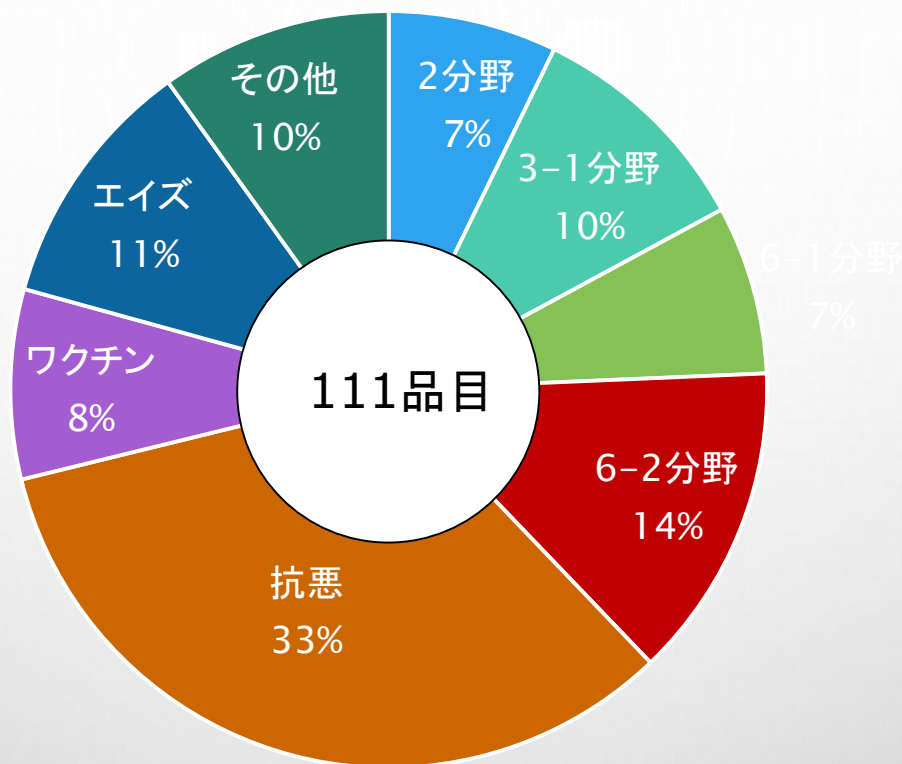
希少疾病用医薬品の指定品目(分野別)

※2004～2014年度指定品目191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: 呼吸器用薬、アレルギー用薬(外皮用薬を除く)、感覚器用薬(炎症性疾患に係るもの)
- ・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)
- ・エイズ: HIV感染症治療薬
- ・ワクチン: ワクチン(感染症の予防に係るものに限る)、抗毒素類
- ・抗悪: 抗悪性腫瘍薬

希少疾病用医薬品の承認品目（分野別）



※2004～2014年度の指定品目のうち承認済み111品目

- 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（外皮用薬を除く）、感覚器官用薬（炎症性疾患に係るもの）
- 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（感染症の予防に係るものに限る）、抗毒素類
- エイズ: HIV感染症治療薬
- その他

ご静聴ありがとうございました。

