

先駆けパッケージ戦略 (概要版)

先駆けパッケージ戦略 (概要版)



先駆けパッケージ戦略

～世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器等の実用化を促進～

世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患等(希少がん、難病等重篤な疾患)に対し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等を日本発で早期に実用化すべく、基礎研究から臨床研究・治験、審査・安全対策、保険適用、国際展開までを一環として支援する戦略パッケージを推進。

重点施策Ⅰ

先駆け審査指定制度

重点施策Ⅱ

未承認薬迅速実用化スキーム (未承認薬等会議の対象範囲の拡大)



PMDAの体制強化(相談・審査・安全対策等の体制強化と質の向上)

レギュラトリーサイエンスの推進(最先端技術の評価手法の開発やガイドラインの作成等)

先駆け審査指定制度

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

指定基準

○画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を対象とした医薬品等について、以下の2要件を基に指定

1. **世界に先駆けて日本で開発され、申請が計画されること**(開発初期からPMDAの相談を受けていることが望ましい)
2. 作用機序等の非臨床試験データ及び開発初期(第Ⅰ相から前期第Ⅱ相まで)の**臨床試験データから、既存の治療法に比した大幅な改善等、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれること**

指定制度の内容

:承認取得までの期間の短縮に関するもの :その他開発促進に関する取組

①優先相談

[2か月 → 1か月]

- 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

②事前評価の充実

[**実質的な審査の前倒し**]

- 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

③優先審査

[12か月 → 6か月]

- 総審査期間の目標を、6か月に。
※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

④審査パートナー制度

[**PMDA版コンシェルジュ**]

- 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置。

⑤製造販売後の安全対策充実

[**再審査期間の延長**]

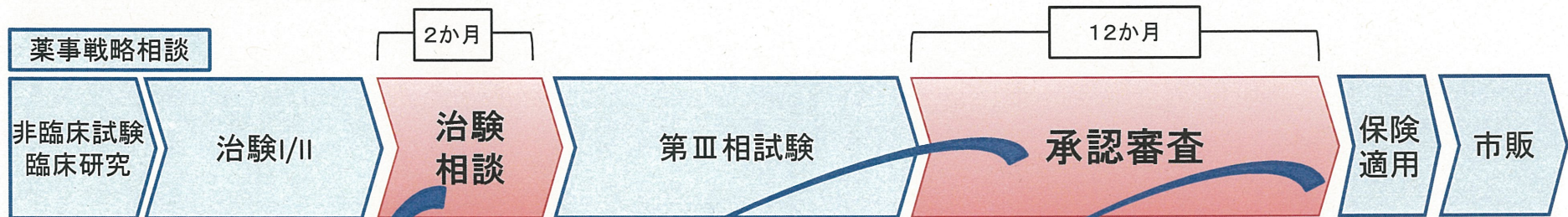
- 再審査期間の延長を含めた製造販売後の安全対策、海外への情報発信、学会との連携等の充実

指定手続

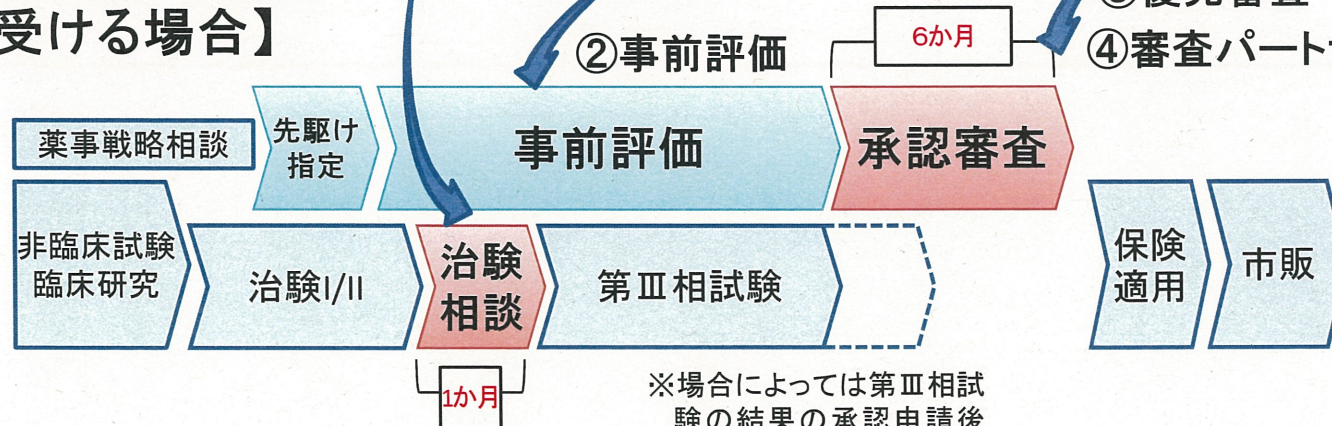
1. 申請者が審査管理課に申請し、PMDAの評価を受け、60日以内に指定の可否を通知。
2. 審査管理課が申請者に指定の申請を打診し、申請があった場合、PMDAの評価を受け、30日以内に指定の可否を通知。

具体的なイメージ図

【通常の承認審査の場合】



【先駆け指定を受ける場合】



※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認める

- ①優先相談
- ②事前評価
- ③優先審査
- ④審査パートナー制度

革新的医薬品等の
早期実用化

- ⑤製造販売後の安全対策充実(再審査期間等)

未承認薬迅速実用化スキーム

未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬にまで拡大し、企業に対して開発要請を行うことで、世界に先駆けての重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速する。

なお、欧米未承認の品目で国内開発企業とのマッチングに時間を要するものなどについては、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験等に積極的に取り組みデータを取得することで、研究開発支援を強化し、企業が開発に着手しやすい環境を整える。

未承認薬・適応外薬の要望（現在は、欧米既承認のものが対象）

要望は「随時受付」、「随時評価」

要望の対象を、以下のいずれかの要件を満たす欧米未承認の重篤・致命的疾患治療薬にまで拡大

- ① 国内第Ⅲ相試験を実施中又は終了したもの
- ② 優れた試験成績が論文等で公表されているもの
- ③ 先進医療Bで一定の実績があるもの

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

（医療上の必要性を判断）

【基本的なスキーム】（ほとんどの品目が該当）

企業に対して開発要請 又は 開発企業を公募

企業による治験の実施

薬事承認申請

【海外ベンチャーが開発したものなどで、国内開発企業とのマッチングに時間を要する場合】

臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験又は先進医療を実施し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはPMDAの薬事戦略相談等も活用

開発企業

はじめに

- 厚生労働省では、昨年12月に、厚生労働審議官を主査とする世界に先駆けて革新的医薬品等を実用化するための省内プロジェクトチーム(先駆けPT)を立ち上げ、基礎研究から臨床研究・治験、承認審査・安全対策、保険適用、企業活動の基盤・環境整備、国際展開までをパッケージ化した戦略案を策定することとした。
- 先駆けPTでは、省内関係部局で議論を行うとともに、業界及び有識者のヒアリングを行い、関係施策の検討を行ってきた。この戦略案は、医薬品産業ビジョンの具体化であるとともに、健康医療戦略を厚生労働省の立場から実行するためのアクションプランという性格を持つ。
- 先駆けPTの戦略案は、世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」と、重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速するため、未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬に拡大するとともに、企業が開発に着手しやすい環境を整える「未承認薬迅速実用化スキーム」をその中心としている。また、研究開発、審査・安全対策、薬価、企業活動の基盤・環境整備、国際展開の各ステージで行うべき施策を取りまとめている。
- 厚生労働省としては、平成27年度の予算要求プロセス等において、これらの施策の具体化を図ることとするとともに、実行可能な施策については、平成26年度から前倒しすることとする。

厚生労働省として取り組むべき具体的な事項

研究開発の推進

- 1 厚生労働科学研究費による医薬品等開発研究の強化と、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)及び創薬支援ネットワークとの連携の推進
 - ・薬事戦略相談及び創薬支援ネットワークの活用によるワンストップサービスを目指した体制の整備
 - ・小児がんや肉腫などの希少がん、難病など、研究開発が進みにくい分野の医薬品等開発研究に対する支援を強化
- 2 特許切れ医薬品を含む既存薬の適応外使用開発などのドラッグ・リポジショニング(DR)の促進
 - ・DR研究への支援と開発促進施策の検討
- 3 研究者や企業、再生医療等製品開発ベンチャー等に対する最先端技術の実用化の道筋を示すレギュラトリーサイエンスの推進
 - ・最新の科学技術の成果を踏まえた迅速・的確な評価手法の確立、ガイドラインの作成
- 4 官民共同による医薬品開発等の促進
 - ・アカデミア、製薬企業、国立高度専門医療研究センター・国立衛研等からなる「技術研究組合」等による共同研究の実施
- 5 iPS由来心筋細胞を用いた心毒性医薬品安全性評価法等の開発
 - ・産学官オールジャパンによるヒトiPS細胞由来心筋細胞の商用化及び評価法の国際標準化の推進
- 6 質の高い臨床研究の実施体制の確保・治験活性化
 - ・臨床研究中核病院において、研究費の重点的配分、研究データの薬事承認申請への活用、GCP適合性実地調査の合理的な実施方法の検討、難病研究班と連携した研究の実施
- 7 オーフアンドラッグ等開発支援のパッケージ化
 - ・ウルトラオーファンドラッグ、デバイス等の早期指定及び支援の拡大
- 8 PMDAにおける相談体制の強化
- 9 医療のICTの推進による創薬支援及び安全対策の強化
 - ・臨床研究・治験の効率化、迅速化及び情報の質の確保のための電子カルテからの情報抽出等技術の開発
 - ・医療情報データベースの整備
- 10 未承認薬迅速実用化スキーム
- 11 ワクチンの開発体制の強化

審査体制・安全対策の強化

- 1 PMDAの審査体制・安全対策体制の強化と質の向上
 - ・PMDA自らが臨床試験データ等を活用したモデリング & シミュレーション (MS) 等の解析
 - ・新しい適合性調査手法 (CDISC 標準対応等) の導入に向けた検討
- 2 実質的な審査の前倒し等効率的な審査の実施と必要な体制整備 (事前評価相談制度の活用)
 - ・開発段階から順次評価を行い、実質的に審査を前倒しする事前評価相談制度の相談体制の強化
- 3 先駆け審査指定制度の導入による革新的医薬品等の早期実用化支援
- 4 市販後安全対策の強化
 - ・重症副作用の発症と関連する遺伝子マーカー及びバイオマーカーの解析
 - ・再生医療等製品等の患者登録システムの構築

薬価制度

- 1 薬価制度の予見可能性の向上等
 - ・26年度薬価制度改革における世界に先駆けて日本で承認を取得した医薬品に係る「先駆導入加算」の導入や原価計算方式に用いる平均的な営業利益率の引上げ幅の拡大
 - ・先駆け審査指定制度の導入などを踏まえて、引き続き革新的医薬品の早期実用化の観点を含め、薬価制度の検討
 - ・新薬創出・適応外薬解消等促進加算の在り方に係る検討
 - ・薬価算定基準における加算率の予見可能性の向上
 - ・薬価算定のルールについて、保険収載時の想定薬価について、医薬品開発企業における予見可能性の向上を図る

企業活動の基盤・環境整備

- 1 産業競争力の強化
 - ・研究開発税制などの効果を検証しつつ、活用促進等を図るなど、民間の研究開発投資強化策の着実な実施、知的財産の創造を促進する観点からの施策についての検討・検証・分析等
 - ・我が国発の革新的なバイオ医薬品の創設に向けた人材育成等の基盤整備の検討
- 2 中小企業・ベンチャー企業支援
 - ・PMDAの薬事戦略相談事業の拡充、審査手数料の助成措置及び中小企業による医療機器の開発を支援する融資制度の検討
 - ・中小企業等の薬事対象者を対象とした承認申請や治験の計画作成に関する教育研修
- 3 世界同時開発につなげるための環境整備
 - ・日本主導型グローバル臨床研究体制の整備

国際展開

- 1 相手国のニーズに応じた医療分野の展開
 - ・新興国等のニーズに応じた企業・医療関係者と関係府省が一体となった国際展開。トップセールスの場の活用
 - ・国民皆保険を実現した日本の経験・知見の移転、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジの導入支援
 - ・規制当局等との対話を通じた医薬品・医療機器の開発から承認に至るプロセス、評価ガイドライン等についての相互理解の促進
- 2 国際展開を図るための環境整備
 - ・医薬品や医療機器等の規制の国際整合に関する活動の推進、企業がグローバルに活動しやすい環境整備
 - ・我が国で承認された医薬品等に関する積極的な情報提供の推進
- 3 国際協力等の枠組を活用した国際展開の推進
 - ・開発途上国向け医薬品の研究開発、供給支援を官民連携で推進、専門家派遣、研修生受入れ等の人的協力

先駆けパッケージ戦略

～世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器等の実用化を促進～

平成 26 年 6 月 17 日

世界に先駆けて革新的医薬品等の実用化を促進するための

省内プロジェクトチーム（先駆け PT）

先駆けパッケージ戦略

世界に先駆けて革新的医薬品等の実用化を促進するための省内 PT
平成 26 年 6 月 17 日

I はじめに

- 昨年 6 月 14 日に、「日本再興戦略」及び「健康・医療戦略」が策定され、優れた医療技術の核となる医薬品・医療機器・再生医療等製品等について実用化を推進し、世界で拡大するマーケットを獲得できる世界最先端の革新的製品を創出することが宣言された。これに基づき、今国会に健康医療戦略推進法案が提出され、5 月 23 日に成立した。
- 厚生労働省では、これらの動きと軌を一にして、医薬品、医療機器、再生医療製品等の開発を促進するための施策を検討してきた。昨年 6 月 26 日には、医薬品・医療機器産業がイノベーションを担う、国際競争力のある産業となることを目指し、中長期的な将来像を示す「医薬品産業ビジョン 2013」と「医療機器産業ビジョン 2013」を策定した。昨年 11 月には、革新的な医薬品等の開発促進及び医薬品等の安全対策の強化のための改正薬事法及び再生医療の迅速かつ安全な提供を図るための再生医療等安全性確保法が国会において成立した。
- これらを踏まえ、昨年 12 月に、厚生労働省内において厚生労働審議官を主査とする世界に先駆けて革新的医薬品等を実用化するためのプロジェクトチーム（先駆け PT）を立ち上げ、基礎研究から臨床研究・治験、承認審査・安全対策、保険適用、企業活動の基盤・環境整備、国際展開までをパッケージ化した戦略を策定することとした。
- 先駆け PT では、手始めとして、医薬品分野を中心に省内関係部局で議論を行うとともに、業界及び有識者のヒアリングを行い、関係施策の検討を行ってきた。この度取りまとめる戦略は、医薬品産業ビジョンの具体化であるとともに、健康・医療戦略を厚生労働省の立場から実行するためのアクションプランという性格を持つものである。

なお、医薬品に限らず医療機器や再生医療等製品にも適用される取組については、その旨明記するとともに、先駆け PT で個別に検討した医療機器や再生医療等製品に関する施策についても戦略に盛り込んだ。
- 日本の基礎研究力の高さは知られており、アカデミアには有望なシーズが

多く存在しているが、これらのシーズを実用化に繋げていく力が弱いと長い間指摘されてきた。世界に先駆けて革新的医薬品を産み出すためには、研究段階からアンメットメディカルニーズを意識した開発戦略が重要であり、これらのシーズを First in class の革新的医薬品に育てていくためには、研究開発の効率化など、基礎研究から国際展開までの一連の過程を政府として応援することが重要である。これまで日本の医薬品産業においては、大手企業は海外展開を進めてきたが、多くは日本の医薬品市場の中で戦略を描いてきた。薬価制度の下での日本市場は戦略が描きやすい側面もあったが、海外開発製品の一層の浸透や後発医薬品の更なる伸長、加えていわゆる公的市場であるが故の制約に直面している。しかしこれからは、世界の医薬品市場の中で、革新的医薬品のシェアを取っていくこと、また、相手国のニーズに応じた医薬品を輸出していくための戦略が必要であり、その為には、失敗を恐れずに革新的な医薬品の開発、市場展開に向けてチャレンジしていくという明確な目標が必要である。

- また、革新的な医薬品等の開発に注力する場合、これまで以上に医薬品等の安全対策の充実、強化に取り組むことが一層重要となる。開発段階、承認審査時から製造販売後の全ての期間を通じてベネフィット・リスク評価手法の向上等に基づく安全対策の質的向上を図り、また海外にも情報発信を行うことで、革新的な医薬品等の開発及び国際市場への展開がより進みやすくなるという環境整備が重要である。
- こうした問題認識の下、先駆け PT の戦略は、世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」と、重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速するため、未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬に拡大するとともに、企業が開発に着手しやすい環境を整える「未承認薬迅速実用化スキーム」をその中心としている。この報告書では、まず、研究開発の推進、審査体制・安全対策の強化、薬価制度、企業活動の基盤・環境整備及び国際展開の項目ごとに、厚生労働省として今後取り組むべき具体的な施策を記述した後、革新的医薬品等に対するパッケージ化した支援策の実例を解説する構成とした。
- 厚生労働省としては、平成 27 年度の予算要求プロセス等において、これらの施策の具体化を図ることとともに、実行可能な施策については、平成 26 年度から前倒しすることとする。
- なお、昨年来、臨床研究を巡る不正事案が複数明らかになっており、我が

国の臨床研究に対する信頼が揺らいでいる状況にある。これに対しては、厚生労働省としては、高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会の結果を踏まえて、法的措置を含めて検討しているが、これらの事案を契機に、臨床研究の結果が速やかに革新的医薬品等の創出に繋がっていくことも視野に入れ、臨床研究の質の確保、被験者の保護、透明性確保と利益相反管理等、我が国の臨床研究の在り方について検討を進めるべきであり、その結果を踏まえ、First in Human の臨床研究が行われることを後押ししていくような仕組みとしていくことが必要である。

Ⅱ 厚生労働省として取り組むべき具体的な事項

1. 研究開発の推進

- 1 厚生労働科学研究費による医薬品等開発研究の強化と、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）及び創薬支援ネットワークとの連携の推進
 - アカデミア等で発見された優れたシーズの実用化の更なる促進を図るため、研究者に対して、PMDA の薬事戦略相談及び創薬支援ネットワークの活用を促す取組を強化する。具体的には、シーズ実用化を主目的とする研究については、日本医療研究開発機構と連携し、厚生労働科学研究費による委託研究課題の採択に当たって、PMDA が行う薬事戦略相談を受け、その結果を適切に研究計画に反映した課題を優先的に採択する仕組みを検討するほか、主要な学会などでの PMDA と創薬支援戦略室との合同出張個別面談の実施及びそのフォローアップ等により、ワンストップサービスを目指した体制の整備を図る。
 - 小児がんや肉腫をはじめとする希少がん、難病など、民間主導の研究開発が進みにくい分野の医薬品等開発研究に対する厚生労働科学研究費による支援を強化し、企業治験への導出を目指す。
 - がん治療には、手術療法、放射線療法、薬物療法、免疫療法等を適切に組み合わせた集学的治療が最大の治療効果を発揮することから、医薬品開発のみならず、治療薬の最適な投与方法や組み合わせを開発するための多施設共同臨床試験に対する厚生労働科学研究費による支援を強化する。また、がん診療連携拠点病院において、臨床研究コーディネーター（CRC）の配置を進める等、臨床試験を実施するための基盤を整備する。
 - がん研究の領域に関しては新たに策定された「がん研究10か年戦略」に基づいて「アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究」、「新たな標準治療を創るための研究」を推進する。
 - 今通常国会において、早期の在宅復帰・社会復帰を可能とするとともに、住み慣れた地域で継続して暮らすことができるようにすることなどを目指し、「地域における医療及び介護の総合的な確保を推進するための関係法律の整備等に関する法律案」を提出したことを踏まえ、在宅医療の現場からのニーズ調査を踏まえた在宅医療機器の実用化に向けた研究を支援する。

2 特許切れ医薬品を含む既存薬の適応外使用開発などのドラッグ・リポジショニング（DR）の促進

- 大学等を中心とした DR 研究のエビデンス構築に係る研究費等への配分を検討することにより、難病・希少疾病用医薬品等の研究開発を促進する。
- ローカルドラッグの適応追加やドラッグ・リポジショニングなど、国内で汎用または現場からの開発の要望があるものについて、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議のスキームに乗せるなど、開発を促進するための施策を検討する。（例：日本や東アジアに特有な疾病に対する医薬品等を優先的に検討）

3 研究者や企業、再生医療等製品開発ベンチャー等に対する最先端技術の実用化の道筋を示すレギュラトリーサイエンスの推進

- 革新的な医薬品、医療機器等は、常に国民・患者から求められており、医療現場に速やかに届けるためには、品質、有効性、安全性について、科学的な根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、倫理観をもって国民が使ってもよいかという観点から見定めることが必要である。そのための科学であるレギュラトリーサイエンス（RS）の推進が一層重要であり、これにより、最先端技術の実用化への道筋が明確となり、研究開発の効率化やコストの削減、成功確率の向上などが図られる。よって、最新の科学技術の成果を踏まえた迅速・的確な評価手法の確立などの研究を大学、国立医薬品食品衛生研究所（国立衛研）などの研究機関、医療機関等と PMDA とが連携して推進していく必要がある。

（注）レギュラトリーサイエンス（RS）：科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学（科学技術基本計画（平成 23 年 8 月 19 日閣議決定））。こうした考え方を推進していくことは、健康医療戦略推進法にも位置づけられている。

（参考）健康医療戦略推進法第 13 条第 2 項

国は、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学の振興に必要な体制の整備、人材の確保、養成及び資質の向上その他の施策を講ずるものとする。

- 具体的には、日本が世界に先駆けて開発し、塩基長が短いため製造コス

ト面での優位性が期待される「架橋型人工核酸」の副作用（オフターゲット効果：目的としない部位への結合）の評価法に関する研究や個別化医療の実現に向けた、疾患に特徴的なバイオマーカー（遺伝子マーカーを含む）の確立とコンパニオン診断薬の臨床性能試験に関する研究などのほか、医薬品開発の基盤となる新たな公定試験法（ナノテクノロジー応用医薬品の品質試験法など日本薬局方等の医薬品品質公定試験法や動物代替試験法等の新規安全性試験法など）の開発や体内動態等の非臨床試験や臨床試験の効率化等に係る RS 研究を推進する。

- また、最先端の研究を実施している大学等と PMDA や国立衛研との人材交流を通じて、RS 研究に精通した人材の育成を行うとともに、RS 研究の成果を活用し、PMDA の審査員等と研究者が一体となって、実用化が見込まれる革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品について、開発及び評価するためのガイドライン等を作成する。

（主な研究例）

- ・ がんワクチン、核酸医薬、小児疾患、遺伝子治療薬、アルツハイマー治療薬、個別化医療、分子イメージング等に関する各ガイドライン
- ・ 次世代型循環補助装置、低侵襲治療機器、整形・歯科領域、ステント耐久性試験等の医療機器に関するガイドライン
- ・ 心筋・角膜シート、軟骨、血小板のほか、脳梗塞や脊髄損傷に使用される再生医療等製品や ES/iPS 細胞等由来の各再生医療等製品に関するガイドライン

4 官民共同による医薬品開発等の促進

- 日本の医薬品開発のボトルネックを解消するための課題を抽出し、その課題ごとに、アカデミア、製薬企業、国立高度専門医療研究センター等の関係者が参画する「技術研究組合」を形成し、集中的に研究を推進する体制の構築を目指す。
- 革新的な抗体医薬品の開発の加速化を目的として、国立衛研や製薬企業等が共同で抗体医薬品等の品質リスク評価を行い、その製造品質管理の方法を確立するための研究を推進する。
- 独立行政法人医薬基盤研究所のスクリーニングセンターを中心に、抗体医薬及び核酸医薬を研究する全国の産学官の研究者による連携体制を構築することにより、オールジャパンの抗体医薬及び核酸医薬の開発を推進する。

- 欧米に比し我が国で多いと言われる重篤な副作用（間質性肺炎等）を対象に、国立衛研や製薬企業等が共同で生体試料（血液、尿等）の収集、解析を進め、副作用の早期診断・事前診断に利用可能なバイオマーカー（遺伝子マーカーを含む）の開発を図るとともに、独立行政法人医薬基盤研究所とも連携し、生体試料のバンク化・外部への提供を図る。

5 iPS 由来心筋細胞を用いた心毒性医薬品安全性評価法等の開発

- ヒト iPS 細胞から分化誘導した心筋細胞を用いることで、医薬品をヒトに投与することなく、その安全性を評価できる評価法の開発が期待できる。
そのため、日本の得意とするヒト iPS 細胞技術を用いた次世代の心毒性評価法の確立を目指し、市販の細胞にはない、QT 延長のみならず催不整脈作用を検出できる成熟心室筋型の評価用標準細胞を開発するとともに、当該細胞を使った標準的試験法を開発する研究を産学官オールジャパンで実施し、当該細胞の商用化及び評価法の国際標準化を促進する。
その他、ヒト iPS 細胞由来神経細胞を使ったシナプス形成と神経機能成熟の生理的変化を指標とする標準的試験法やヒト iPS 細胞由来肝実質細胞を利用した薬物代謝酵素誘導評価法に関する研究を実施する。

6 質の高い臨床研究の実施体制の確保・治験活性化

- 現在予算事業として整備を進めている臨床研究中核病院及び早期・探索的臨床試験拠点について、日本の臨床研究の実施の中核的な役割を担い、質の高い臨床研究を自ら実施するとともに、他施設で実施する臨床研究の計画立案や実施について支援する ARO (Academic Research Organization) 機能をもつ病院として医療法に臨床研究中核病院を位置付ける。
これにより、
 - ①臨床研究中核病院が、他の医療機関の臨床研究の実施をサポートすること、また、共同研究を行う場合には中核となって臨床研究を実施することで、他の医療機関における臨床研究の質の向上が図られること
 - ②臨床研究に参加を希望する患者が、質の高い臨床研究を行う病院を把握した上で当該病院へアクセスできるようになること
 - ③十分な管理体制の下でデータの収集等を行うことで、臨床研究が効率的に行われるようになることなどの効果が得られ、革新的な医薬品等の開発のための質の高い臨床研究が促進されることが期待される。

○ この臨床研究中核病院において、革新的医薬品・医療機器等の実用化のための研究が進むよう、以下の取組を推進する。

・研究費の重点的配分

これらの拠点では、文部科学省の橋渡し研究拠点との連携を強化し、基礎研究から実用化まで一貫したマネジメントを実施できる体制を構築することとしており、実用化に向けたシーズ数が増加することが見込まれていることから、より一層研究が進むよう研究費の重点的配分を行うことを検討する。

・研究データの活用

臨床研究中核病院で実施する ICH-GCP 準拠の臨床研究のデータについては、治験データを補完するものとして薬事承認申請の効率化を可能とする。

・臨床研究・治験の推進

臨床研究中核病院においては、多施設共同臨床研究、国際共同臨床研究、医師主導治験、First in Human 試験などの経験も豊富であり、治験の実施件数が他の医療機関より多いことが想定されるため、治験の信頼性確認に係る業務負担を軽減する観点から、GCP 適合性実地調査について合理的な実施方法を検討する。

・先進医療の実施の推進

臨床研究中核病院において、先進医療の申請を行う際に、先行研究として求めている数例以上の臨床使用実績を免除する。

・難病研究班と連携した研究の実施

難病研究班等と積極的に連携し、現在治療法の見つかっていない難病に対する研究を促進する。その際、企業の市販後安全対策にも研究データを活用するなど、負担軽減方策を検討する。

○ 国立高度専門医療研究センターにおける質の高い臨床研究や医師主導治験について、より一層の促進を図るとともに、薬事承認に繋がるよう活用を図る。

7 オーフアンドラッグ等開発支援のパッケージ化

○ 患者数が極めて限られる希少疾病用医薬品等（いわゆるウルトラオーファンドラッグ・デバイス及び再生医療等製品）については、指定基準の明

確化及び指定の早期化を図ることで開発し易い環境を整えるとともに、研究開発支援の拡充や当該医薬品等の世界に先駆けた早期実用化を見据えた合理的な指定や審査の在り方等、更なる支援策について検討する。

- 難病、希少疾病の研究班が、新たに構築される患者データ登録システム等を活用し、製薬企業が行う市販後安全対策に積極的に協力するとともに、臨床研究のデータを企業による製造販売後調査に活用することを推進する。

8 PMDAにおける相談体制の強化

- 開発ラグ解消の支援のため、薬事戦略相談について、開発工程（ロードマップ）への助言や検証的試験プロトコルへの助言を行う相談、また、製薬企業向けに開発戦略相談を実施することにより、拡充を図る。
- 事前評価相談、薬事戦略相談、簡易相談等のメニューについて、関係業界との意見交換の実施や相談内容の分析により、相談者のニーズを反映して信頼性基準に関するものも含め、相談枠を新設・改変し、治験相談等の拡充を図る。
- 医薬品の開発ラグの解消支援につながるよう、平成30年度までに、海外臨床試験に占める日本が参加する国際共同治験の実施率を向上させるため、海外規制当局との情報共有などの連携も含め治験相談等において推進する。
- 難病・希少疾病治療薬の開発に資するよう、審査ガイドラインの整備や相談体制の充実を図る。

9 医療のICTの推進による創薬支援及び安全対策の強化

- 臨床研究・治験の効率化、迅速化及び情報の質の確保のために、電子カルテ等から必要な情報を電子的に参照・抽出する技術の開発、導入及び標準化等を進める。具体的には、①病院情報システムとEDC（Electric Data Capturing）との連動による症例報告書作成システムの導入の推進、②治験関連文書の電子化の推進、③モニタリングの効率的な実施のためのリモートSDV（通信回線等を通じた治験データの原資料の閲覧、調査及び検証）の実施の推進、等の取組を実施する。
- 医療情報データベースの整備を進め、データの質・量の充実を図るとともに、集積されたデータを活用した医薬品のベネフィット・リスクの評価のための解析方法の検討や、安全対策及び関連する分野への活用方策の検

討など、利活用に向けた環境整備を行う。これにより、将来的には、発生頻度の低い副作用や併用薬別での副作用の解析など、現在把握が難しい情報の解析が出来るようにし、今後開発される医薬品の安全対策の参考となることを目指す。

1.0 未承認薬迅速実用化スキーム

- 未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬にまで拡大し、企業に対して開発要請を行うことで、世界に先駆けての重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速する。なお、欧米未承認の品目で国内開発企業とのマッチングに時間を要するものについて、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験等に積極的に取り組みデータを取得することで、研究開発支援を強化し、企業が開発に着手しやすい環境を整える。

1.1 ワクチンの開発体制の強化

- 厚生科学審議会予防接種・ワクチン分科会において、医療ニーズ等を踏まえた感染症対策に必要な開発優先度の高いワクチンが選定され、予防接種基本計画の中に定められた。これらの我が国発又は新技術・改良型のワクチンについては、研究開発の支援や定期的に関係状況の評価・検討を行うなど、その研究開発・実用化を促進する。

2. 審査体制・安全対策の強化

1 PMDA の審査・安全対策体制の強化と質の向上

- 審査等業務について、医薬品、医療機器、再生医療等製品等それぞれの特性に応じた取り組みを通じ、審査を迅速化し、審査ラグ「0」の実現を目指すとともに、審査の質の向上等を図る。このため、自己財源も活用し、より一層の安全対策の強化も含め必要な体制強化を図り、第3期中期目標期末の常勤職員数の上限は、1,065人とする。
- 高度かつ専門的な人材を雇用するため、任期制の適用職員の拡充や年俸制の導入も含め、戦略的な人材確保の在り方について検討を行う。
- 平成28年度以降に申請される新医薬品については、臨床試験データの

電子的提出が可能となるように、PMDA 内の体制を構築する。また、PMDA 自らが臨床試験データ等を活用したモデリング&シミュレーション（MS: Modeling & Simulation）等の研究、解析を行い、その解析結果を踏まえた指摘や助言を行うこと等により、審査・相談の質の高度化を図る。さらに、ガイドラインの作成等を通じて更なる審査・相談の高度化に貢献し、かつ医薬品開発の効率化にもつながるよう、MS 等の先進的な解析・予測評価手法を用いて品目横断的解析を行う。

- 承認申請時に提出されたデータの信頼性を担保するため、新しい適合性調査手法（CDISC 標準対応等）の導入に向けた検討を行う。
 - 医療現場や企業の製造現場における現場研修などの充実強化に努めるとともに、企業との連携による研修の充実並びに厚生労働省、国内外の大学及び研究機関等との交流等によって、職員の資質や能力の向上を図る。
- 2 実質的な審査の前倒し等効率的な審査の実施と必要な体制整備（事前評価相談制度の活用）
- 承認申請前の開発段階から提出可能なデータに基づき順次事前評価を行い、実質的な審査を前倒しする事前評価相談制度について、計画的に相談体制の強化を行い、先駆け審査指定制度の導入も視野に入れつつ、平成 30 年度までに、医療上の必要性の高い優れた医薬品等について、希望のあった全ての相談に対応するための体制強化を行う。
 - 申請添付資料について、英語資料の受け入れ範囲の更なる拡大を検討する。また、国際的に活躍できる人材の育成を図るため、ICH（日米 EU 医薬品規制調和国際会議）、IMDRF（International Medical Device Regulatory Forum）等のガイドライン作成の場や国際会議への出席、海外機関及び大学院における研究機会の創設等を含む職員の育成プログラムを策定・実施する。
- 3 先駆け審査指定制度の導入による革新的医薬品等の早期実用化支援
- 画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を対象とした医薬品・医療機器・再生医療等製品のうち、第 I 相あるいは前期第 II 相試験等の初期の臨床試験データから、既存の治療法より大幅な改善が期待されるものを指定し、相談・審査における優先的な取扱い（優先治験相談、事前評価相談、優先審査等）の対象とすることで、更なる迅速な実用化を目指す。

4 市販後安全対策の強化

- 医療情報データベースの整備を進め、データの質・量の充実にともに、集積されたデータを活用した医薬品のベネフィット・リスクの評価のための解析方法の検討や、安全対策及び関連する分野への活用方策の検討など、利活用に向けた環境整備を行う。これにより、将来的には、発生頻度の低い副作用や併用薬別での副作用の解析など、現在把握が難しい情報の解析が出来るようにし、今後開発される医薬品の安全対策の参考となることを目指す。(再掲)
- 昨年4月に導入され、本年10月からGVP上にも位置づけられる医薬品リスク管理計画(RMP: Risk Management Plan)について、特に革新的医薬品に係るその作成の周知・支援を行うと共に、作成されたRMPの幅広い情報提供に努める。さらに、RMPにおける安全性監視活動の手法の一つとして、医療情報データベースを用いた薬剤疫学的手法の活用を進める。
- 重症薬疹等の重篤副作用の発症と関連する遺伝子マーカー及びバイオマーカーの解析を進めるとともに、これらマーカー頻度の民族差・地域差を評価し、これらの頻度に応じた市販後安全対策等への活用を目指す。
- 企業と関係学会の協力の下、再生医療等製品及び埋植型医療機器に係る患者登録システムの構築や医療機関からの市販後の安全性情報の収集により、市販後の情報収集の効率化と企業負担軽減を行うなど、市販後の有効性、安全性等の確認のための取組を充実させる。

3. 薬価制度

1 薬価制度の予見可能性の向上等

- 我が国の薬価制度は、新薬開発後の市場展開の予見可能性を高める上で、国際的にも非常に大きな意味があり、評価されている。新薬の開発対象としてアンメットメディカルニーズへの対応も増え、それに対応した承認審査も行われている中で、今後、我が国における革新的医薬品の早期開発のためには、薬価制度上の評価に係る事前の予見可能性を向上させることが重要であり、これまでも薬価算定の基準において、類似薬効比較方式における加算要件の明確化や加算率の引上げ、原価計算方式に用いる平均的な営業利益率における調整ルールの導入、新薬創出・適応外薬解消等促進加

算の試行的導入等を行ってきた。

- 平成 26 年度薬価制度改革においても、世界に先駆けて日本で承認を取得した医薬品に係る「先駆導入加算」の導入や原価計算方式に用いる平均的な営業利益率の引上げ幅の拡大を行ったところであるが、今般、先駆け審査指定制度を導入することなども踏まえて、引き続き、革新的医薬品の早期実用化の観点を含め、薬価制度の検討を行う。
- 試行継続中の新薬創出・適応外薬解消等促進加算について、関係者の意見を踏まえつつ、真に医療の質の向上に貢献する医薬品の国内研究・開発状況や財政影響を確認・検証するとともに、当該加算の対象品目の在り方等現行方式の見直しについて中央社会保険医療協議会において検討を進める。
- 類似薬効比較方式における加算の定量化手法を検討することにより、薬価算定基準における加算率の予見可能性の向上を図る。また、原価計算方式による平均的利益率の補正率についても同様に定量化の検討を進める。
- 医薬品等の承認に係る事前相談については、PMDA による薬事戦略相談等が実施されているが、薬価等の算定についても、事前に相談したいとの要望がベンチャー企業等を含む産業界から寄せられている。企業が戦略的な医薬品等の開発を行うためにも、薬価等の予見性を向上させることは重要であることから、その予見性を向上させるために、既存の価格算定ルールの内容や注意事項、価格の見通し等について、治験前、薬事承認審査前、保険収載前の各段階に応じて、随時、厚生労働省に相談可能な体制について検討する。

4. 企業活動の基盤・環境整備

1 産業競争力の強化

- 我が国の医薬品・医療機器産業が、産業としての競争力を強化するためには、我が国が魅力のある創薬・医療機器開発などの場となり、内資・外資を問わず、我が国において活発な研究開発活動が行われることが重要である。民間企業での研究開発活動については、これまでも、研究開発税制など各種施策によって支援を行ってきたところであるが、今後ともそれらの効果を検証しつつ、活用促進等を図るなど、民間での研究開発投資強化

策を着実に実施する。また、我が国における知的財産の創造を促進する観点からの施策についても、諸外国での施策も参考にしながら、検討・検証・分析等を行う。

- 医薬品市場に占める抗体医薬等のバイオ医薬品の割合が増大している一方で、国内におけるバイオ医薬品の生産拠点が少ないことなど、基盤整備の遅れが指摘されている。我が国発の革新的なバイオ医薬品の創出に向けて、人材育成を含めた基盤・環境整備への支援の検討を行う。
- 国際競争力を持つ医療機器を開発するには、国内外の医療ニーズを的確に見いだした上で製品の設計・試作及び性能評価を行う必要があり、産業界と医療界が連携し、資金・人材・技術を創出・共有することが不可欠である。そのため、産業界と医療界が協同で医療機器の開発人材を養成することを可能にする拠点を整備するとともに、市場性が見込める医療ニーズの発掘・創出を支援する。また、日本医療研究開発機構の創設にあわせて、医療機器開発に関する支援体制（ネットワーク）を構築する。

2 中小企業・ベンチャー企業支援

- PMDA の薬事戦略相談事業を拡充（出張相談を含む）し、ベンチャー企業等が創出する革新的医薬品等に見通しを与え、迅速な実用化を図る。また、審査手数料の助成措置の在り方について検討する。さらに、中小企業が多い医療機器業界の支援のため、中小企業による医療機器の開発を支援する融資制度等の拡充として、例えば、日本政策金融公庫に国民生活貸付又は中小企業貸付の一類型として新たに融資制度を設けることを検討するなど、中小企業・ベンチャー企業の支援措置の在り方を検討し、必要な措置を講ずる。
- 医療機器たるソフトウェアや再生医療等製品を開発する新規参入の企業を含め、中小企業等の薬事担当者を対象として承認申請や治験の計画作成、GCP等の信頼性基準に関する教育研修を行うことにより、申請資料等作成の迅速化や質の向上を図り、薬事承認までの期間を短縮させる。

3 世界同時開発につなげるための環境整備

- 日本発の革新的医薬品等の創出と、臨床における質の高いエビデンスの発信のため、国際共同臨床研究において、日本がリーダーシップを発揮できるよう、国際的ネットワークの構築と国内の国際共同臨床研究参加機関の体制支援を行う日本主導型グローバル臨床研究体制の整備を行う。

5. 国際展開

1 相手国のニーズに応じた医療分野の展開

- 新興国等のニーズに応じて、企業・医療関係者（MEJ、JICA、JETRO等）と関係府省が一体となった国際展開を図る。その際には、閣僚の外遊の際のトップセールスの場合なども活用する。また、日本の良質な医療を普及する観点から、相手国の実情に適した医薬品・医療機器、インフラ等の輸出等の促進に係る諸施策を着実に推進する。
- 医療提供の基盤となる制度の構築支援を必要とする途上国に対し、国民皆保険を実現した日本の経験・知見を移転し、相手国国民が広く適した医療を受け、それに対する費用負担が可能となる仕組み（ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ）を導入することを支援し、同時に、相手国の所得水準や医療従事者のレベルに合った医薬品・医療機器を日本企業が開発・普及することを後押しする。
- 海外に拠点を持つ日系企業・関係機関（JETRO等）と関係府省との協力の下、新興国や途上国を中心とした国・地域の規制当局等との対話を通じて、我が国で承認された医薬品・医療機器等の当該国における速やかな導入を支援する。これにより、開発から承認に至るプロセスの相互理解を推進し、官民一体となって医薬品・医療機器等の輸出拡大を図る。特に、比較的には人種差が少ないと考えられるアジア諸国と共同して医薬品の研究開発を進めるとともに、積極的な医薬品市場の展開を目指す。

2 国際展開を図るための環境整備

- 最先端の技術を活用した医薬品等の有効性及び安全性の評価ガイドラインのための研究の充実や、最先端の診断・治療技術の国際規格・基準の策定を世界に先駆けて提案し、各国の規制で用いられる基準として国際標準化を推進することによって、日本の企業が主導的に国際展開を行うことを支援する。
- 医薬品や医療機器等の規制の国際整合に関する活動を推進し、企業がグローバルに活動しやすい環境整備を進める。例えば、医薬品分野では、ICHにおいて新規のガイドラインの作成が進捗しており、医療機器分野では、2015年には厚生労働省がIMDRFの議長国となるとともに、産業界では一

般社団法人日本画像医療システム工業界（JIRA）が Global Diagnostic Imaging, Healthcare IT, and Radiation Therapy Trade Association（DITTA）の議長を務めること、APEC において日本が他地域共同治験のリード国を担っていること等から、こうした機会を踏まえて、規制や規格・基準の国際整合を日本がリードできるよう、官民共同で取り組む。

- 我が国で承認された医薬品等について、審査情報や製販後の安全性情報等についても質の高い情報を提供する。例えば、審査報告書の英語版の公表や、企業の作成した英語版の使用上の注意（添付文書）及びRMP等に関し、PMDA ホームページにおいて公開できるようにするなど、企業の取り組みを支援する。また、PMDA から発信している緊急安全性情報（イエローレター）や安全性速報（ブルーレター）のほか、添付文書の使用上の注意の改訂などの安全性情報についても、重要な情報については英語での情報提供を進める。
- 医薬品等の輸出入に係る手続きについて、NACCS（輸出入・港湾関連情報処理システム）による電子化等の効率化を進めることにより、日本発の医薬品等の国際展開を支援する。

3 国際協力等の枠組を活用した国際展開の推進

- 日本の製薬産業の優れた研究開発力を活かして、顧みられない熱帯病等の開発途上国向け医薬品の研究開発、供給支援を官民連携で推進することにより、国際保健分野での貢献を行うことで、日本の製薬企業の信頼、知名度を向上させ、海外展開の下支えを行う。
- 途上国に対して、ODA 等の公的な資金を活用した、専門家派遣・研修生受入れ等の人的協力や諸制度の普及を行う際に、日本の良質な医薬品・医療機器等を用いた処方・手技に習熟してもらい、それを通じて輸出拡大を図る。また、WHO の支援事業を拡充することにより、公衆衛生水準の向上を通じて、特に西太平洋地域の社会の安定を実現する。これにより、日本の製薬企業が当該地域へ進出するための環境整備を行う。

Ⅲ 革新的医薬品等創出の具体例

先駆けパッケージ戦略の中心として、先駆け審査指定制度と、未承認薬迅速実用化スキームを以下に示す。これらのプランを活用することで、革新的な医薬品等の日本発での実用化の促進が期待される。

1 先駆け審査指定制度の導入による革新的医薬品等の早期実用化支援（再掲）

先駆け審査指定制度

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本発で早期に実用化すべく、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

指定基準

- 画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を対象とした医薬品等について、以下の2要件を基に指定
- 1. **世界に先駆けて日本で開発され、申請が計画されること**（開発初期からPMDAの相談を受けていることが望ましい）
- 2. 作用機序等の非臨床試験データ及び開発初期（第Ⅰ相から前期第Ⅱ相まで）の**臨床試験データから、既存の治療法に比した大幅な改善等、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれること**

指定制度の内容

:承認取得までの期間の短縮に関するもの
 :その他開発促進に関する取組

① 優先相談
【 2か月 → 1か月 】
 ○ 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

② 事前評価の充実
【 実質的な審査の前倒し 】
 ○ 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

③ 優先審査
【 12か月 → 6か月 】
 ○ 総審査期間の目標を、6か月に。
※併合によっては第Ⅲ相試験の終了の承認申請書の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

④ 審査パートナー制度
【 PMDA版コンサルジュ 】
 ○ 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンサルジュとして設置。

⑤ 製造販売後の安全対策充実
【 再審査期間の延長 】
 ○ 再審査期間の延長を含めた製造販売後の安全対策、海外への情報発信、学会との連携等の充実

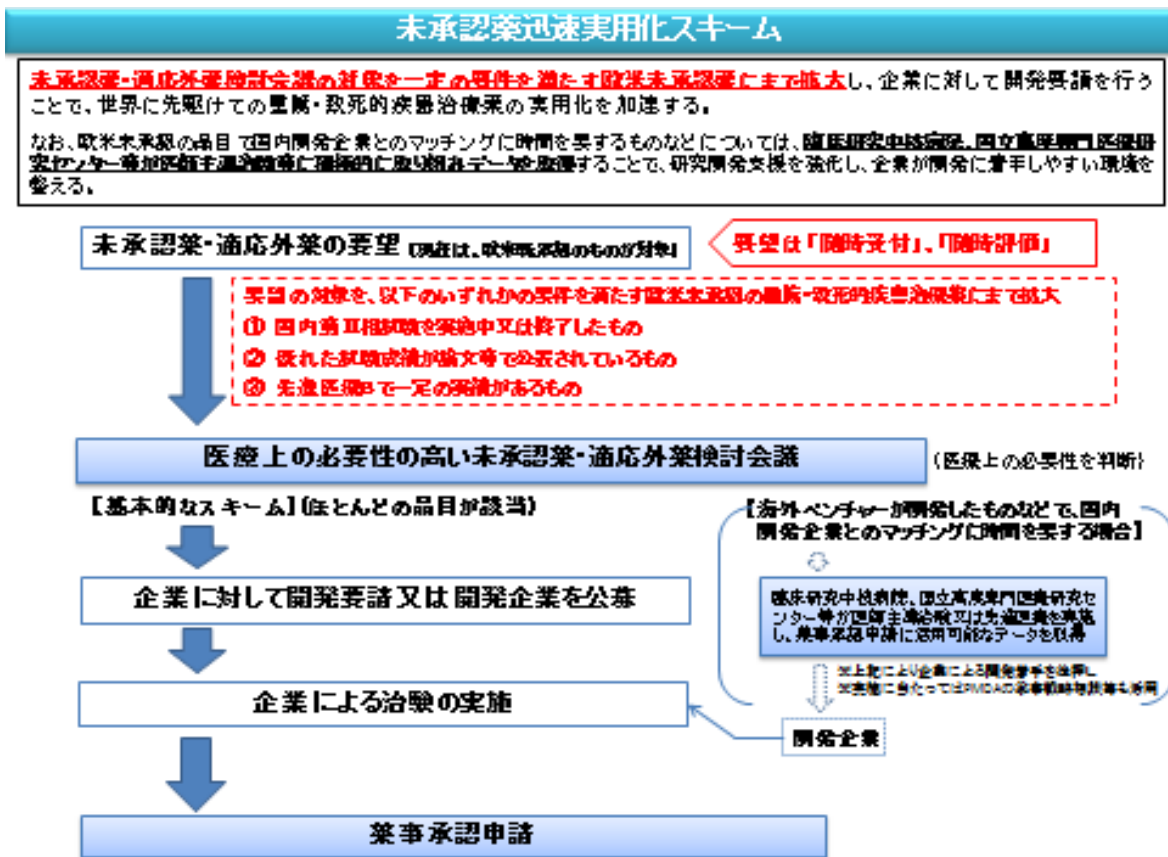
指定手続

1. 申請者が審査管理課に申請し、PMDAの評価を受け、60日以内に指定の可否を通知。
2. 審査管理課が申請者に指定の申請を打診し、申請があった場合、PMDAの評価を受け、30日以内に指定の可否を通知。

○ 画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等については、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品の早期導入が望まれていることを踏まえ、これらを世界に先駆けて日本発で早期に実用化すべく、関連施策を総動員し、日本での開発を促進する。具体的には、第Ⅰ相又は前期第Ⅱ相試験等の初期の臨床試験データから、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれるものであって、世界に先駆けて日本で早期開発・申請されたもの（PMDAの相談を受けていることが望ましい）を先駆け審査指定の対象品目として指定し、開発から市販まで一貫した支援の対象とすることで、更なる迅速な実用化を目指す。

- 指定により、①PMDA による一貫した優先治験相談の実施、②承認申請前でも提出可能なデータに基づき順次事前評価を行い、実質的な審査を前倒しする事前評価相談、③総審査期間の更なる短縮を目指す優先審査、④審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置、⑤再審査期間の延長も含めた製造販売後の安全対策充実等を活用し、考えられる限り最速で開発及び審査が行われることで、世界に先駆けて革新的な医薬品を産み出すことを目指す。

2 未承認薬迅速実用化スキーム（再掲）



- 未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬にまで拡大し、企業に対して開発要請を行うことで、世界に先駆けての重篤・致死性の疾患治療薬の実用化を加速する。
- 具体的には、未承認薬・適応外薬検討会議の審査対象を拡大し、重篤又は致死性の疾患を対象とする未承認薬については、欧米未承認であっても①国内第Ⅲ相試験を実施中又は終了したもの、②優れた試験成績が論文により公表されているもの及び③先進医療 B で一定の実績があるものであれ

ば対象に加える。これらについて、国内開発企業がある場合には、企業に対して開発要請し、企業による治験が実施される。なお、海外ベンチャーが開発した品目などで、国内開発企業とのマッチングに時間を要する場合には、臨床研究中核病院及び国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験又は先進医療を実施し、薬事承認申請に活用可能なデータを積極的に取得することで、研究開発支援を強化し、企業が開発に着手しやすい環境を整える。