

# 平成23年7月から実施の医薬品・医療機器薬事戦略相談事業について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

1

---

## 1. 薬事戦略相談事業創設の背景

2

## 新医薬品・医療機器の創出(薬事戦略相談事業)

### 日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器に関する薬事戦略の相談事業

キャッチフレーズ「薬事戦略相談を導入し、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出につなげる」

**背景**

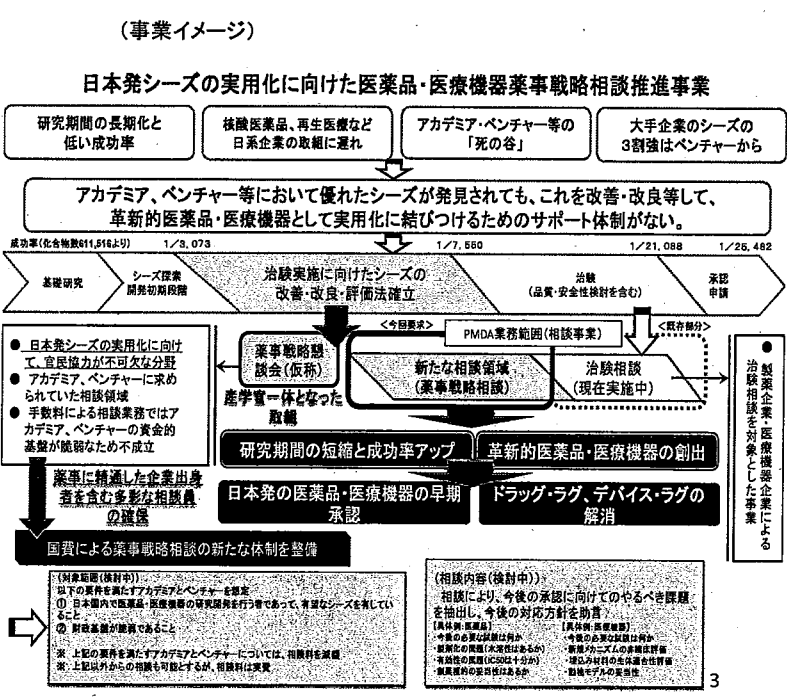
- 創薬の開発に要する期間・コストの増加傾向等により、シーズ探索段階の基礎研究に注力することが難しい。
- 画期的な医薬品・医療機器の開発には、有望なシーズの絶え間ない供給とその実用化への方策が重要。
- 国内では、有望なシーズを発見したアカデミア(大学)、ベンチャー等が、製品化につなげるための開発戦略に不案内ということがあり、実用化に向けての橋渡しが円滑に進められていない現状がある。

**概要**

- 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(仮称)」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。

**目標**

- 日本発の医薬品・医療機器の早期承認
- ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消



## 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。

5

---

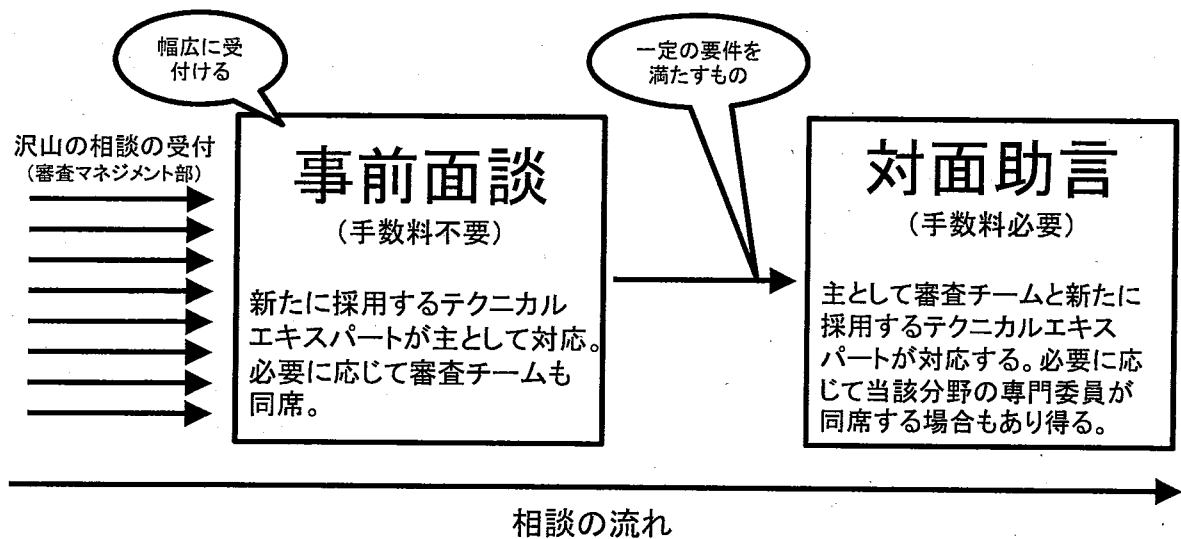
# 相談対象

- ・ 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。

6

# 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。



7

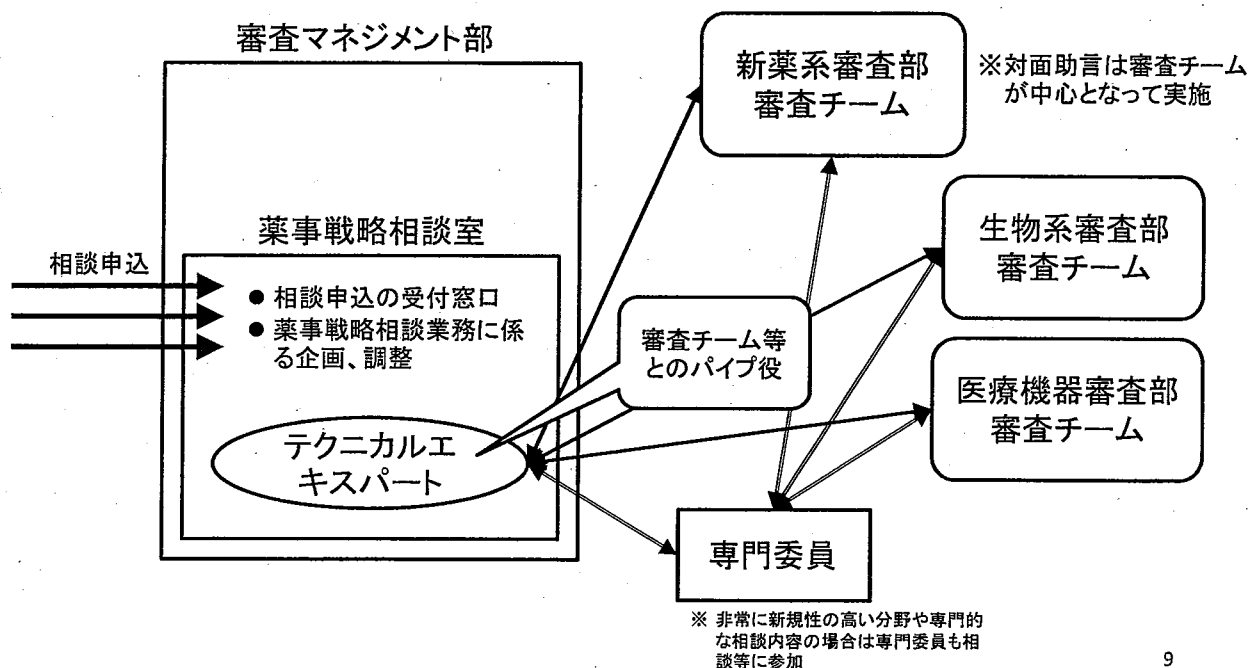
## 相談体制

- 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。

8

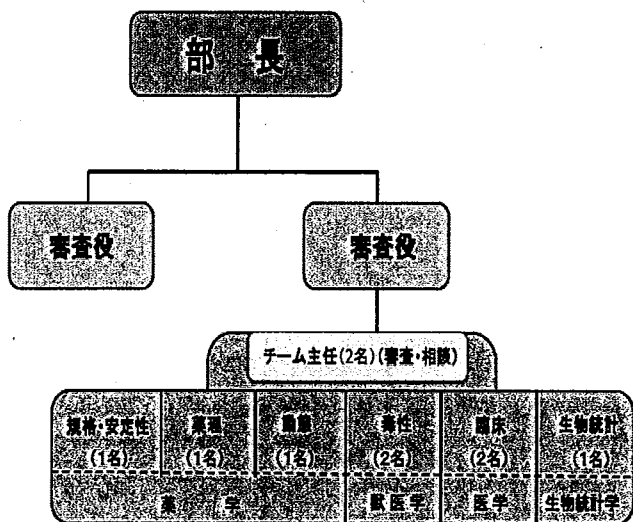
# 相談体制

- 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。

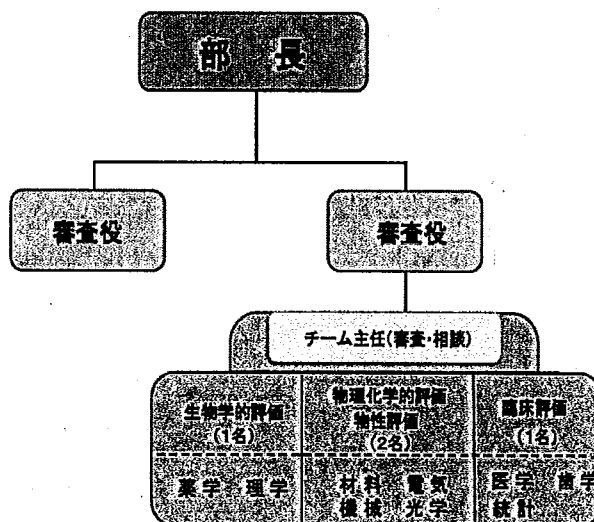


## (参考) 審査チームの体制

【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

原則として、下記の優先分野に該当し、かつ、有望性が期待できるもの

(例えば、

- ・医薬品の場合は物質特許を出願中若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、設計に係る試案若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若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。)

ただし、対面助言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がある。

なお、事前面談については、下記に係わらず相談を受け付ける

## 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

11

# 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。

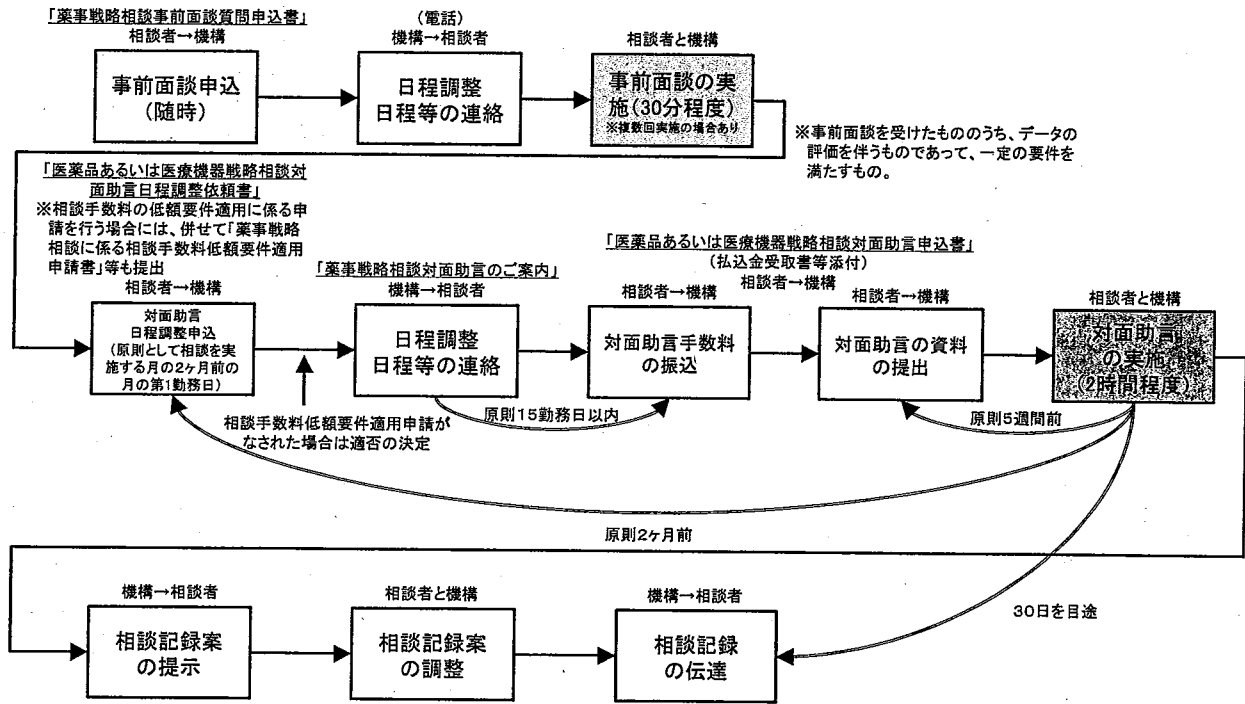
(対面助言(手数料必要))

- ・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。

12

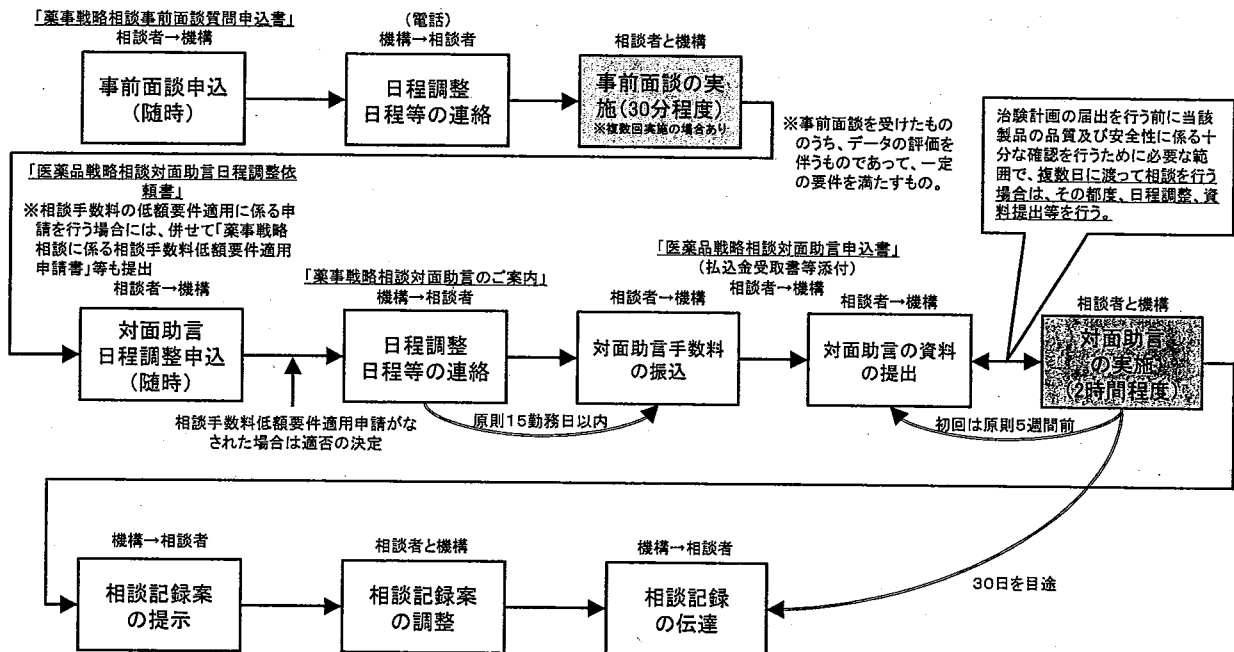
# 薬事戦略相談の流れの詳細

(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

(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。

15

## 「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)

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

(注意事項)

ベンチャー企業に係る低額要件適用については、以下の点にご留意下さい。

- ① 上記のベンチャー企業に関する項目中にある「法人」について、ベンチャー・キャピタルなど投資事業組合等の取扱いについては、関連する法令・基準等の運用に準じて個別に判断します。
- ② 当期利益に関し、会計処理上、開発費について繰延資産として計上している場合は、仮に費用として処理した場合における当期利益相当額を参考とします。
- ③ 前事業年度の決算において特別な事情等があり、直近2期における決算状況により判断する必要があると認められる場合には追って当該関連資料を提出いただき確認したうえで判断します。

16



# 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。

17

---

## 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。

18

### 3. その他

19

---

## 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。

20

## 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。

21

---

## 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。

22

# 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。