

# 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27年1月19日  
東京大学TR機構 第5回シンポジウム

# 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

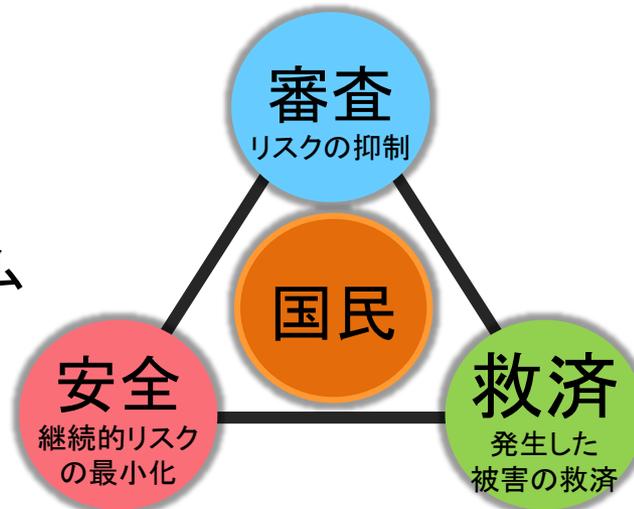
# PMDAとは？

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

国民の安全を守る  
世界に誇る薬事システム



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

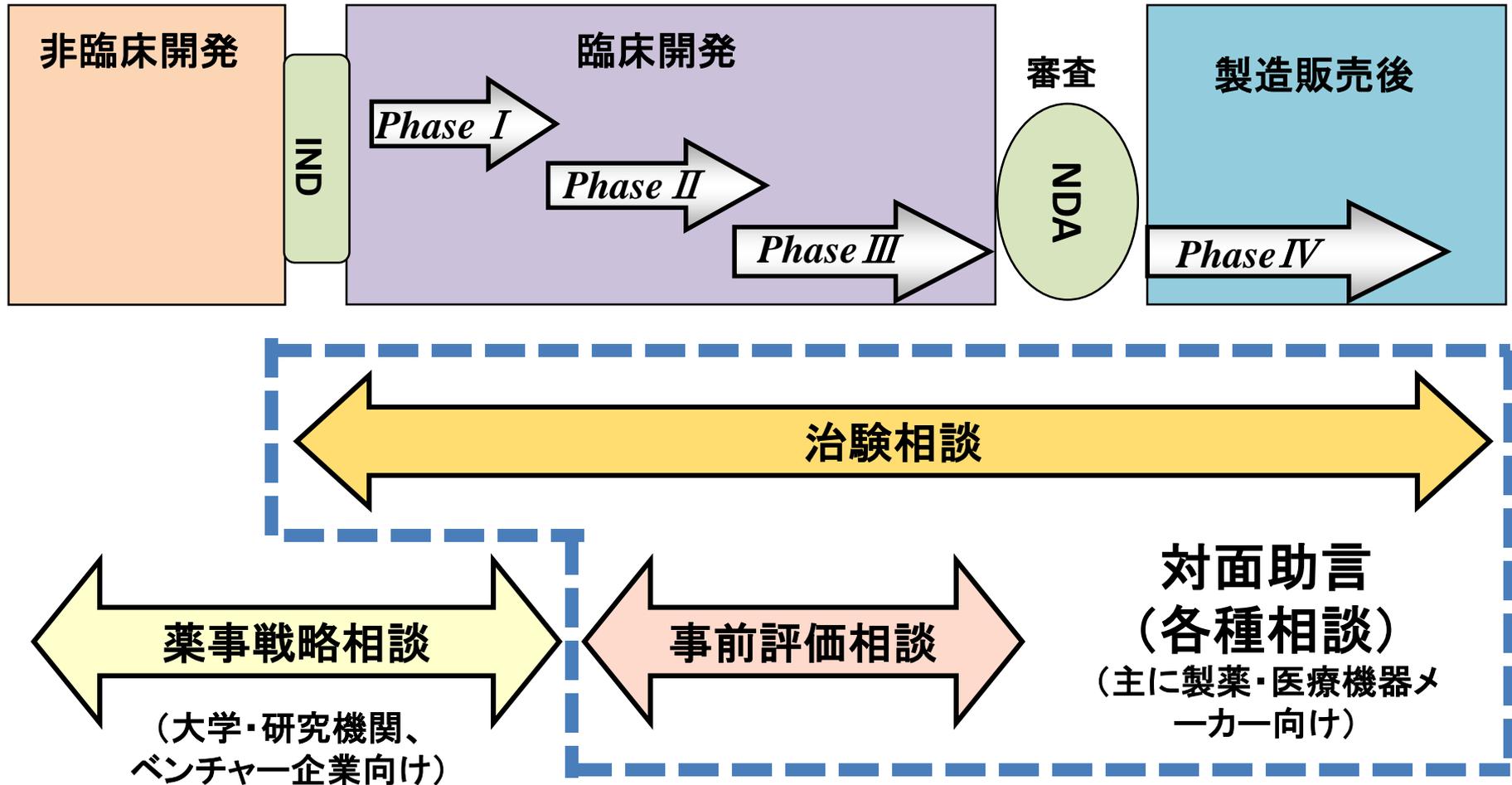
## 安全対策

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

# 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における対面助言と薬事戦略相談の位置づけ



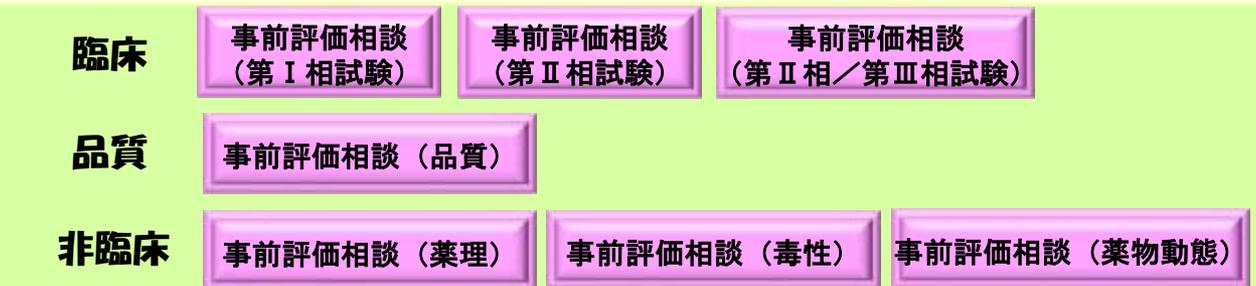
# PMDAが行う対面助言（各種相談）



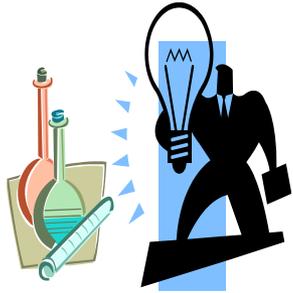
## 治験相談



## 事前評価相談



# 薬事戦略相談(個別面談、事前面談、対面助言)



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

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。

**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。

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。



# 薬事戦略相談の現状

(2011/7/1～2014/9/30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	109	124	26	259 (35%)
企業・ベンチャー	84	298	29	411 (55%)
研究機関・その他	29	38	7	74 (10%)
計	222 (30%)	460 (62%)	62 (8%)	744 (100%)

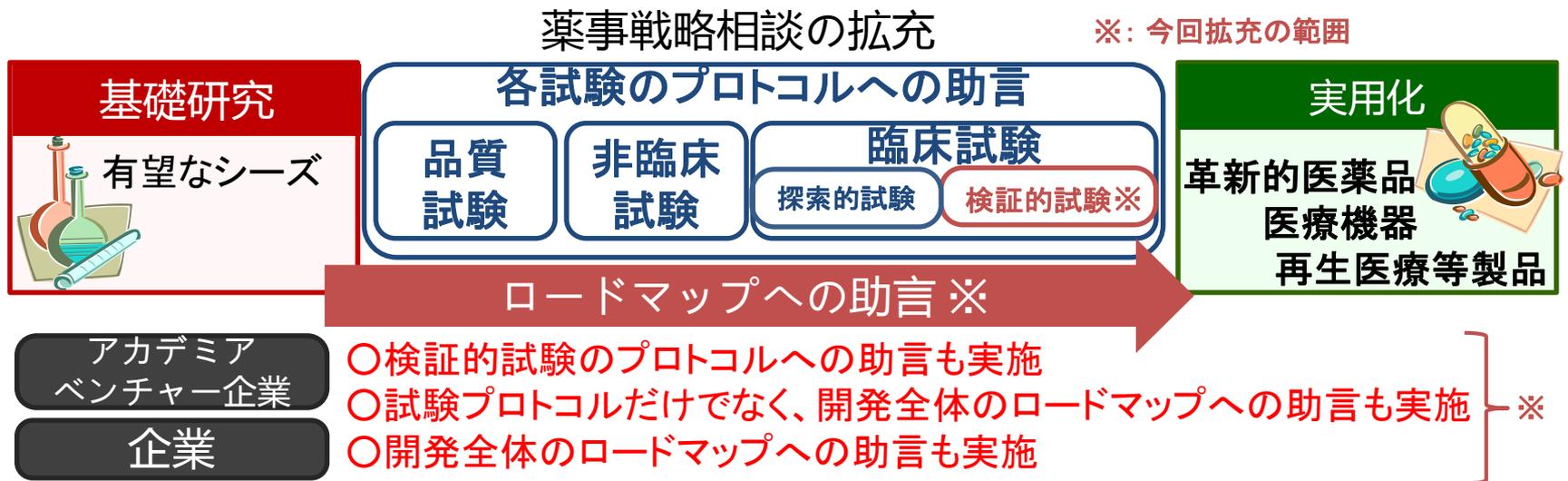
事前面談	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計
大学	244	130	97	471 (52%)
企業・ベンチャー	49	104	122	275 (31%)
研究機関・その他	74	25	55	154 (17%)
計	367 (41%)	259 (29%)	274 (30%)	900 (100%)

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	76	27	21 (30)	124 (55%) / 133 (52%)
企業・ベンチャー	13	16	26 (40)	55 (24%) / 69 (27%)
研究機関・その他	32	5	11 (19)	48 (21%) / 56 (22%)
計	121 (53%)	48 (21%)	58 (26%) / 89 (34%)	227 (100%) / 258 (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

# 薬事戦略相談に係る最近の状況

- 下記のとおり薬事戦略相談の相談区分の拡充・見直しを行い、11月25日(火)から実施。
  - ・検証的試験プロトコルへの助言として、一定の要件を満たす医療上の必要性の高い品目の場合には、アカデミアが主導する後期第Ⅱ相以降の検証的試験も、試行的に薬事戦略相談の対象とする。
  - ・ロードマップへの助言として、モノの特性に応じた開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関する助言のみを対象とする「薬事開発計画等戦略相談」を試行的に創設。
  - ・再生医療等製品の相談区分を、医薬品・医療機器から独立して設定。



- 11月5日(水)、関西支部において開所1周年記念シンポジウム「薬事戦略相談等の活用による「革新的医療技術の実用化促進に向けて」を開催した。

# 個別面談と事前面談

## 個別面談(手数料不要)

- 薬事戦略相談事業の理解を深めてもらうため、薬事戦略相談の詳細や、研究内容やシーズ等を踏まえた承認取得に向けての懸念点等の相互理解に関する面談
- 相談1回当たり、20分程度とする。
- 相談記録は作成しない。

## 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。

# 対面助言と薬事開発計画等戦略相談

## 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。

## 薬事開発計画等戦略相談(手数料必要)

- 開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関して、個別品目に対する事前調査を必須としない案件の相談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録は作成する。

# 対面助言の相談区分と対象

## ○ 医薬品、医療機器・体外診断薬、再生医療等製品に係る戦略相談

- ・ 開発初期段階から、今後の承認に向けて、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。

※アカデミアが自ら試験を実施する場合であって、次のいずれの要件も満たす医療上の必要性の高い品目にあっては、臨床開発初期以降の検証的試験も相談の対象とする。

- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」又は「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」の検討又は選定品目であること
- 検証的試験の全部又は一部(マッチングファンド等)の費用を公的研究資金によって賄うこと

## ○再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談

- ・ 細胞や遺伝子を加工した製品について、治験開始にあたり必要な品質及び安全性の充足性に関するデータの評価を伴う案件の相談を行う。

# 相談対象と相談区分の関係

相談区分	相談対象		
	医薬品	医療機器・ 体外診断薬	再生医療等製品
医薬品 戦略相談	○	—	—
医療機器 戦略相談	—	○	—
再生医療等製品 戦略相談	—	—	○
再生医療等製品等の 品質及び安全性に 係る相談	○	—	○
薬事開発計画等 戦略相談	○	○	○

# 対面助言の相談手数料

相 談 区 分	1申込当たりの 相談手数料
医薬品戦略相談※1	1,541,600円 (154,100円)※2
医療機器戦略相談※1、3	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品戦略相談※1	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品等の品質及び 安全性に係る相談※1、4	1,541,600円 (154,100円)※2
薬事開発計画等戦略相談※5	73,600円

※1: 1回当たりの相談時間は2時間程度

※2: 別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業の場合。

※3: 体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談にて対応。

※4: 1申込で複数回の対面助言が可能。

※5: 1回当たりの相談時間は30分程度。

# 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、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。

# 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？

## 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、今後得る予定のデータ、それらデータの利用方法、予定している効能・効果や用法・用量を明確にして、相談資料を作成してください。
- 相談の際には、相談者が懸念する課題と対応方法を具体的に示し、相談者としてその方法が適切と考える理由を明確にしてください。
- 例えば、相談者が作成した治験実施計画全般について懸念される点を意見してほしいといった相談事項は対応できませんので、ご注意ください。

# 事例：アカデミア等からの相談例

Q: 開発中のシーズについて、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・効果や用法・用量を考えていますか？

診断薬と治療薬のどちらの開発を優先しますか？

診断薬と治療薬では、モノも必要なデータも異なると考えますが？

.....。

## 相談者

標的分子は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、治療薬にもなると考えている。

両方を並行して開発したい。

一つのデータ取得で済ませたい。なんとかならないか。

# 事例：アカデミア等からの相談例

Q：既存の医療機器に最先端技術を付加することで、これまで以上の有用性が見込めるが、臨床試験開始にあたり必要な非臨床試験はどのようなものか？

## PMDA

最先端技術を盛りこんだ試作機器は、製造されていますか？

開発対象の既存機器に組み込んだ試作機器の製造は？

既存機器の大きさや、材質、動力源等は変わらずに内部構造のみが異なるということか？

.....。

## 相談者

最先端技術のみを盛りこんだ試作機器はある。

これからである。先の試作機器で非臨床試験を行い、先端技術を組み込んだ機器で臨床試験を行いたいと考えている。

そういう方向となるように頑張りたい。

# 事例：アカデミア等からの相談例

Q: 疼痛緩和効果のある新規作用機序物質を見いだした。希少疾患〇〇における疼痛緩和効果を検討し、希少疾病用医薬品として開発することを目指したい。

## PMDA

見いだされた物質は、希少疾患〇〇における疼痛のみに効果があるということか？

希少疾患〇〇に対象を限定する理由は？

希少疾患〇〇における疼痛緩和について、標準的な治療方法はあるか？また、効果等の比較はどうか？

.....。

## 相談者

希少疾患〇〇に限定的かどうかについて、不明であるが、標的物質が多く分泌されているとの論文がある。

標的物質の分泌に関する情報があり、標的物質との情報伝達系を専門分野として研究を行ってきたからである。

一般的な疼痛コントロールが行われているが、希少疾患と言うことで効果等の比較を行うことは困難である。

# 事例：アカデミア等からの相談例

Q：非臨床長期投与試験について、ガイドラインでは12か月と  
なっているが、6か月で評価することの適切性について相談  
したい。

## PMDA

6か月で評価が可能と考える理由は？

開発者として科学的な評価が必要と考  
えている期間は？

.....。

## 相談者

ガイドラインの記載は承知しているものの、  
年度をまたいだ資金運用ができないため、  
6か月が最長と考えた。

ガイドラインにある12か月という評価期間  
に違和感はない。

# 事例：アカデミア等からの相談例

Q: 臨床試験の症例数について、〇〇例を設定した受入れ可能か？また、本臨床試験結果のみから承認取得は可能か？

## PMDA

〇〇例を設定した理由は？

〇〇例で実施した本臨床試験から得られると予想される結果から、開発製品の臨床的意義を説明することは可能か？

.....。

## 相談者

研究資金と施設の受入れ可能な人数から算出した。

検証結果として、説明することは難しいと考えているが、現在の研究体制、資金から最大限の症例数と考えている。

## 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

- 体内診断薬と治療薬では、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、効能・効果や用法・用量が明確にならないと、具体的なアドバイスができない。
- 臨床試験や、上市する製品と大きく異なる物での検討は、その製品の有効性、安全性を審査する上では、参考情報程度にしかない。
- シーズの薬理作用等から効果が予想される対象疾患等を考慮した開発計画を考えてほしい。
- 研究体制や研究資金の問題は理解するものの、開発製品の有効性、安全性の説明が必要な症例数や評価期間があることは理解してほしい。

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 - Microsoft Internet Explorer

ファイル(E) 編集(E) 表示(V) お気に入り(A) ツール(T) ヘルプ(H)

戻る 検索 お気に入り

アドレス http://www.pmda.go.jp/ 移動

**独立行政法人 医薬品医療機器総合機構** Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

**PMDAの理念**

このホームページは、PMDAの事業について紹介しています。

医薬品・医療機器の説明書(添付文書) 審査報告書などの情報については、こちらをご覧ください。

[医薬品医療機器 情報提供ホームページ](#) www.info.pmda.go.jp

添付文書に記載された副作用情報が検索できます **副作用情報** Click

添付文書に記載された禁忌が検索できます **禁忌** Click

**特定フィブリノゲン製剤及び特定血液凝固第IX因子製剤によるC型肝炎感染被害者を救済するための給付金の支給に関する特別措置法に基づく給付金の支給等について 給付金支給相談窓口 TEL 0120-780-400**

一般の皆様向け 業に関する情報を提供しています

一般の皆様へ 患者向医薬品ガイド おくすりQ&A 重篤副作用対応マニュアル

くすりの説明文書検索 おくすり相談・医療機器相談窓口のご案内

**副作用拠出金・感染拠出金・安全対策等拠出金の申告・納付期限は平成**  
副作用・感染拠出金 安全対策等拠出金

**注意** 独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)職員を装った不審な電話にご注意

新着情報

採用情報 **Pmda**

医療機関の皆様  
医療機関の皆様

大学・研究機関・ベンチャー企業及び医薬品・医療機器関係企業の皆様

薬事戦略相談

医薬品・医療機器関係企業の皆様

各種審査等手数料について

対面助言(治験相談・簡易相談)、事前面談等の実施について

インターネット

**【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**