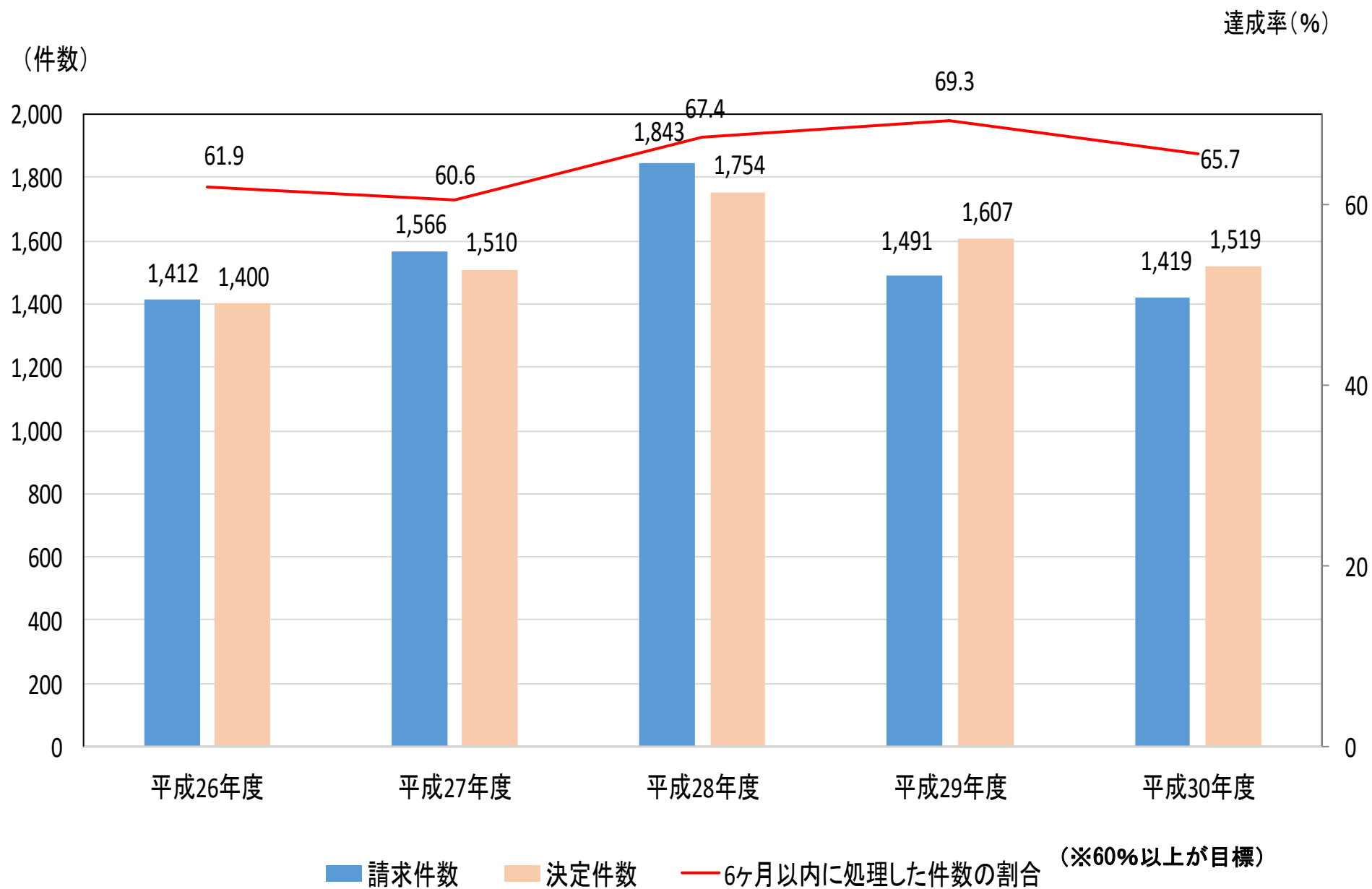


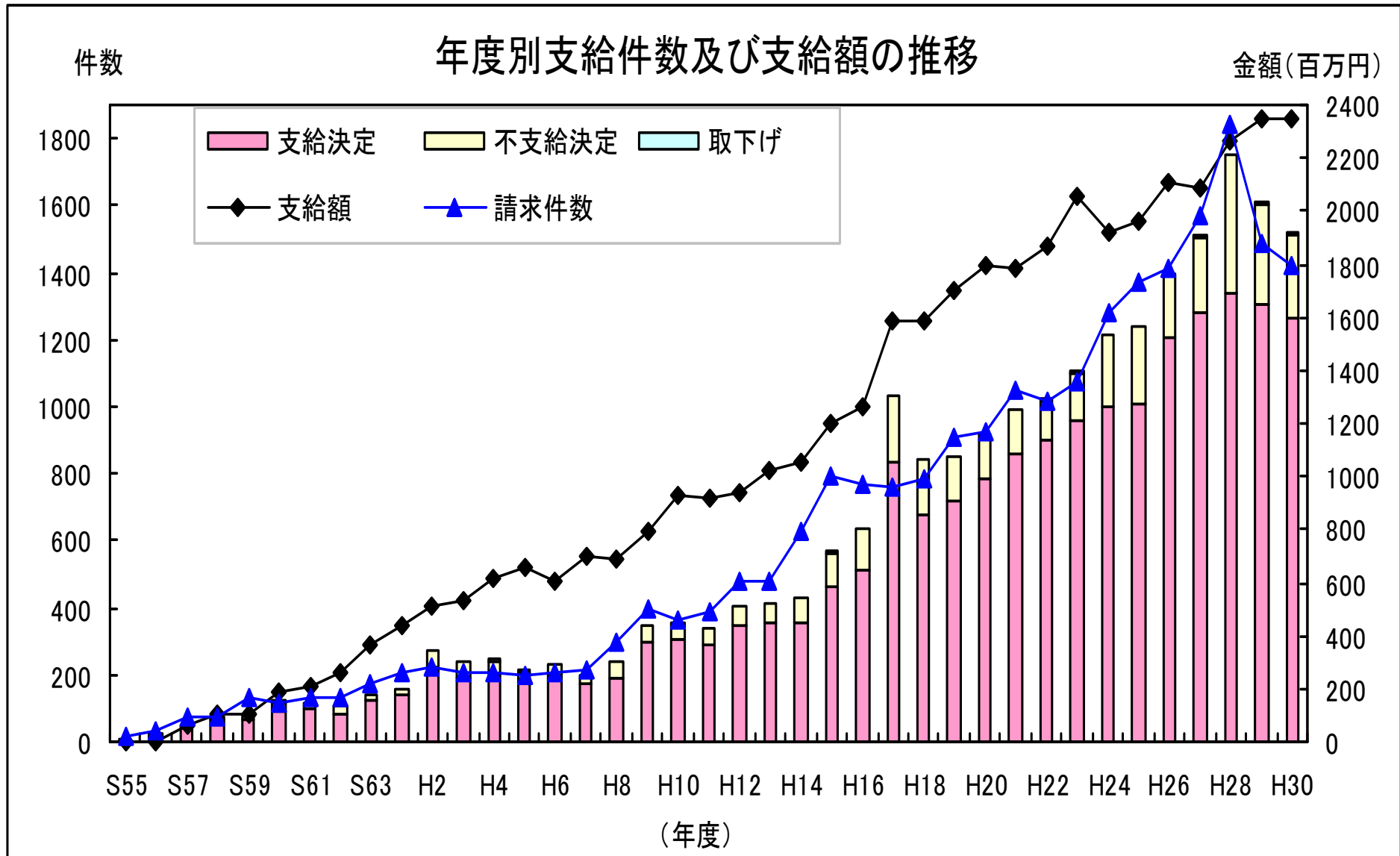
# 平成30事業年度業務実績 (参考資料)

# 迅速な請求事案の処理（副作用被害救済業務）

## 【請求件数・処理件数・達成率】



# 迅速な請求事案の処理（副作用被害救済業務）



# 副作用救済制度及び感染等救済制度の実績

## 副作用被害救済制度の実績

年度	26年度	27年度	28年度	29年度	30年度
請求件数	1,412 < 39>	1,566 < 152>	1,843 < 334>	1,491 < 141>	1,419 < 86>
決定件数	1,400 < 4>	1,510 < 75>	1,754 < 314>	1,607 < 223>	1,519 < 111>
支給決定	1,204 < 2>	1,279 < 56>	1,340 < 117>	1,305 < 93>	1,263 < 56>
不支給決定	192 < 2>	221 < 18>	411 < 196>	298 < 130>	250 < 55>
取下げ件数	4 < 0>	10 < 1>	3 < 1>	4 < 0>	6 < 0>
支給額	2,113百万円	2,087百万円	2,268百万円	2,352百万円	2,353百万円
6カ月以内 処理件数 達成率	867 61.9%	915 60.6%	1,182 67.4%	1,113 69.3%	998 65.7%
処理期間(中央値)	5.7月	5.6月	5.3月	5.3月	5.4月

注1) 請求・決定件数欄にある< >内は、HPV事例の数値であり、内数である。

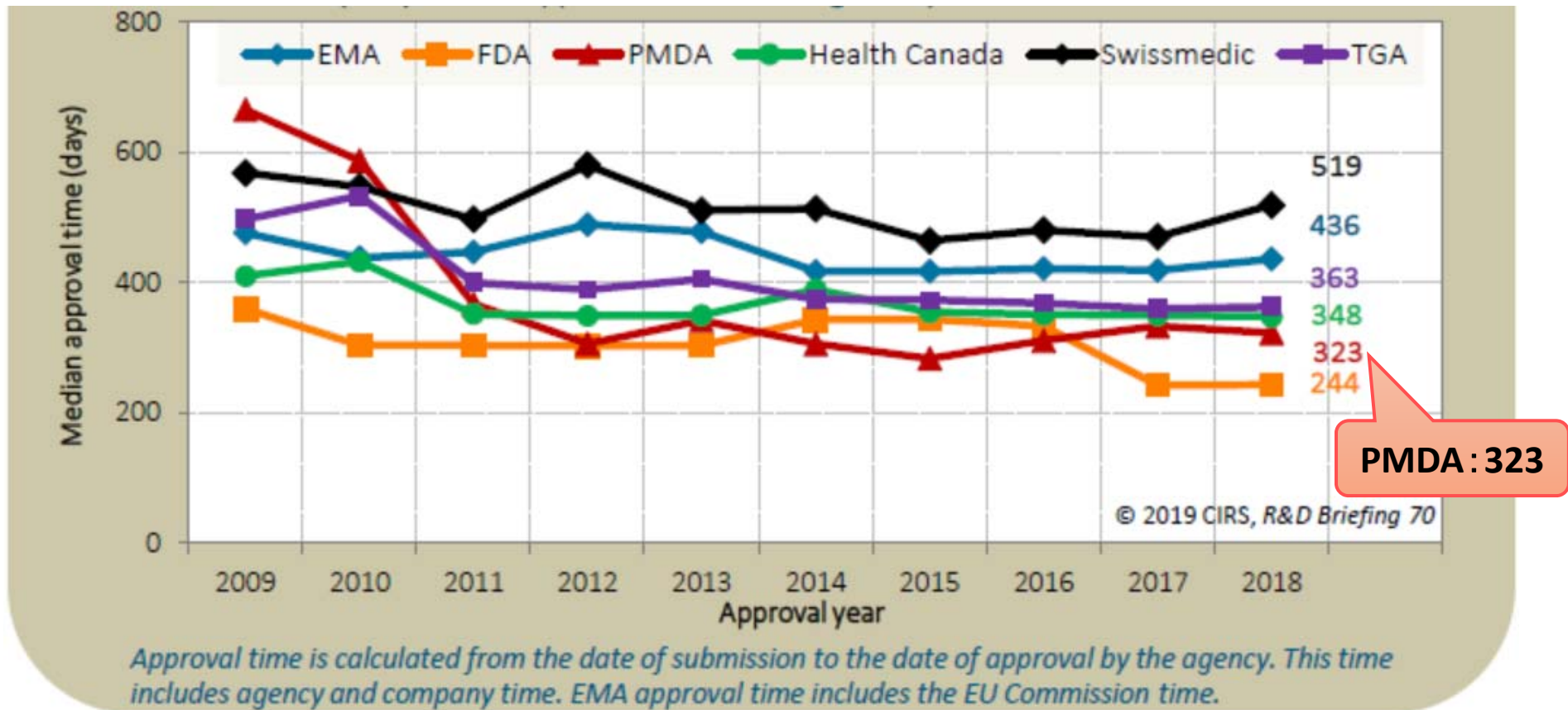
注2) 達成率は、当該年度中に決定されたもののうち、6ヶ月以内に処理できたものの割合である(6カ月以内処理の割合の目標値は60%以上)。

## 感染等被害救済制度の実績

年度	26年度	27年度	28年度	29年度	30年度
請求件数	3	6	1	3	7
決定件数	7	2	5	2	7
支給決定	6	1	3	2	6
不支給決定	1	1	2	0	1
取下げ件数	0	0	0	0	0
支給額	3,239千円	2,563千円	1,306千円	587千円	7,838千円
6カ月以内 処理件数 達成率	3 42.9%	1 50.0%	1 20.0%	1 50.0%	6 85.7%
処理期間(中央値)	6.3月	7.5月	10.0月	10.2月	4.6月

# 2009-2018年における新有効成分の審査期間（中央値）の比較

New active substance (NAS) median approval time for six regulatory authorities in 2009-2018

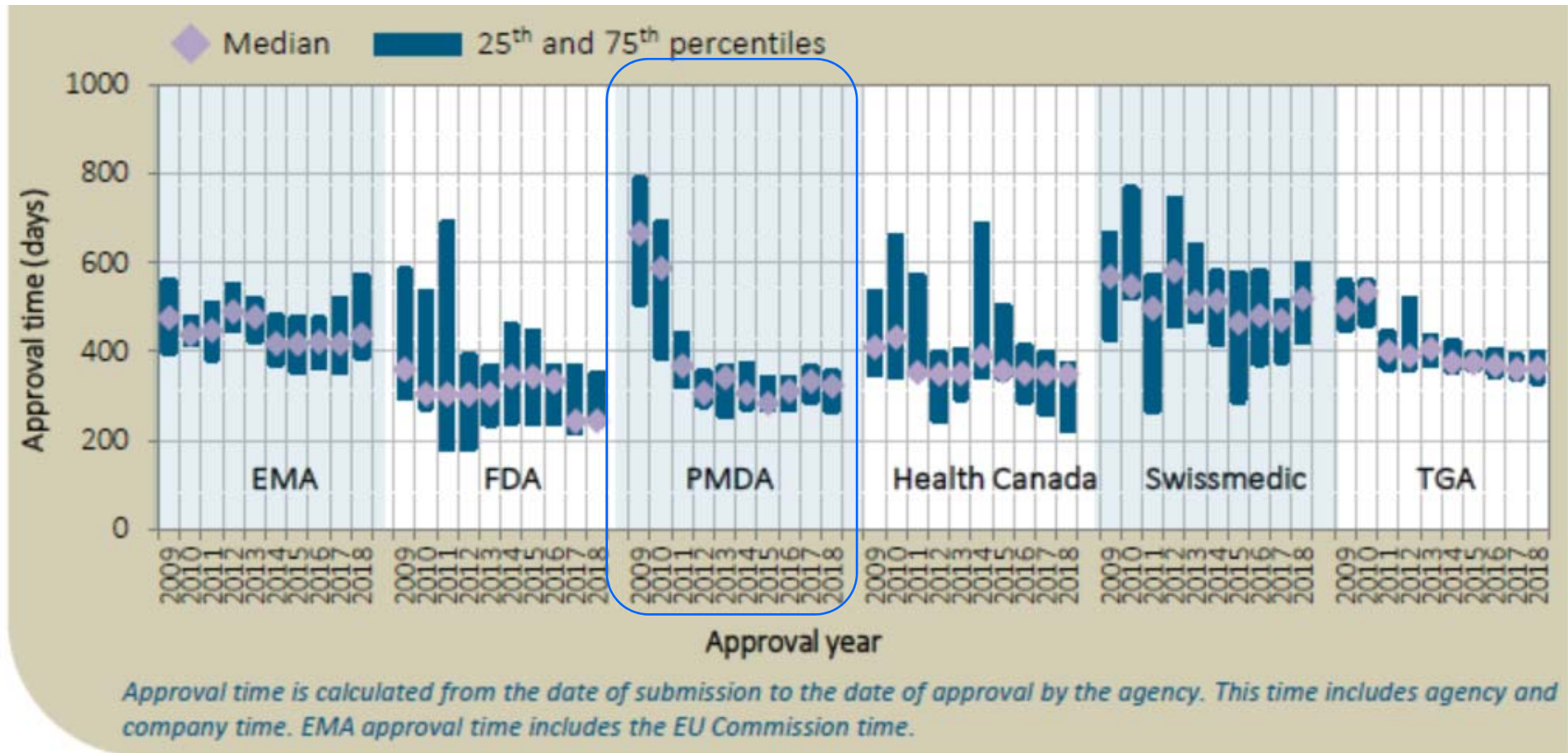


In 2018, FDA (CDER and CBER) approved the highest number of NASs (60), followed by EMA (40), Health Canada (32), PMDA (32), Swissmedic (31), and TGA (29).

**PMDAは2011年から世界最速レベルの審査期間を堅持  
2014～2016年には、3年連続で、PMDAが新有効成分の審査期間（中央値）世界最速を達成**

# 2009-2018年における新有効成分の審査期間 (25-75%タイル値) の比較

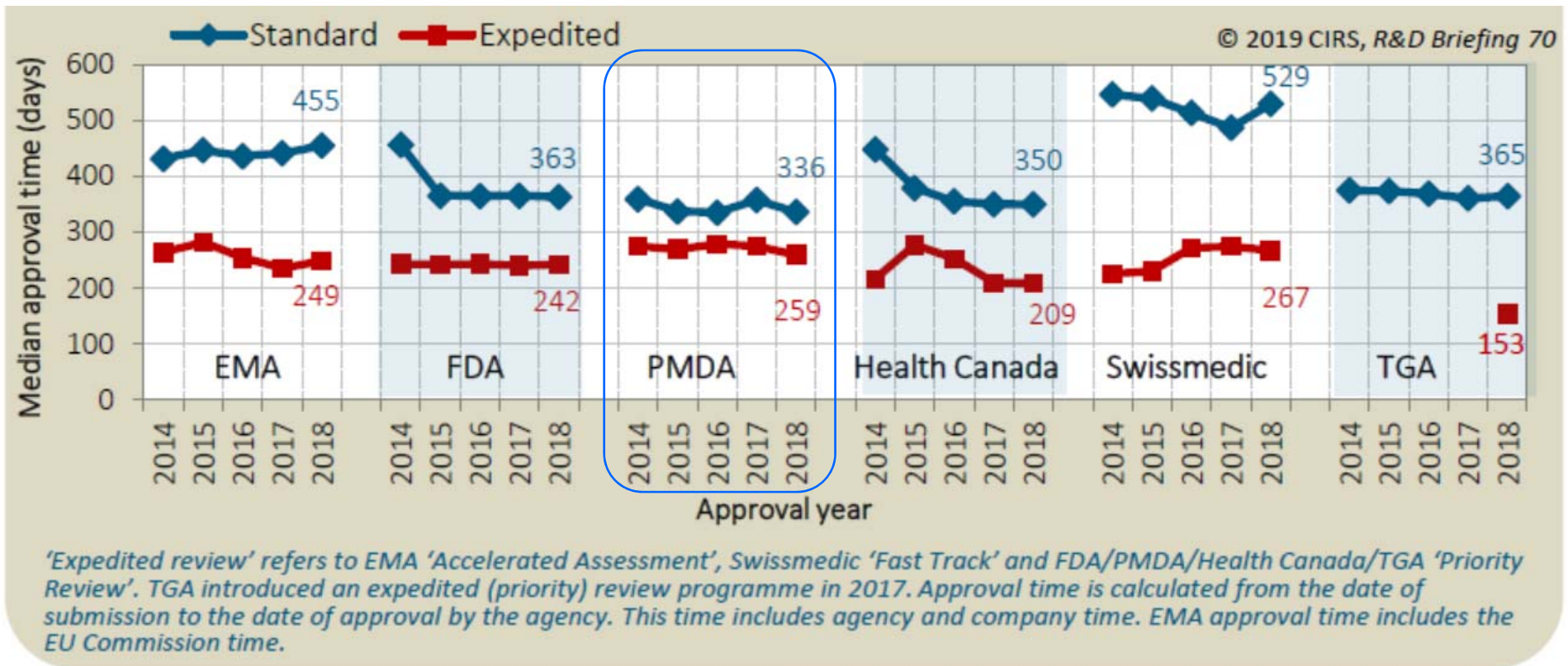
NAS approval time for six regulatory authorities in 2009-2018



2011年以降、PMDAの審査期間は25%タイル値と75%タイル値に  
大きな差がなく、予見性をもった審査を継続  
第四期中期目標期間では、審査の「質」の向上にも注力

# 2014-2018年における新有効成分の 通常品目と優先審査品目の審査期間の比較

NAS median approval time by review type for six regulatory authorities in 2014-2018



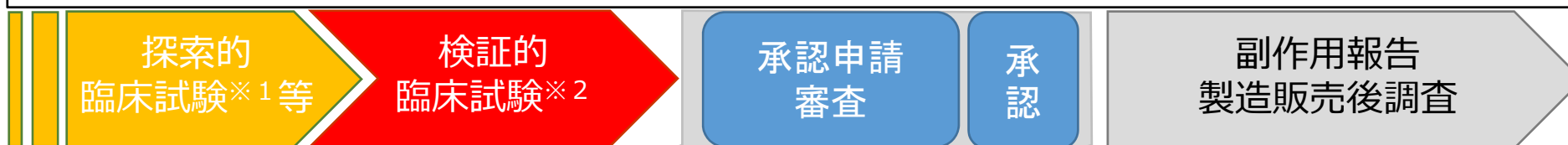
通常品目の審査期間は2018年では日本が世界最速であり、  
優先審査品目においても世界最速レベル

# 医薬品の条件付き早期承認制度に係るPMDAの対応について

## 制度の趣旨

重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件により付与する取扱いを整理・明確化し、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高い医薬品を早期に実用化する。

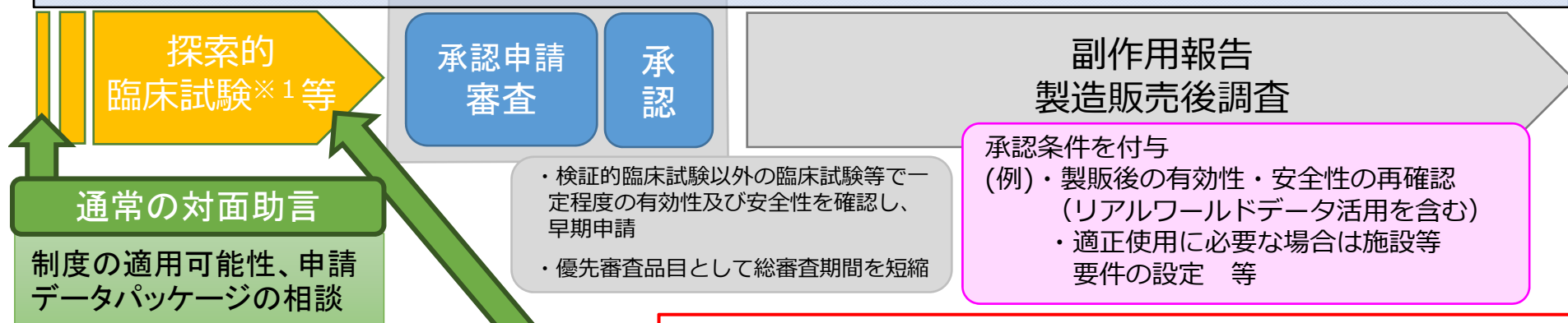
## 通常の承認審査



※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験

※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定した用法・用量等での医薬品の有効性・安全性を検証する試験

## 条件付き早期承認制度



### 通常 対面助言

制度の適用可能性、申請データパッケージの相談

### 条件付き早期承認品目該当性相談

条件付き早期承認制度の該当性報告書の作成(目的:申請後の指定手続を迅速に進める)  
製販後の調査内容についても評価に着手

### 承認条件を付与

(例)・製販後の有効性・安全性の再確認(リアルワールドデータ活用を含む)  
・適正使用に必要な場合は施設等要件の設定等

### 条件付き早期承認制度での承認実績(平成30年度)

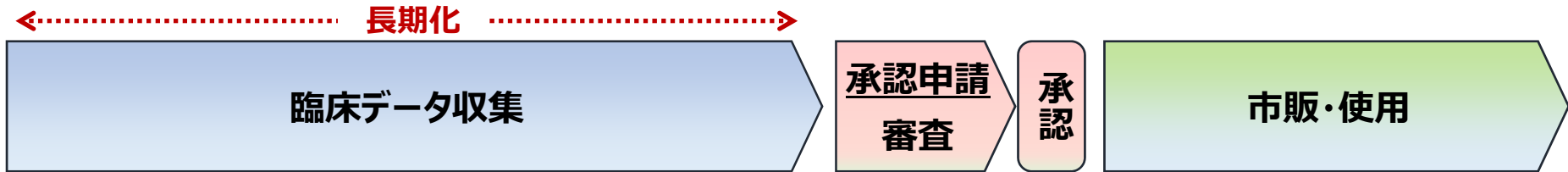
- ・ ロルラチニブ「ALKチロシンキナーゼ阻害剤に抵抗性又は不耐容のALK融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌」(ファイザー株式会社)
- ・ ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)「がん化学療法後に増悪した進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性(MSI-High)を有する固形癌(標準的な治療が困難な場合に限る)」(MSD株式会社)



# 革新的医療機器 条件付き早期承認制度

医療機器のライフサイクルマネジメントを踏まえ、市販前・市販後の規制バランスの最適化を図ることで、医療上の必要性の高い医療機器の承認申請を早期化。

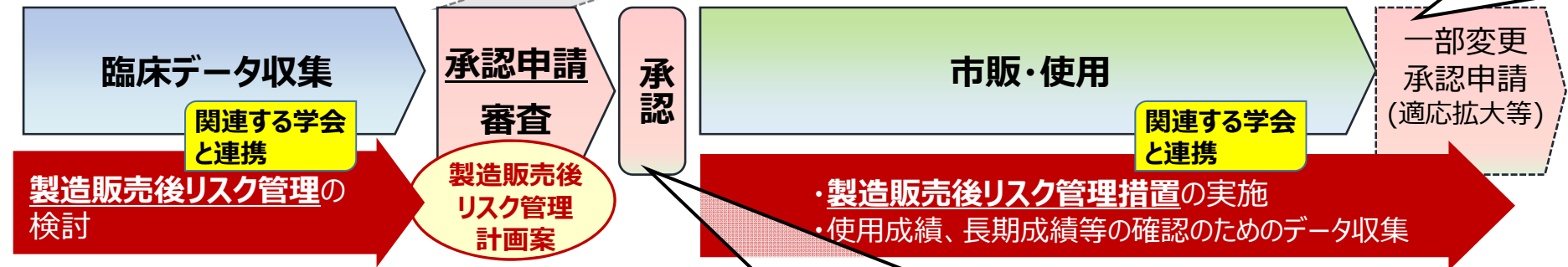
■ **現状** 患者数が少ないなどの理由により、治験の実施が難しく、臨床開発が長期化



## ■ 革新的医療機器条件付早期承認制度

製造販売後のリスク管理を条件に、新たな治験を実施することなく早期の承認申請を認める

原理上期待された長期有用性等が明らかになった場合など



(PMDAの開発前相談、臨床試験要否相談で、本制度の対象になり得るか、厚労省も参画の上で検討)

以下に合致する**新医療機器相当の品目**が対象

- ・ 有効な治療法等がない重篤疾患に対応
- ・ 評価のための一定の臨床データがあるが、新たな治験の実施が困難と考えられる
- ・ 関連学会と連携して適正使用基準を作成でき、市販後のデータ収集・評価の計画等を具体的に提示できる

- 申請段階で、関連する学会と連携の上で、**製造販売後のリスク管理**（適正使用基準（実施医、実施施設等の要件等）の実施、市販後のデータ収集・評価など）を計画し、「製造販売後リスク管理計画案」として申請資料に添付。
- 製造販売後のリスク管理を適切に実施することを前提として、新たな治験を実施することなく、当該医療機器の**安全性、有効性等を確認し**、承認。
- 製造販売後リスク管理を**承認条件**とすることで、その実施を担保

# 先駆け審査指定制度 承認品目一覧（その1）

H31年3月末時点

## 医薬品

指定日	販売名（一般名）	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 効能又は効果	承認日
H27.10.27	ゾフルーザ錠10mg、同錠20mg （バロキサビルマルボキシル）	塩野義製薬（株）	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	H30.2.23
H27.10.27	ラパリムスゲル0.2% （シロリムス）	ノーベルファーマ （株）	結節性硬化症に伴う皮膚病変	H30.3.23
H27.10.27	ゾスパタ錠40mg （ギルテリチニブフマル酸塩）	アステラス製薬 （株）	再発又は難治性のFLT3遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	H30.9.21
H30.3.27	ビンダケルカプセル20mg （タファミジスメグルミン）	ファイザー（株）	トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型） ※効能追加	H31.3.26

平成30年度に新たに承認された品目

# 先駆け審査指定制度 承認品目一覧（その2）

H31年3月末時点

## 再生医療等製品

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 効能、効果又は性能	承認日	備考
H28.2.10	ステミラック注	ニプロ(株)	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA 機能障害尺度がA、B 又はC の患者に限る。	H30.12.28	条件期限付き承認

平成30年度に新たに承認された品目

## 医療機器

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 使用目的又は効果	承認日	備考
H28.2.10	チタンブリッジ	ノーベルファーマ(株)	内転型痙攣性発声障害における症状の改善	H29.12.15	

## 体外診断用医薬品

指定日	販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた 使用目的又は効果	承認日	備考
H28.2.10	OncoGuide NCCオンコパネル システム	シスメックス(株)	本品は、固形がん患者を対象とした腫瘍組織の包括的なゲノムプロファイルを取得する。	H30.12.25	解析プログラム(医療機器)とセットで、医療機器としての承認

平成30年度に新たに承認された品目

# 先駆け審査指定制度 承認品目 (医薬品)

医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能・効果
ゾスパタ錠40mg 一般名:ギルテリチニブフマル酸塩 (アステラス製薬株式会社)	FLT3(FMS様チロシンキナーゼ3)等のチロシンキナーゼに対する阻害作用を有する低分子化合物。FLT3を介したシグナル伝達を阻害することにより、FLT3遺伝子変異陽性の腫瘍の増殖を抑制すると考えられている、新規作用機序の急性骨髄性白血病治療薬。	再発又は難治性のFLT3遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病

- アステラス製薬株式会社及び寿製薬株式会社により創製された、日本オリジンの新規作用機序である急性骨髄性白血病治療薬

<先駆け審査指定制度に係る経過>

- ・平成27年10月、先駆け審査品目(医薬品)に指定。
- ・平成30年3月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年9月、新有効成分含有医薬品として承認。

表 国際共同第III相臨床成績(第1回中間解析結果)

効果	本薬群 (例数(割合)) (142例、日本人18例を含む)
CR*1	27/142例 (19.0%)
CRh*2	13/142例 (9.2%)
CR+CRh (CR+CRh率[95%CI](%))	40/142例 (28.2% [20.9, 36.3])

\*1) CRは、骨髄の正常造血細胞が再生し、形態学的に白血病細胞が認められず、骨髄中の芽球数が5%未満、好中球絶対数が $1.0 \times 10^9/L$ 以上、かつ血小板数が $100 \times 10^9/L$ 以上であり、赤血球及び血小板輸血を行っておらず、髄外性白血病が認められていない状態。

\*2) CRhは、骨髄中の芽球数が5%未満、好中球絶対数が $0.5 \times 10^9/L$ 以上、かつ血小板数が $50 \times 10^9/L$ 以上であり、髄外性白血病が認められていない状態。

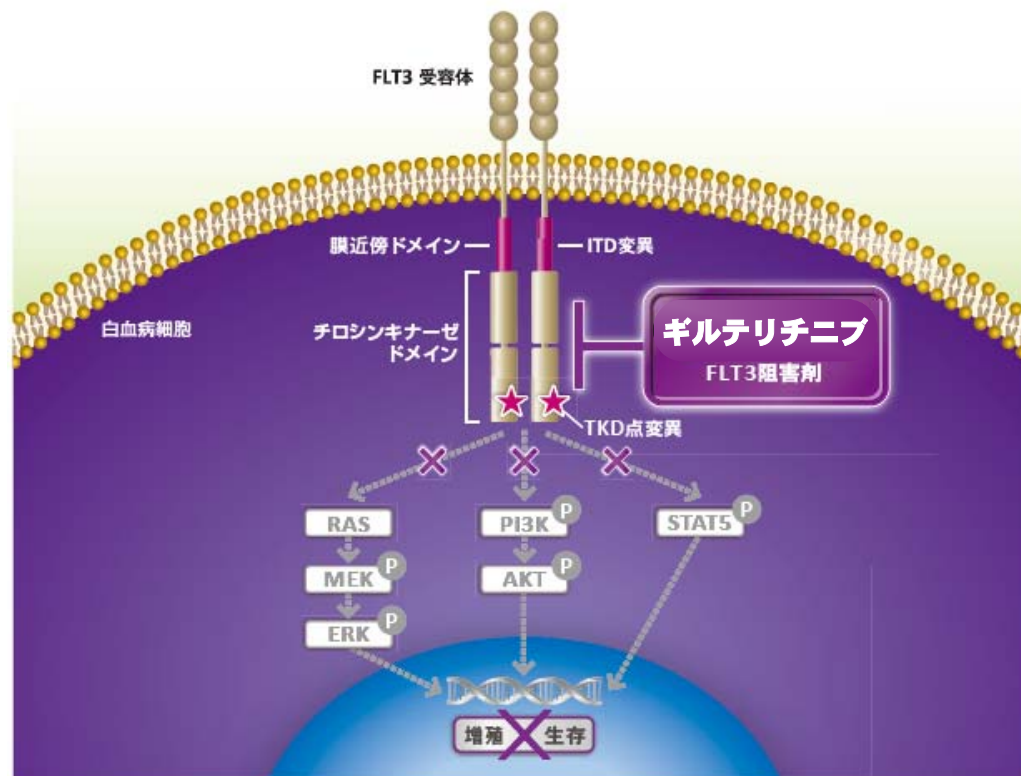


図 ギルテリチニブの作用部位・作用機序

表:ゾスパタ錠40mg添付文書臨床成績の項を踏まえ、作成した表。 図:アステラス製薬株式会社から提供、一部改変。

# 先駆け審査指定制度 条件及び期限付き承認品目（再生医療等製品）

再生医療等製品の名称 (申請者)	品目の概要	効能、効果又は性能
ステミラック注 一般的名称:ヒト(自己)骨髄 由来間葉系幹細胞 (ニプロ株式会社)	本品は、(1)主構成体として、患者自身から採取した骨髄液中の間葉系幹細胞を体外で培養・増殖させ凍結保存した細胞、(2)副構成体として、骨髄採取キット及び採血キットから構成されるヒト細胞加工製品である。	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。 ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。

- 本望修・札幌医科大学教授のシーズを元に、札幌医科大学とニプロ株式会社が共同で開発・製品化した、日本オリジンのヒト細胞加工製品。
- 薬事戦略相談(現RS戦略相談)等の対面助言を実施し、札幌医科大学で医師主導治験を実施。

## ＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- ・平成28年2月、先駆け審査品目(再生医療等製品)に指定。
- ・平成30年6月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・平成30年12月、再生医療等製品として条件及び期限付きで承認。

表 臨床試験成績(単施設単群、脊髄損傷受傷後220日目における投与直前からASIA機能障害尺度\*が1段階以上改善した症例の割合)

投与直前**のASIA機能障害尺度	1段階以上改善した症例数/解析対象症例数(割合)
A	5/6例(83.3%)
B	2/2例(100%)
C	5/5例(100%)
合計(A,B,C)	12/13例(92.3%)

\*ASIA機能障害尺度(ASIA impairment scale):重症度別にA~Eの5段階に分類される。  
A:完全麻痺(S4~S5領域の運動・知覚機能の完全喪失)、B~D:不全麻痺、E:正常

\*\*受傷後40±14日以内に本品は投与された。

表:ステミラック注添付文書臨床成績の項を踏まえ、作成した表。 図:ニプロ株式会社より提供。

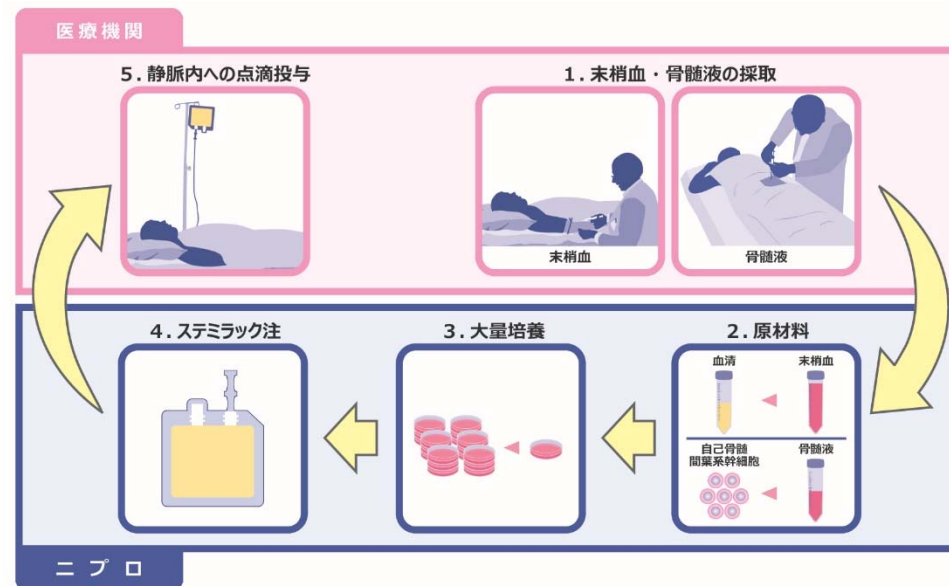
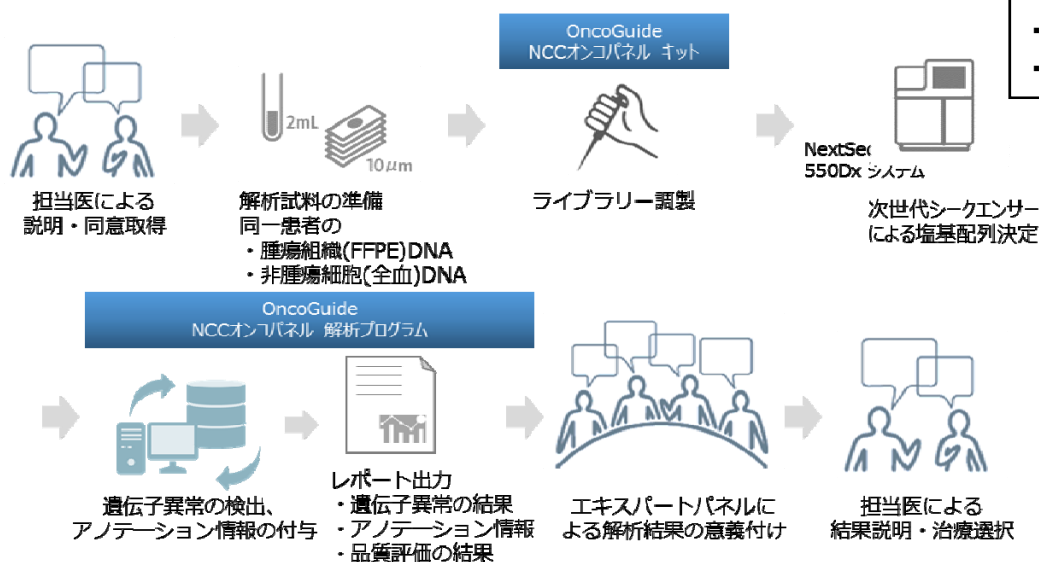


図 治療の流れ(概要)

# 先駆け審査指定制度 承認品目（医療機器・体外診断薬）

製品の名称 [申請者]	品目の概要	使用目的 又は効果
OncoGuide NCCオンコパネル システム 一般的名称: 遺伝子変異解析 セット(がんゲノムプロファイ リング検査用) [シスメックス株式会社]	遺伝子解析プログラム(OncoGuide NCCオンコパネル 解析プログラム)及び プレートDNA調製試薬(OncoGuide NCCオンコパネル キット)より構成される コンビネーション医療機器であり、DNAシーケンサー(NextSeq 550Dx システ ム(イルミナ株式会社/別途届出))と組み合わせて使用される。解析の対象 となる遺伝子は、固形がんに関連する114遺伝子。 検出された遺伝子異常は、データベースを参照することで、臨床的情報等が 付与され、レポートとして出力される。	本品は、固形が ん患者を対象と した腫瘍組織 の包括的なゲノ ムプロファイル を取得する。

- 国立がん研究センターとシスメックス株式会社が共同開発した、日本発のがんゲノムプロファイリング検査用のシステム。



＜先駆け審査指定制度に係る経過＞

- 平成29年2月、先駆け審査品目(体外診断薬)に指定。
- 平成30年6月、先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- 平成30年12月、コンビネーション医療機器として承認取得。

がん・癌種 対象遺伝子(114)				がん 対象 遺伝子(12)	
ABL1	CREBBP	IGH2	NF1	RAC2	AKT2
ACTN4	CRKL	IGF1R	NF2L2/NF2	RAD51C	ALK
AKM1	CTNNB1	IGF2	NOTCH1	RAF1/CRAF	BRAF
AKT2	CUL3	IL7R	NOTCH2	RB1	ERBB4
AKT3	DDR2	JAK1	NOTCH3	RET	FGFR2
ALK	EGFR	JAK2	NRAS	RHCA	FGFR3
APC	ENO1	JAK3	NRG1	RGS1	FGFR4
ARAF	EP300	KDM5A/UTK	NTRK2	SETBP1	NTRK1
ARID1A	ERBB2/HER2	KEAP1	NTRK3	SETD2	NTRK2
ARID2	ERBB3	KIT	NTRK3	SMAD4	POGFRA
ATM	ERBB4	KRAS	NTRK3	SMARCA4/BRG1	RET
AXIN1	ESR1/ER	NAP2K1/MEK1	PALE2	SMARCB1	ROB1
AXL	EZH2	NAP2K2/MEK2	PERN1	SMO	
BAP1	FBXW7	MAP2K4	POGFRA	STAT3	
BARD1	FGFR1	MAP3K1	POGFRB	STK11/LKB1	
BCL2L1/BLM	FGFR2	MAP3K4	PIK3CA	TSP2	
BRAF	FGFR3	MDM2	PIK3R1	TSC1	
BRCA1	FGFR4	MDM4	PIK3R2	VHL	
BRCA2	FLT3	MET	POLD1		
CCND1	GNA11	MLH1	POLE		
CC27A/PD-L1	GNAQ	MTOR	PRKG1		
CDK4	GNA5	MSH2	PTCH1		
CDKN2A	HRA5	MYC	PTEN		
CHK2	ICDH1	MYCN	RAC1		

(左図) 本システムの使用イメージ (右図) 本システムの解析対象遺伝子 (シスメックス(株)より提供)

# 【参考】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で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、医薬品・医療機器では通常の半分の6ヶ月間で承認）を目指す「先駆け審査指定制度」を平成27年4月1日に創設。

平成30年度も引き続き当該制度を試行的に実施した。

## 指定基準

※医薬品の例

1. 治療薬の画期性:原則として、既承認薬と異なる作用機序であること(既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患に適応するのは初めてであるものを含む。)
2. 対象疾患の重篤性:生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく社会生活が困難な状態が継続している疾患であること。
3. 対象疾患に係る極めて高い有効性:既承認薬が存在しない又は既承認薬に比べて有効性の大幅な改善が期待できること。
4. 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思(同時申請も含む。)

## 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 ]

- 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 ]

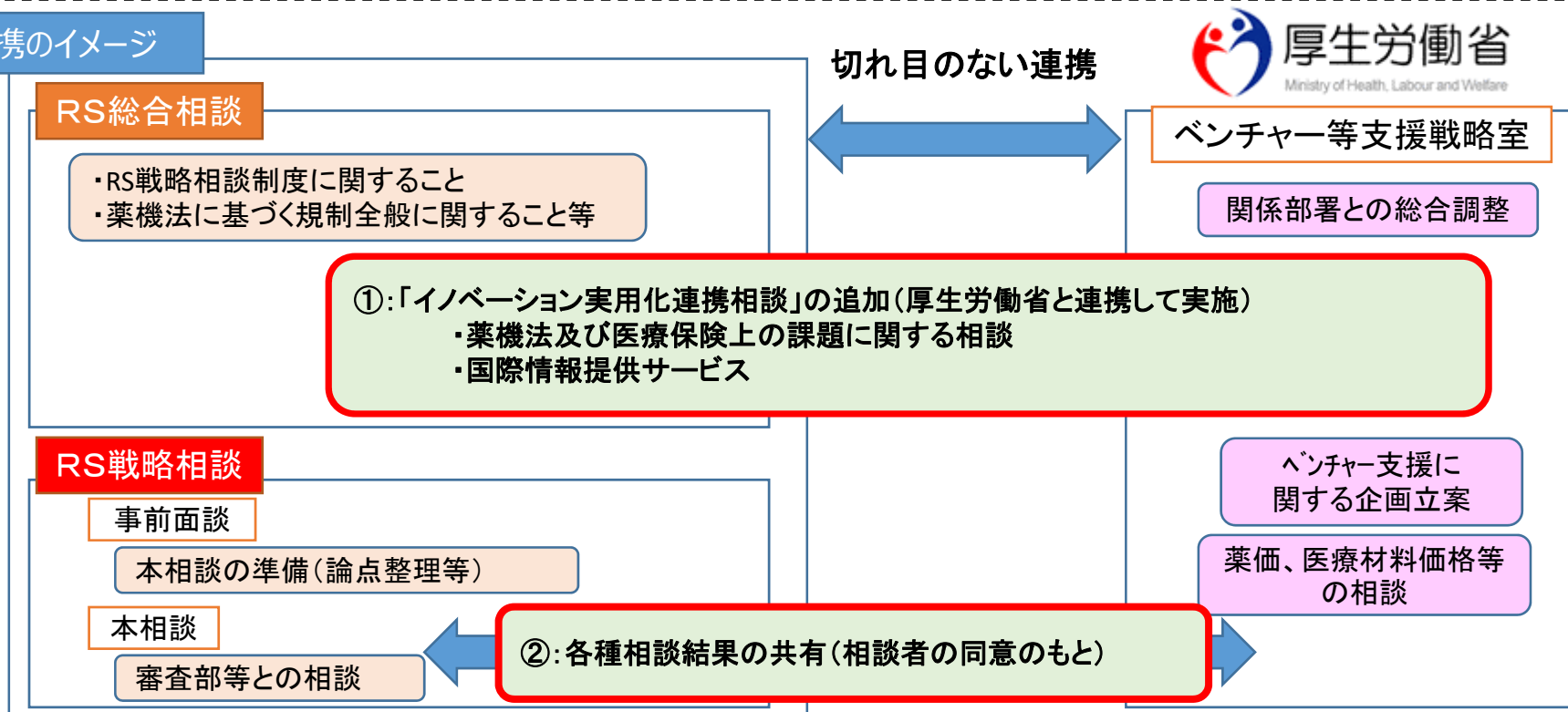
- 通常、新有効成分含有医薬品の再審査期間が8年であるところを、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

# PMDAのイノベーション実用化支援の取り組み状況 ～イノベーション実用化連携相談の導入等～

## 1.概要等

- 平成30年4月から、既成概念に収まらない革新的製品の各種相談の充実強化のため、RS総合相談に「イノベーション実用化連携相談」を追加し、厚生労働省医政局経済課ベンチャー等支援戦略室と情報共有しながら、説明、相談を行うこととした。
- ・薬機法及び医療保険上の課題に関する相談:コンビネーション製品、異なる品目の併用・組合せ(新規検査に基づく新薬の投与など)、プログラム医療機器等の取り扱いなど、開発段階で予測される様々な課題に関する相談
  - ・海外の規制情報に係る相談:欧米に進出しようとする相談者に対し、欧米の公開情報に基づく規制情報を提供
- PMDAが実施した各相談の結果について、相談者の同意のもとでベンチャー等支援戦略室と共有することにより、承認審査から保険償還までの様々なステージで切れ目無く対応。

## 2.連携のイメージ





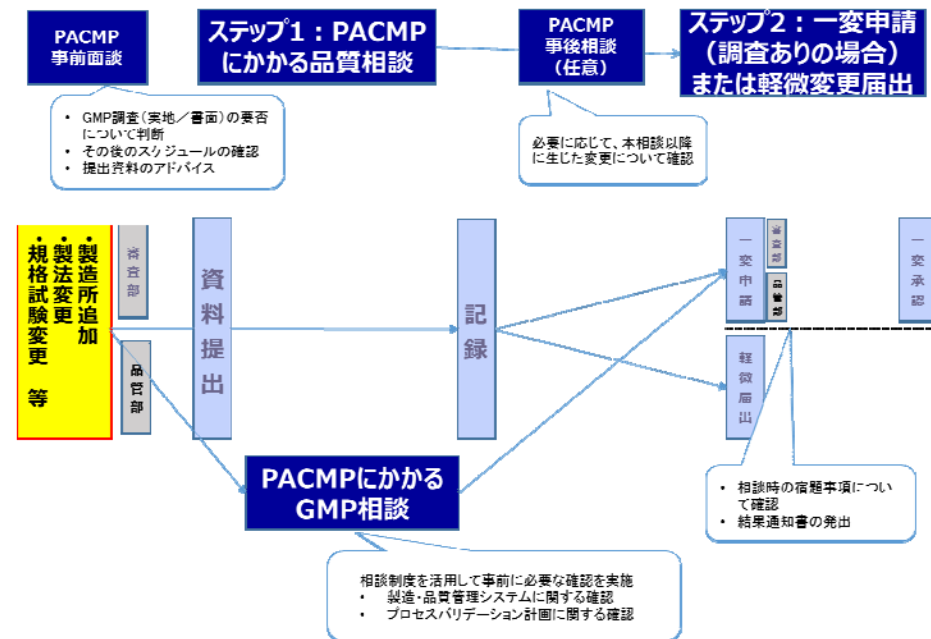
# 医薬品の品質に係る承認事項の変更に係る取扱い等について 承認後変更管理実施計画書（Post-Approval Change Management Protocol） を用いた承認事項の変更手続き制度の試行等

## 検討の経緯

- ICHにおいてQ12（医薬品のライフサイクルマネジメント）が採択され、PACMP(Post-Approval Change Management Protocol：承認後変更管理実施計画書）を用いた承認事項の変更手続き制度が議論されている
  - ※製造販売業者等と規制当局があらかじめ、製造方法等の変更内容、変更内容に対する評価方法及び判定基準等を記したPACMPを合意しておき、その後、合意された評価方法に従って変更後の医薬品の品質確認を行い、予定された結果が得られた場合は、品質に係る承認事項を予定していた案へ迅速に変更できる制度  
欧米では既に同制度が導入されている
- 医薬品の製造販売承認書に即した製造等の徹底図り、更に製造等の円滑な変更管理を推進する観点から、平成30年4月から一部の品目について試行を開始（審査部のリソースも勘案しながら実施）

## 試行の対象

- 医療用医薬品（除体外診断薬）の一変
- （必要な場合）GMP適合性調査の調査権者がPMDAのみ
- ICH Q10に基づき、医薬品の品質を管理するシステムを適切に運用していること
- 記載整備届出書の確認が終了していること
- 当該変更の評価に当たって非臨床・臨床試験の提出が必要ないこと
- CTDで資料が提出できること
- MFに係る変更は除く



# 審査の質の向上のための新たな相談区分の新設（平成31年4月）

## ～利用者からの要望を踏まえたきめ細かな対応～

相談区分 (治験相談)	内容	相談区分 (治験相談)	内容
カルタヘナ法関連相談	カルタヘナ法に基づく第一種使用規程承認申請又は第二種使用等確認申請の事前確認を行う前に、申請予定の遺伝子組換え生物等ごと及び第一種使用規程又は第二種使用等をする場所ごとに申請資料の充足性、記載内容の適切性について指導及び助言を実施	医薬品・医療機器・再生医療等製品レジストリ活用相談	医薬品・医療機器・再生医療等製品の承認申請又は再審査申請へのレジストリの利活用を前提とした計画の考え方及びその際のレジストリの質向上及び信頼性確保のための一般的な考え方を助言を実施
医療機器資料充足性・申請区分相談の追加相談	医療機器の非臨床試験に係る適合性書面調査の対象となる試験の事前選定を実施	医薬品・医療機器・再生医療等製品レジストリ信頼性調査相談及びその追加相談	レジストリを用いた承認申請又は使用成績評価申請を予定している医薬品、医療機器、再生医療等製品の個別品目について、申請前又は製造販売後調査等開始前にそのレジストリの信頼性について確認及び助言を実施
医療機器使用成績評価適合性調査相談	医療機器の使用成績評価申請時に添付する予定の資料について、信頼性基準への適合性に関する事項に関し、指導及び助言を実施	後発医薬品変更管理事前確認相談	後発医薬品の一変申請品目を対象として、事前に変更管理等に関する評価方針の妥当性や既に提出されている軽微変更等に関する資料の十分性等についての指導及び助言を実施
医療機器使用成績評価相談	新設予定の医療機器使用成績評価適合性調査相談を実施した資料を対象とし、使用成績評価の対象として指定された品目について、実施中の使用成績調査に係る変更等に関して指導及び助言を実施	OTC品質相談	別紙規格、規格及び試験方法の妥当性に関し、指導及び助言を実施
医薬品申請電子データ提出方法相談及び医薬品申請電子データ提出免除相談	臨床電子データを添付して申請を予定している新医薬品（バイオ後続品を含み、一般用医薬品は除く）の承認申請時の電子データ提出に伴う事項について、申請前の段階で個々の品目ごとに内容を検討し、申請の準備及び申請後の審査を円滑に進めるための指導及び助言を実施	スイッチOTC等開発前相談	スイッチOTC薬の開発にあたり、これまでに得られている安全性情報、有効性情報及び海外における承認情報等に基づき、申請に至るまでに必要な試験、開発計画策定等について指導及び助言を実施
医薬品・再生医療等製品レジストリ使用計画相談	医薬品・再生医療等製品の承認申請又は再審査申請において、個別品目の有効性及び安全性の評価にあたり、レジストリを活用したい場合に、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等について指導及び助言を実施	【簡易相談】 医療機器・体外診断用医薬品認証基準該当性簡易相談	医療機器及び体外診断用医薬品の認証基準の該当性について指導及び助言を実施

## 申請電子データシステムの利用実績（平成30事業年度実績）

企業管理者登録数 （企業数）	13
試験データ提出品目数	33

### 申請電子データ提出確認相談の実績

期間	申込件数	実施件数
平成27年度（平成27年5月15日～平成28年3月31日）	13	11
平成28年度（平成28年4月1日～平成29年3月31日）	62	55
平成29年度（平成29年4月1日～平成30年3月31日）	65	70
平成30年度（平成30年4月1日～平成31年3月31日）	100	90
合計	240	226

# ICH-E17ガイドライン（国際共同治験の計画及びデザインに関する一般原則）

目的: 世界各地域での承認申請において国際共同治験の受け入れ可能性を高めるため、国際共同治験の計画及びデザインの一般原則を示す。

## 国際共同治験のデザインに必要な地域間のばらつきに関する事前検討事項

- 地域間のばらつき、そのばらつきが内因性・外因性民族的要因によりどの程度説明できるか、そのばらつきが試験結果へ影響を及ぼす可能性があるかを慎重に検討すべき。
- 重要な内因性・外因性民族的要因は、国際共同治験の計画時に特定されているべきで、検証的国際共同治験においても収集されるべき。

評価項目の選択(特に主要評価項目)

被験者の選択

地域の併合、属性集団の併合に関する検討

統計解析計画(治験に参加する全ての地域と属性別集団からのデータに基づく治療効果の仮説検定、地域間の治療効果の一貫性評価を含む)

国際共同治験で使用する投与量の選択

症例数設定(各地域への配分を含む)

情報の収集、取り扱い方法の標準化

対照薬の選択

その他

適切なデザイン  
合意

試験の成功

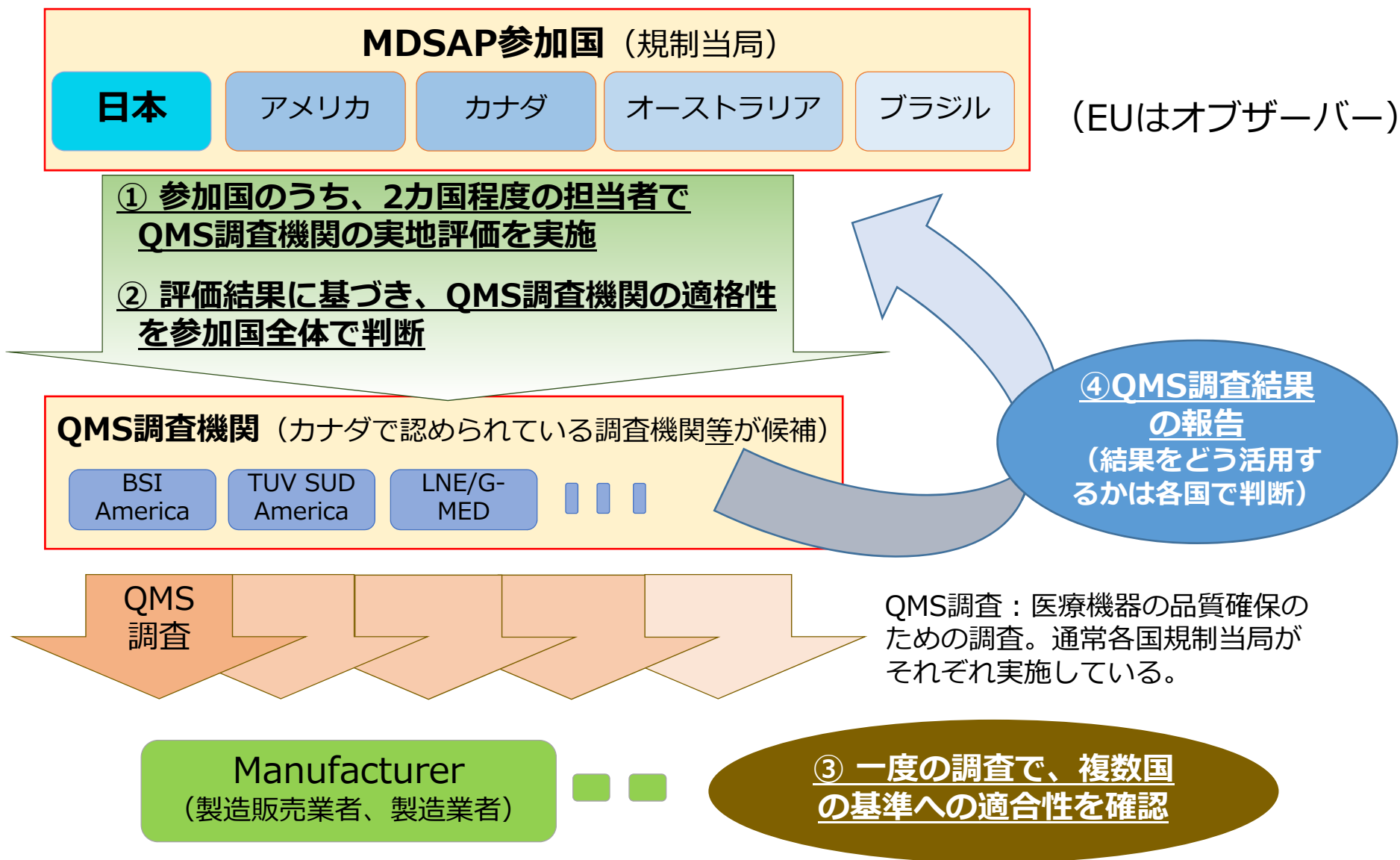
参加各地域での承認申請

### 医薬品開発へのインパクト(ガイドラインより)

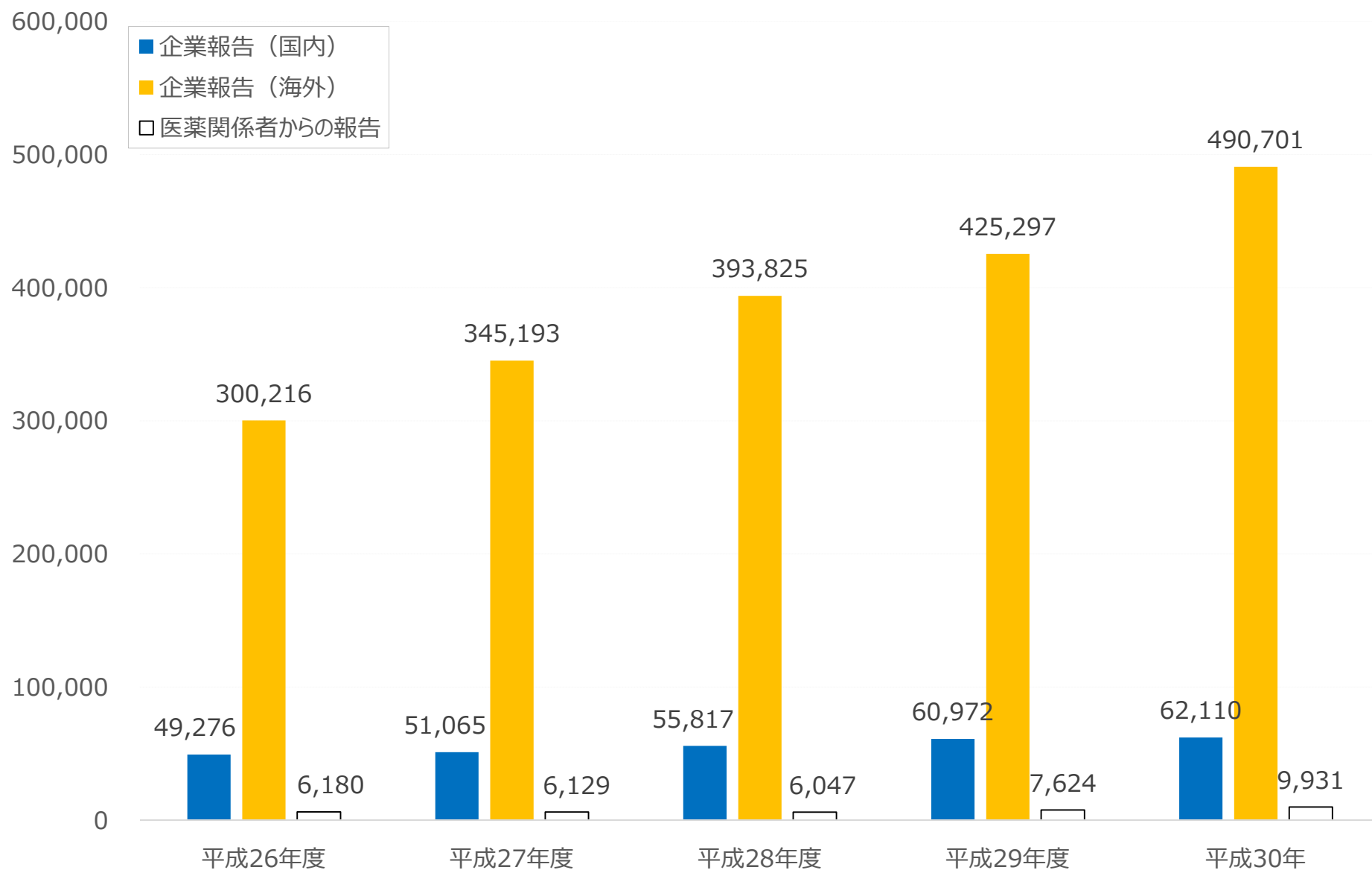
- 革新的な治療が早期に、異なる地域で、同時に使用可能となる。
- 臨床試験が、重複して各地域で実施される無駄が減る。
- グローバルでの同時開発が優先して検討されることにも繋がり、国際的整合化も推進される。
- 各地域・国におけるより良いエビデンスの収集につながる。

# MDSAP の概要

## Medical Device Single Audit Program (医療機器単一調査プログラム)

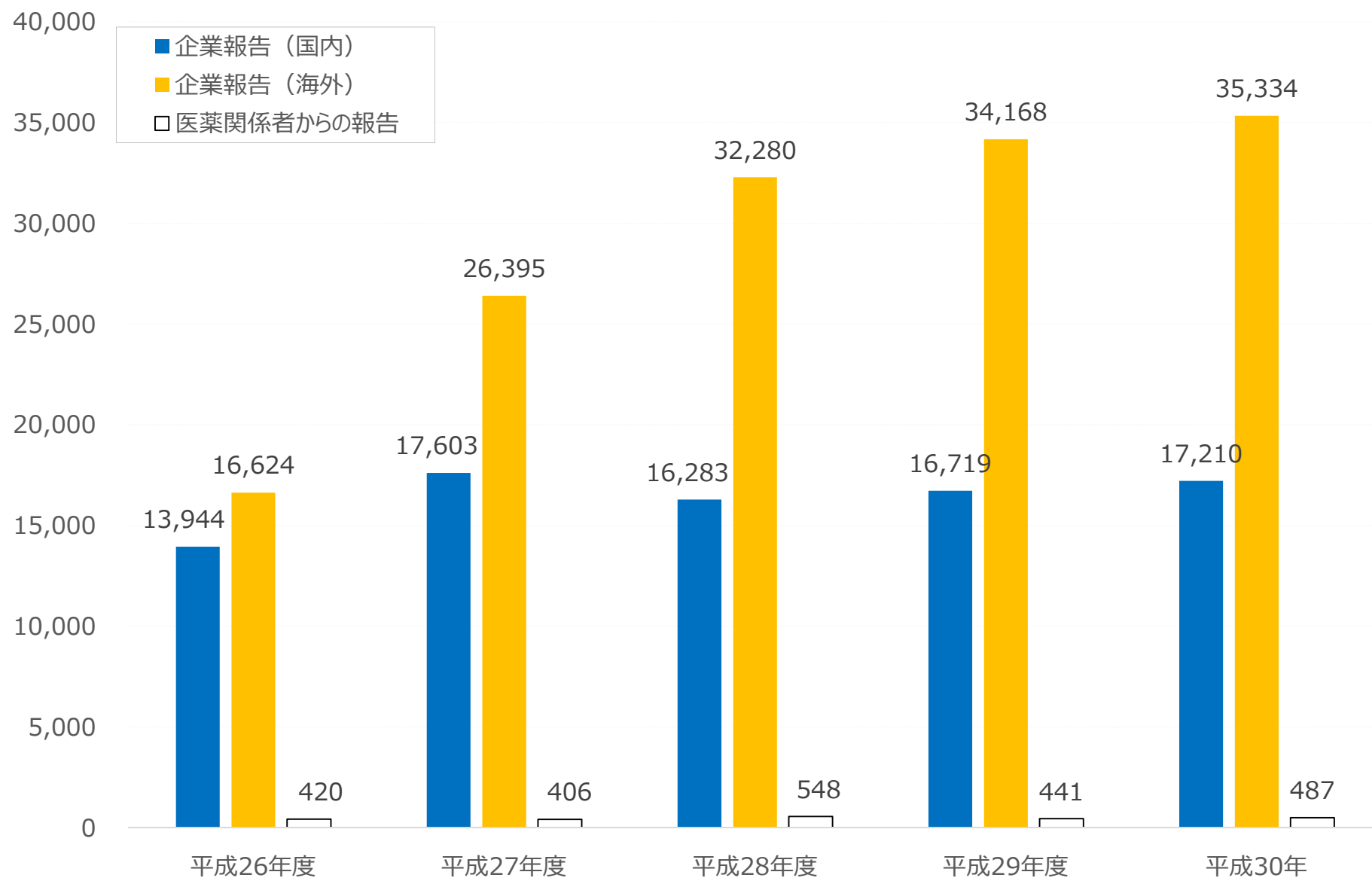


# 医薬品副作用・感染症報告数の年次推移



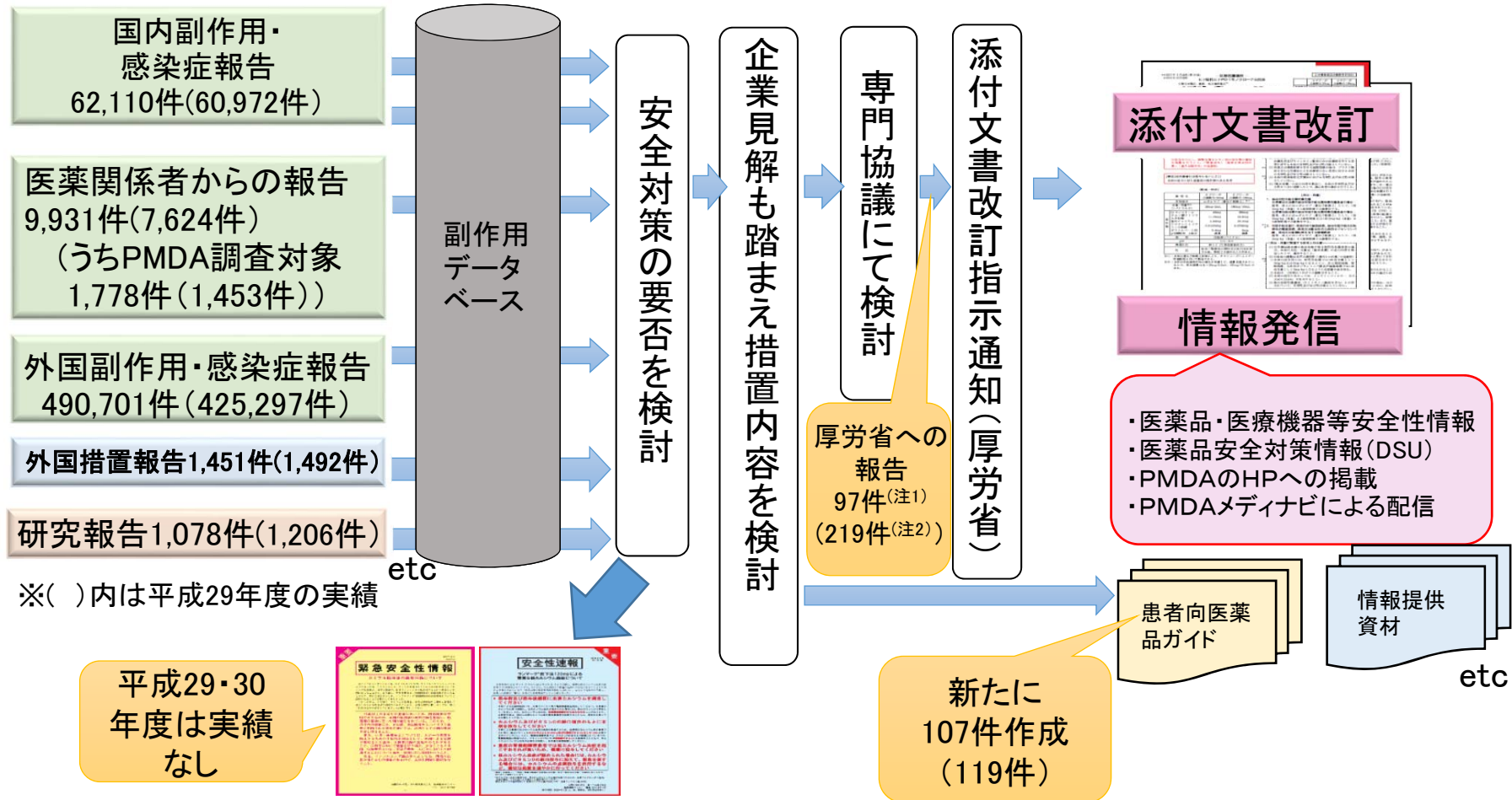
※件数にはコンビネーション医薬品の不具合症例にかかる報告は含まれない。

# 医療機器不具合・感染症報告数の年次推移



※件数にはコンビネーション医薬品の不具合症例にかかる報告は含まれない。

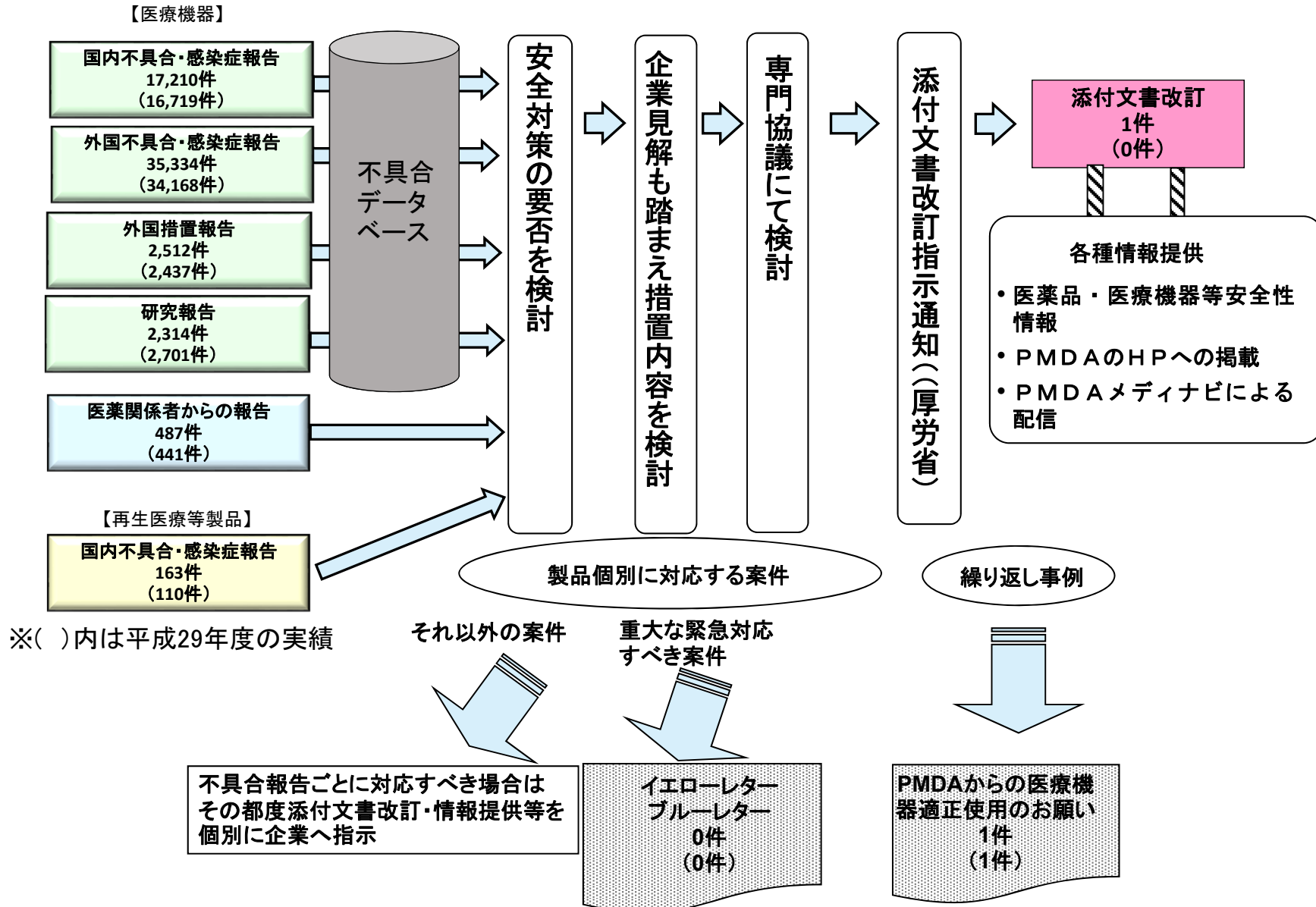
# 平成30年度 医薬品関係の主な実績



(注1)うち3件は、厚生労働省における検討の結果、添付文書の改訂の措置は行わないこととされた。  
(注2)医薬部外品1件を含む。



# 平成30年度 医療機器・再生医療等製品の主な実績



# 添付文書改訂等の各種相談への対応件数

	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度
医薬品					
市販後安全対策等の相談	869件	991件	795件	818件	629件
新記載要領改訂相談 <sup>※1</sup>	—	—	—	—	863件
医療機器 <sup>※2</sup>	325件	772件	1,597件	2,741件	446件
医療安全	72件	116件	78件	91件	114件
再生医療等製品	0件 <sup>※3</sup>	4件	3件	1件	11件

※1 平成30年度からの医薬品添付文書記載要領の改訂に伴う添付文書改訂相談。

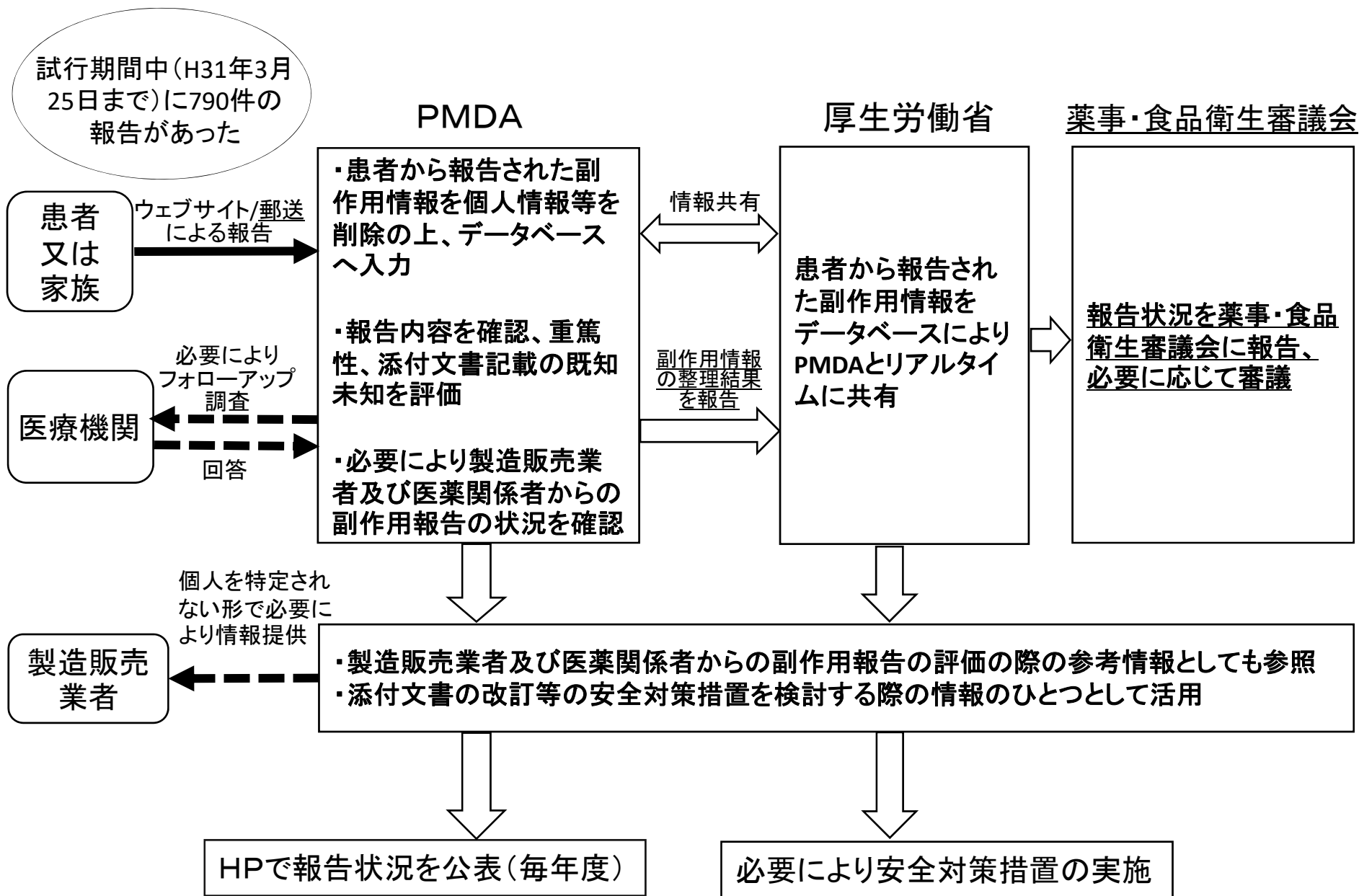
※2 平成27年度以降は、医薬品たるコンビネーション製品の機械器具部分に関する相談を含む。

※3 平成26年11月25日の医薬品医療機器法施行後の件数

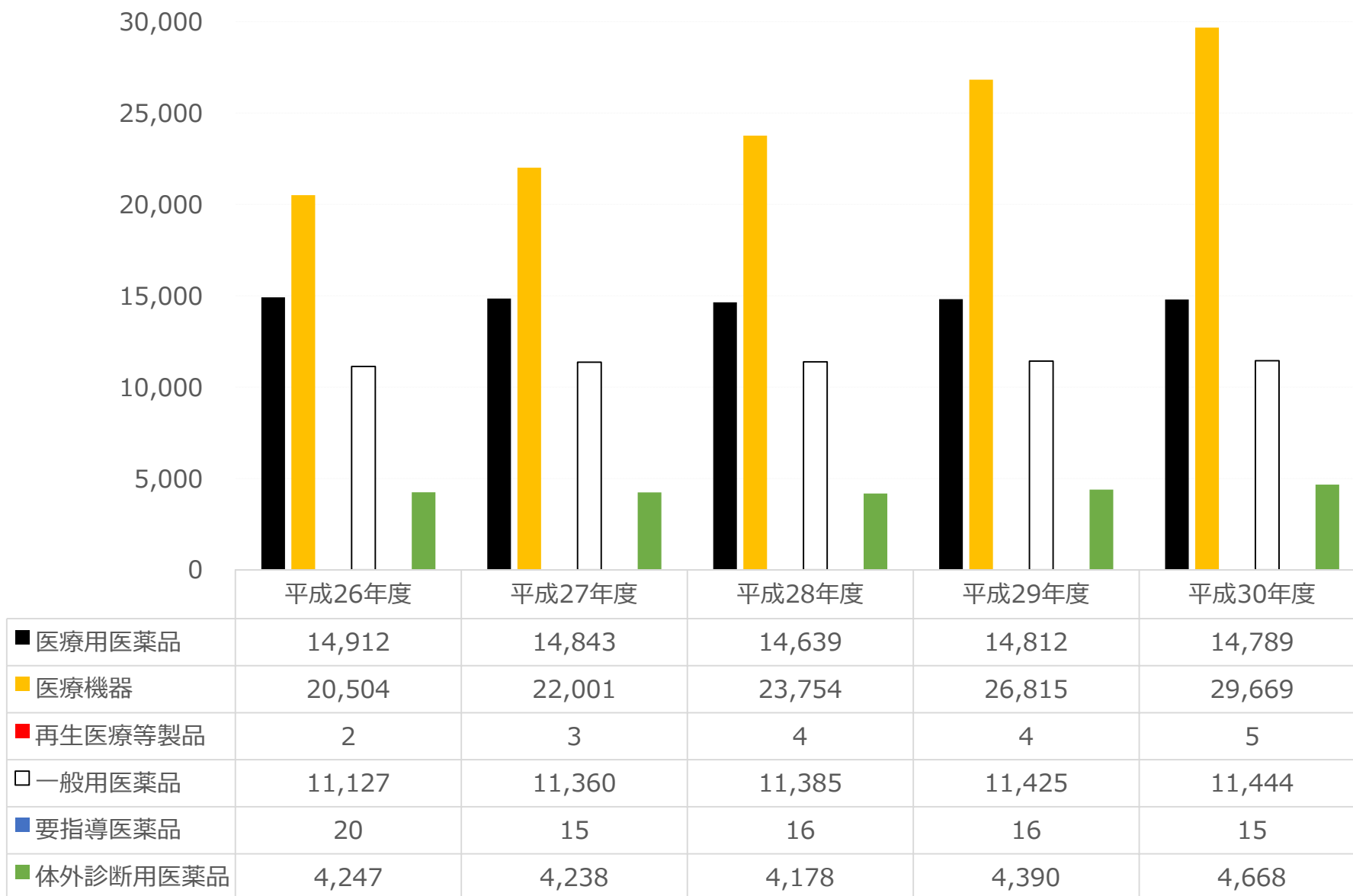
## 主な添付文書改訂の安全対策措置

- ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）の「重大な副作用」の項に「硬化性胆管炎」「血球貪食症候群」、「無顆粒球症」を追記
  - レンバチニブメシル酸塩の「重大な副作用」の項に「気胸」を追記、アキシチニブの「重大な副作用」の項に「間質性肺疾患」を追記
  - ニボルマブ（遺伝子組換え）の「重大な副作用」の項に「血球貪食症候群」、「溶血性貧血」、「無顆粒球症」を追記する使用上の注意の改訂
    - これらの医薬品は、日本での開発が先行した画期的な効果を示す新薬で、治験では想定されなかった副作用が報告されたことから、世界に先駆けて重大な副作用の追記に関する調査を行い添付文書改訂の必要性について検討を実施。
    - 国外内の副作用症例の集積状況等を踏まえ、各医薬品について使用上の注意の改訂を行うことが適当である旨の調査結果を厚生労働省に提出した。
- 
- 添加剤としてソルビトール又は果糖を含有する静注製剤の「慎重投与」の項に「遺伝性果糖不耐症の患者」を追記する使用上の注意の改訂
    - 添加剤としてソルビトール又は果糖を含有する静注製剤は対象の製剤も多く遅滞なく安全対策を行うために複数の企業を対象とした説明会を実施して添付文書改訂の必要性を検討。
    - 海外の措置に併せて、遺伝性果糖不耐症の患者を慎重投与することが適当である旨の調査結果を厚生労働省に提出した。

# 患者副作用報告の概要

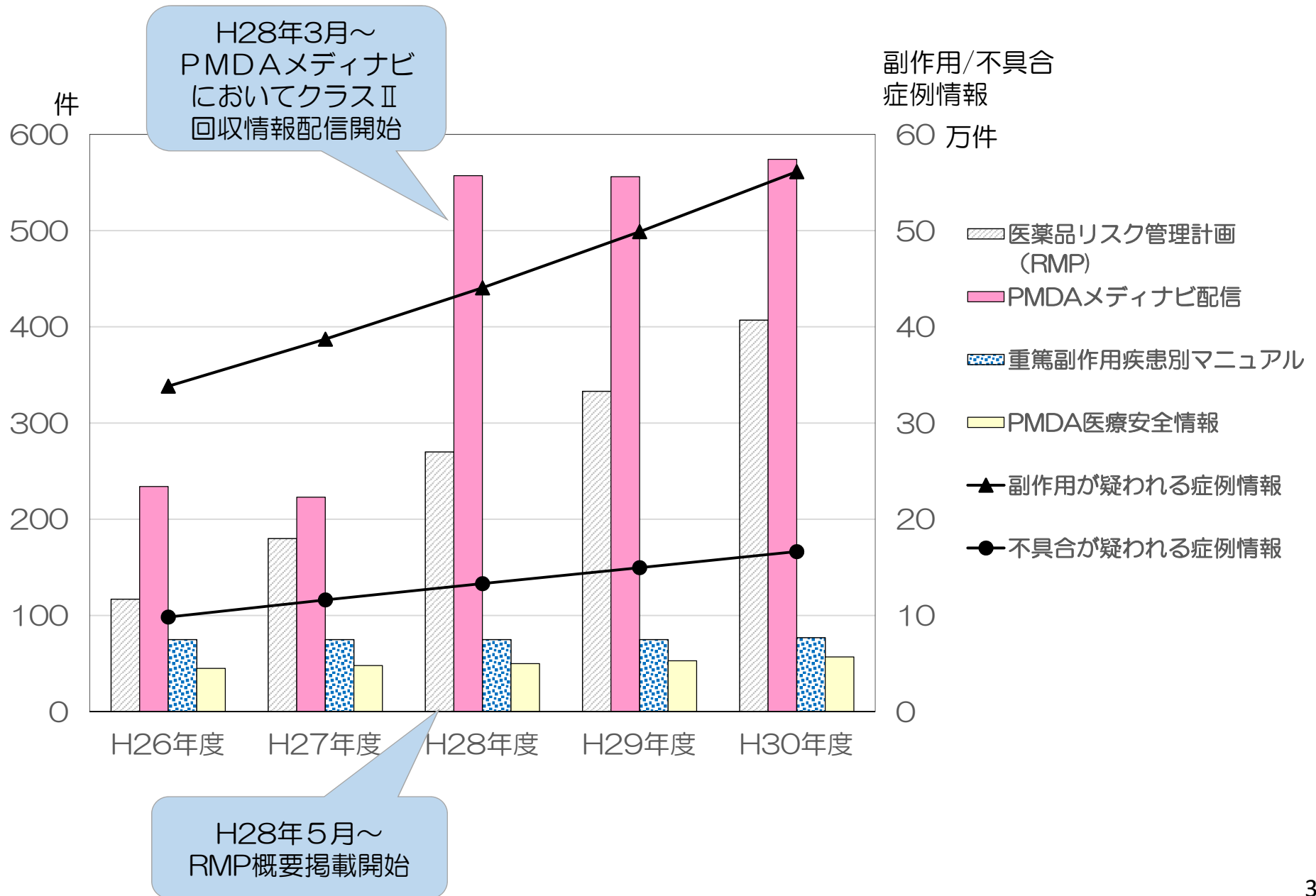


## 添付文書情報の掲載件数の推移



薬機法において、添付文書の届出・HP掲載が義務化されているもの：  
医療用医薬品、医療機器（クラス4のみ）、再生医療等製品、要指導医薬品

# 主な情報のホームページ掲載件数の推移



# PMDA医療安全情報の概要

## 目的

「PMDA医療安全情報」は、医薬品・医療機器に関連する医療事故やヒヤリ・ハット事例などから、以下のような内容をイラストや写真を用いてわかりやすく解説し、広く周知することを目的に作成したものです。

- 事例の発生原因やメカニズムなどの解説。
- 安全使用のためのポイントなどの紹介。
- 医療事故防止対策に役立つ製品の掲載。

## 対象

- 医師、看護師、臨床工学技士および薬剤師を初めとする医療従事者
- 医学生、看護学生、および、臨床工学技士などの医療従事者を  
目指す方々  
など

## 実績

2007年11月からスタートしており、2019年3月までに57報を作成・配布しています。平成30年度の実績は以下のとおり

- 「膀胱留置カテーテルの取扱い時の注意について」(No.54,2018年6月)
- 「誤接続防止コネクタの導入について(神経麻酔分野)」(No.55,2018年8月)
- 「弾性ストッキング取扱い時の注意について」(No.56,2019年2月)
- 「皮下用ポート及びカテーテルの取扱い時の注意について」(No.57,2019年2月)

## PMDA医療安全情報の一例

医薬品医療機器総合機構 PMDA 医療安全情報 No.57 2019年 2月  
http://www.pmda.go.jp/

**PMDA 医療安全情報**  
(独)医薬品医療機器総合機構

Pmda No.57 2019年 2月

皮下用ポート及びカテーテルの取扱い時の注意について

**POINT** 安全使用のために注意するポイント

1 皮下用ポート及びカテーテルの留置時の注意について

(事例1) 皮下用ポート及びカテーテル留置後、薬液の血管外漏出が発生したため、X線撮影をしたところ、カテーテルが断裂し、断裂片が心臓内へ迷入していることが確認された。

● カテーテル損傷の原因として、以下の要因が知られているため、留置時には注意すること。

皮下用ポートのカテーテル損傷によって、薬液が血管外に漏出したため、断裂片が心臓内に迷入する事例が報告されています。

1/3

# 医療機関・薬局内での医薬品等の安全性情報の 入手・伝達・活用状況等に関する調査

講じた安全対策措置を確実に実施し、患者のより一層の安全を図るため、医療機関等における安全性情報の入手・伝達・活用状況を把握し、医療機関等における安全性情報の活用策を検討することを目的として、平成22年度より有識者による検討会を設置し、調査を実施し、その結果等をPMDAホームページで公表している。平成29年度に実施した本調査の結果及び望まれる方向については9月20日にPMDAホームページに公表を行った。

**調査概要** 平成30年1月～2月に以下を対象に実施。

- 病院調査：全国の病院の10%に調査票を郵送。373施設から回答。（回収率44.2%）
- 薬局調査：全国の保険薬局の5%に調査票を郵送。1,647施設から回答。（回収率56.3%）

## 主な調査結果及び結果より考察された望まれる方向

( ) 内は病院は26年度、薬局は27年度の調査結果

### 1. 医薬品リスク管理計画（RMP）の活用について

- RMPの内容を理解している施設：病院48.2%（22.2%）、薬局17.4%（13.7%）
- RMPの内容を理解している施設のうち、RMPに基づく資材を患者や医療関係者への情報提供に利用している施設：病院14.3～16.5%、薬局5.3～13.3%  
⇒ RMPの位置づけを含め内容についての理解の向上及びリスク最小化活動として作成・配布される資材の積極的な活用が望まれる。

### 2. PMDAメディナビの登録について

- 病院のメディナビ登録率：82.0%（77.3%）、薬局のメディナビ登録率：67.5%（44.1%）
- 薬局におけるメディナビ受信後の情報共有：薬局内での共有85.1%、患者や他職種への提供84.7%  
⇒ 引き続き一層の登録・活用の推進が望まれる。

### 3. 製薬企業からの医薬品の適正使用に関するお知らせ\*について

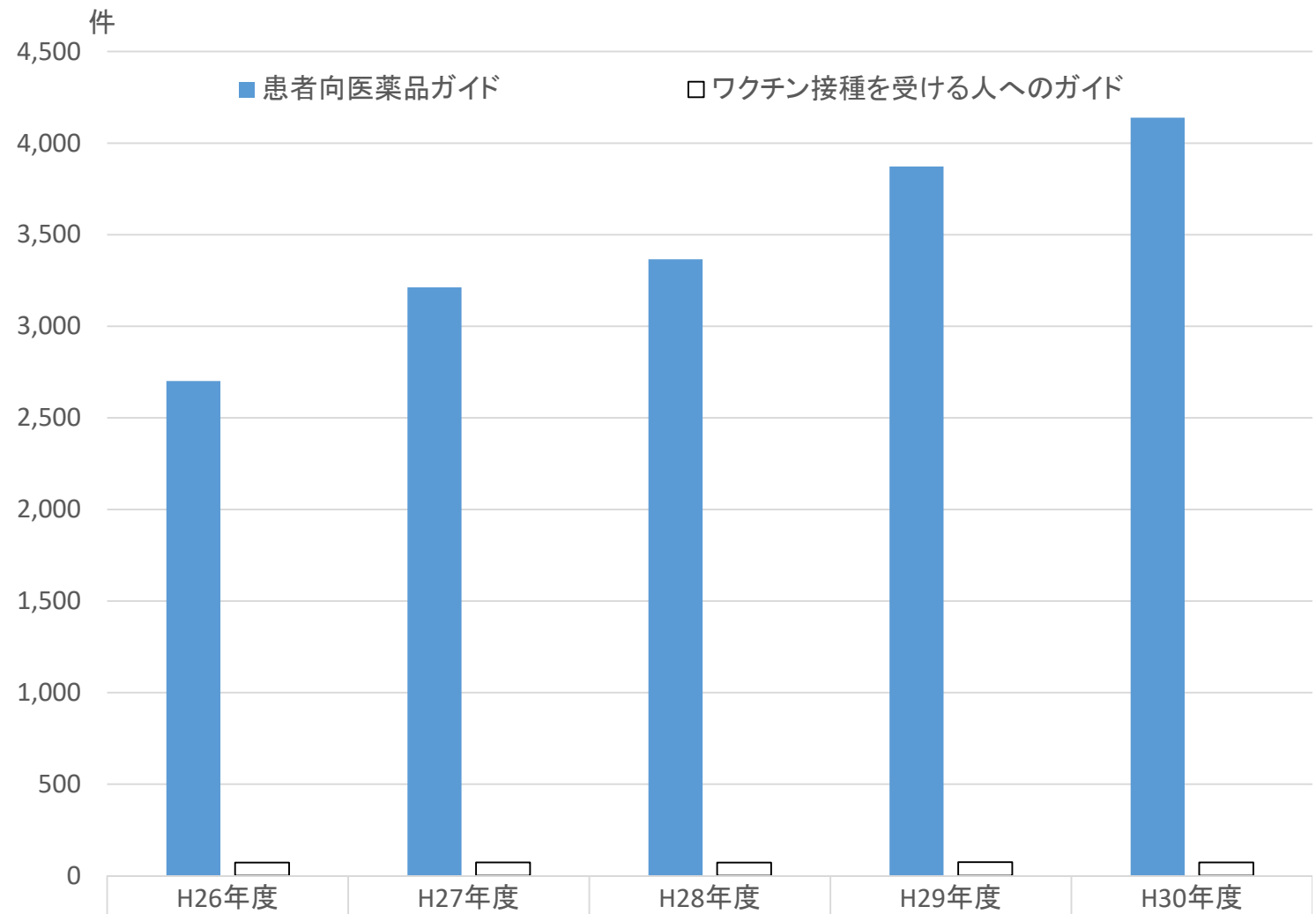
- 採用または取り扱いのない医薬品に関する適正使用のお知らせの認知度：病院51.7%、薬局44.1%  
⇒ 様々な患者さんが来院・来局することを鑑み、PMDAメディナビを活用し、取り扱い、採用の有無にかかわらず、  
確実かつ迅速に情報を入手することが望まれる。

※PMDAメディナビではPMDAや製薬企業からの医薬品の適正使用のお知らせについてメールタイトルに【重要】と付した上で、登録者全員に配信

（公社）日本薬剤師会、（一社）日本病院薬剤師会等とも協力しながら、講習会等を通じて、望まれる方向の普及、啓発を行い、厚生労働省、PMDAが講じた安全対策措置として提供される安全性情報が医療現場で適切に活用されるよう、努める。



# 患者向け医薬品ガイド・ワクチンガイドのホームページ掲載数推移



■ 患者向医薬品ガイド	2,701	3,213	3,366	3,873	4,139
□ ワクチン接種を受ける人へのガイド	72	73	72	74	73

# 国民向けシンポジウムの概要

開催日時：2018年10月21日(日) 14時～16時

開催場所：野村コンファレンスプラザ日本橋

プログラム概要；クイズと実際の事例についてアドバイザーが説明する参加型のシンポジウム

クイズQ1-Q3	<ul style="list-style-type: none"> <li>・薬と食べ物・飲み物の飲み合わせ</li> <li>・薬の飲み忘れ</li> </ul>
事例 1	副作用と副作用発現率 <ul style="list-style-type: none"> <li>・薬の作用（効果と副作用、バランス）</li> <li>・副作用の経過と重症度</li> <li>・早期発見の大切さ 等</li> </ul>
クイズQ4-Q7	<ul style="list-style-type: none"> <li>・子供の薬と大人の薬</li> <li>・症状がなくなったら薬を止めても良い？ 等</li> </ul>
事例 2	病気の治療と健康食品
事例 3	お薬の情報入手の話 <ul style="list-style-type: none"> <li>・あふれる医薬品情報の落とし穴</li> <li>・医薬品の情報入手のポイント 等</li> </ul>

アドバイザー：林 昌洋（日本病院薬剤師会）  
望月 眞弓（慶應義塾大学薬学部）  
田尻 泰典（日本薬剤師会）

当日参加人数：約100名

主催：(一社)くすりの適正使用協議会 共催：PMDA

**第1回**

## 知っておきたい「くすり」の話

すぐに役立つお得な情報

公開シンポジウム  
入場無料 どなたでも参加可能  
 定員250名(先着順)

飲み忘れだらどうするの？  
信頼できる情報ってどこにある？

2018年  
**10月21日(日) 14:00～16:00**(開場:13:30)  
 野村コンファレンスプラザ日本橋  
 (東京都中央区日本橋室町2-4-3 日本橋室町野村ビル5F)

**「くすり」について一緒に考えてみよう！**

① クイズで覚えよう！ 今日からできる「くすり」のあれこれ  
 ② 「くすり」で困ったこと・その解決方法

アドバイザー：林 昌洋 (一社)日本病院薬剤師会 副会長 / 虎の門病院 薬剤部長  
 望月 眞弓 慶應義塾大学薬学部 教授 / 慶應義塾大学病院 薬剤部長

主催：(一社)くすりの適正使用協議会  
 共催：(社)医薬品医療機器総合機構(PMDA)  
 後援：厚生労働省  
 (公)日本薬剤師会  
 (一社)日本病院薬剤師会  
 認定NPO法人公益財団 医療人権センター-COML  
 日本製薬団体連合会

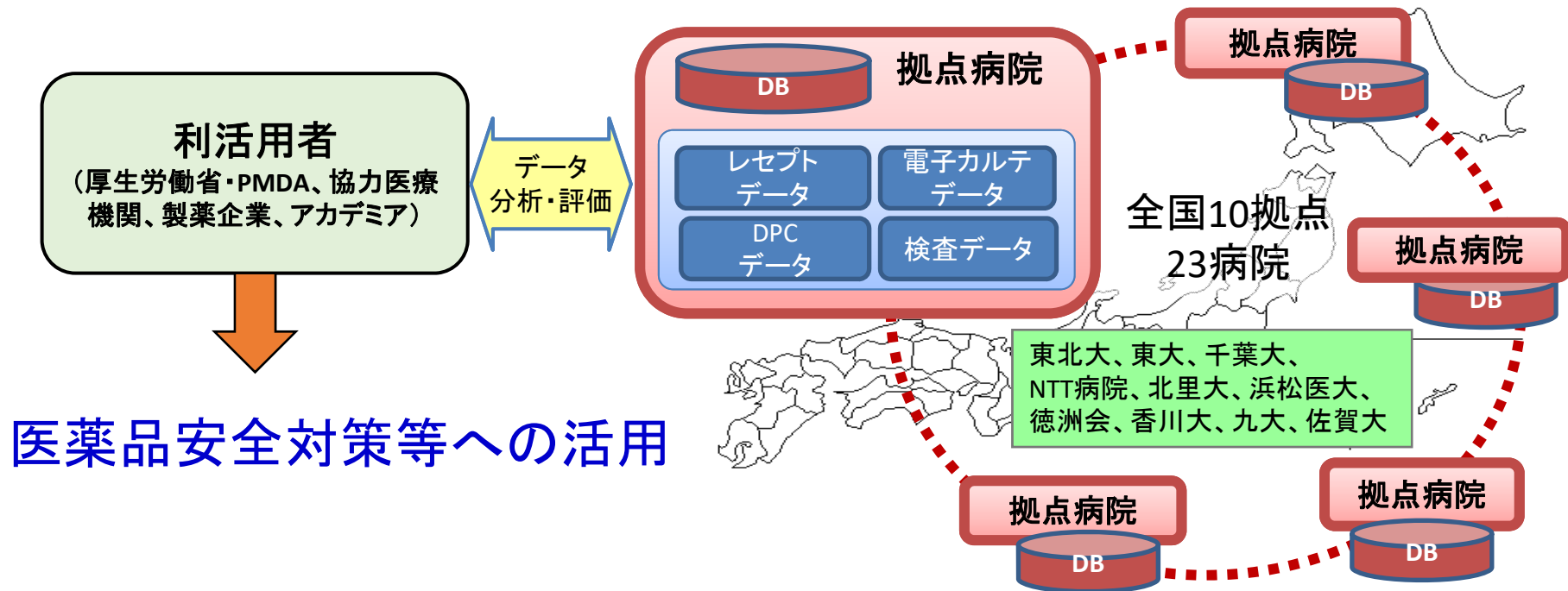
**会場アクセス**

- ・東京駅有明線・半蔵門線「三越前」駅(A9出口直結)徒歩1分
- ・JR総武本線「新日本橋」駅 徒歩3分(駅地下道よりお越しいただけます)
- ・東京駅有明線・京浜東北線「日本橋」駅(B12出口)徒歩7分
- ・JR各線「有明」駅(南口)徒歩7分
- ・JR各線「東横」駅(日本橋口)徒歩10分

お問い合わせ  
 一般社団法人くすりの適正使用協議会  
 〒103-0016 東京都中央区日本橋小網町12-7 日本橋小網ビル3階  
 電話：03-3663-8891 FAX：03-3663-8895 URL：http://www.rad-ar.or.jp/ MAIL：info@rad-ar.or.jp

# MID-NET<sup>®</sup> : 品質管理された医療情報データベース

専用ホームページ: <https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0001.html>



- 平成30年4月からPMDA及び協力医療機関の他、製薬企業やアカデミアによる利活用申出の受付を開始
  - ✓行政利活用33調査、製薬企業2社(ファイザー、第一三共)による製造販売後調査2品目、その他2調査(横浜市立大、MSD)が有識者会議での審議を経て利活用開始。
  - ※承認された利活用情報<https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0010.html>
- 継続的かつ網羅的な品質管理により、データの信頼性を確保し、平成30年12月時点で、約470万人分のデータが利活用可能
  - ✓GPSP(医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準)に対応した科学的な調査・試験が可能

# MID-NET®の特徴

- 多数の病院データを、ほぼリアルタイムで、1箇所から解析可能
  - 平成30年12月時点で、約470万人分超のデータが利活用可能
- 多数の種類 of データを利活用可能（電子カルテ情報、レセプト及びDPCのデータ）
  - 検体検査結果等をアウトカム定義に含めることで、より客観的な評価が可能
- データの信頼性が高いレベルで確保
  - 継続的かつ網羅的な品質管理によるデータ信頼性確保
  - データの特徴を把握した上で標準コード付与することでデータ統合の信頼性確保
  - 各種手順書等に基づく業務標準化による作業の信頼性確保
    - GPSP(医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準)に対応した科学的な調査・試験が可能



# 施行調査結果の公表

ORIGINAL REPORT

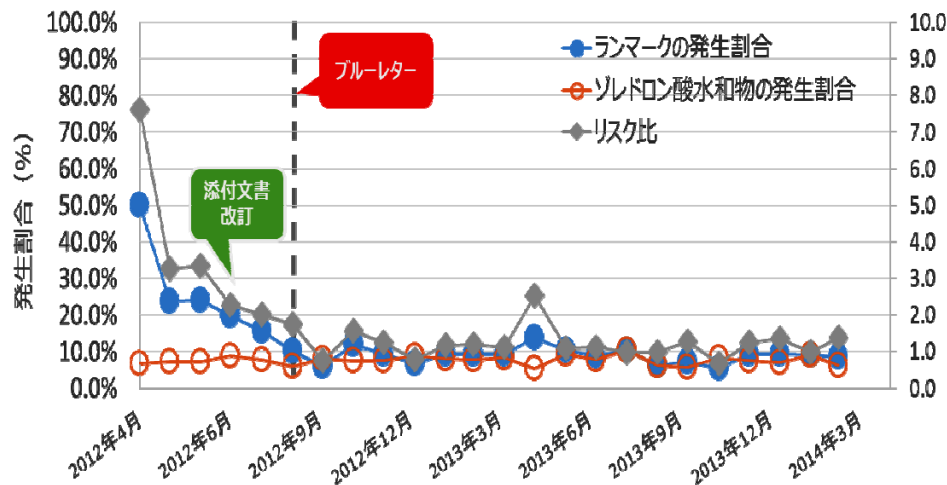
Pharmacoepidemiol Drug Saf. 2019;1-8.

## The utilization and challenges of Japan's MID-NET<sup>®</sup> medical information database network in postmarketing drug safety assessments: A summary of pilot pharmacoepidemiological studies

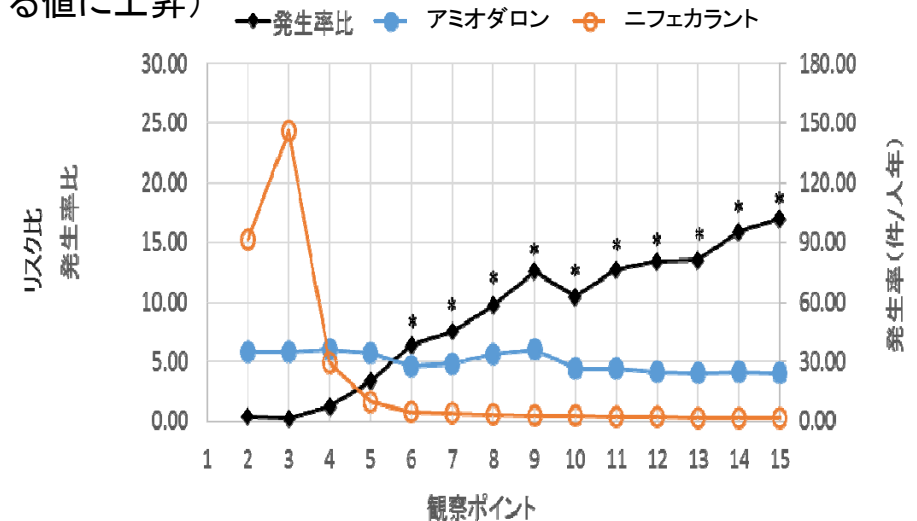
Kaori Yamada<sup>1</sup> | Maori Itoh<sup>1</sup> | Yoshiaki Fujimura<sup>2</sup> | Michio Kimura<sup>3</sup> | Koichiro Murata<sup>4</sup> | Naoki Nakashima<sup>5</sup> | Masaharu Nakayama<sup>6</sup> | Kazuhiko Ohe<sup>7</sup> | Takao Orii<sup>8</sup> | Eizaburo Sueoka<sup>9</sup> | Takahiro Suzuki<sup>10</sup> | Hideto Yokoi<sup>11</sup> | Chieko Ishiguro<sup>1</sup> | Yoshiaki Uyama<sup>1</sup> | on behalf of MID-NET<sup>®</sup> project group

DOI: 10.1002/pds.4777

### ランマークによる低カルシウム血症発現リスク (血清補正カルシウム濃度が8.5mg/dL未満)



### アミオダロン等による肝機能検査値異常発現リスク (AST, ALT, ALPのいずれかが施設基準値上限の5倍を超える値に上昇)



# 集中的広報期間について

制度広報(集中的広報期間:10月17日~23日の「薬と健康の週間」を中心に10月から12月まで)

<主なもの> ※下線部分は新規で展開したもの

## ○ テレビCM(15秒、30秒 ;10/17~30の2週間)

- すべての民放系列を活用し、全国39局で放映 (29年度:33局)  
(日本テレビ系列、TBS系列、フジテレビ系列、テレビ朝日系列、テレビ東京系列)
- さらに、全国37局において「30~60秒のパブリシティ」を展開(29年度:30局)
- 地上波テレビCMと連動してインターネットTVでもCMを放映(「ネットもテレ東」)
- 人口当たりの請求件数が少ない地域はCM投下量を増加し認知向上を図る
- 救済制度特設サイトにおけるCM動画の視聴

## ○ 新聞広告(10/17日朝刊、半5段モノクロ)

- 全国紙(読売、朝日、毎日、日経、産経)の5紙に掲載

## ○ WEB広告...特設サイトへの誘導

- Yahoo! ニュースをはじめとする大手ポータルサイト、新聞社・雑誌社など主要メディアにバナー広告を配信
- テレビCMと連動した「YouTube」における動画広告(30秒・6秒)
- 制度紹介ニュース動画を制作し、特設サイト、「NewsTVネットワーク」、「Twitter」で配信

## ○ その他

- 薬局において、薬袋とリーフレットを同梱して患者へ手渡し(11/1~20日間)
- 医療機関、薬局でのビジョンによる30秒CM放送(11/1~1ヶ月間) ※医療機関の対象数増加
- 郵便局窓口モニター、コンビニ等ATMディスプレイ、ファミリーレストラン「スシロー」における静止画・動画放映(10/17~2週間)
- 医療関係新聞、専門誌・雑誌への広告掲載
- 出前講座動画を作成し、医療機関等へ配布を開始

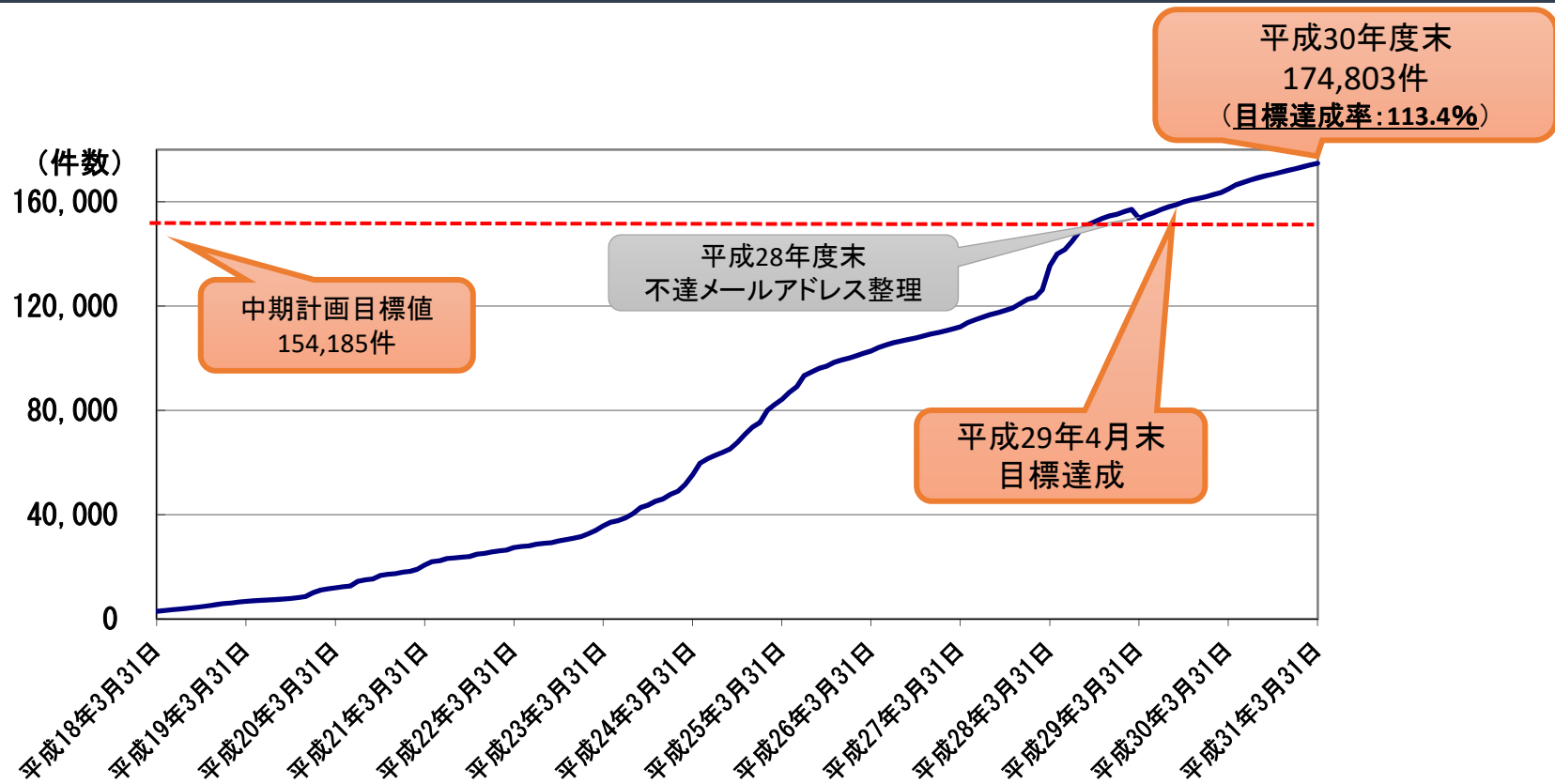


【救済制度特設サイト】

[http://www.pmda.go.jp/kenkouhigai\\_camp/index.html](http://www.pmda.go.jp/kenkouhigai_camp/index.html)

- ◇ 医療機関、関係団体、大学等が実施する研修会への講師派遣：73箇所
- ◇ 精神保健指定医研修会での制度説明：東京、大阪、福岡 計11回開催

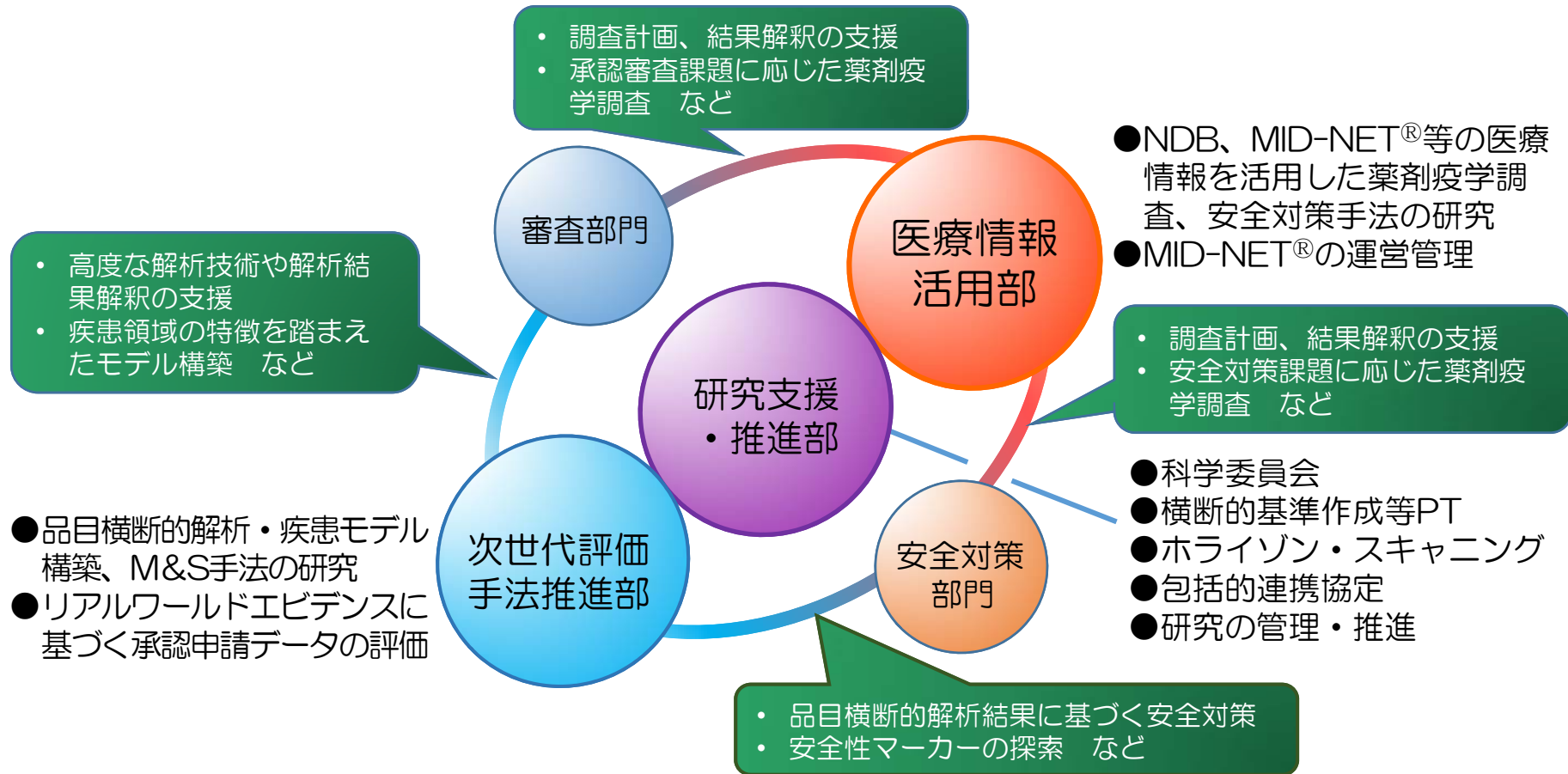
# PMDAメディナビ登録件数の推移



## PMDAメディナビの登録件数 所属施設別の内訳

登録者の所属施設	平成30年度	前年度からの増加件数
病院・診療所	約51,300件	約2,600件
薬局	約62,500件	約3,500件
歯科診療所等の医療関係施設	約9,800件	約400件
製造販売業	約23,300件	約1,400件

# レギュトリーサイエンスセンターの機能



- リアルワールドデータ、電子データを用いた承認審査と市販後調査・安全対策の連携強化
- アカデミア等外部機関との連携によるレギュトリーサイエンスの推進

**審査・安全対策の質の向上、革新的医薬品等の開発に資する  
ガイドライン等を積極的に発信する。**



# レギュラトリーサイエンスセンターの主な業務

## 1. PMDA業務に関連する先端科学技術への対応と情報発信

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品への活用が期待される先端科学技術の情報を積極的に収集し、ステークホルダーとの議論を踏まえて評価の考え方や規制のあり方等をまとめる。  
⇒ 科学委員会やホライゾン・スキャンニング等の実施

## 2. 申請電子データ・リアルワールドデータの活用推進

- 申請電子データの広範な活用
- 医療情報等のリアルワールドデータの広範な活用  
⇒ 申請電子データ及びリアルワールドデータから得られる情報を最大限に活用し、医薬品等のライフサイクルを通じた最適使用や革新的製品の開発への活用を目指す。

## 3. 人材育成

- 業務上の科学的課題への職員による対応とその成果の発信を支援する。
- クロスアポイントメント制度等を含めアカデミアとの連携を通じてRSの推進と人材交流・人材育成を図る。  
⇒ アカデミアとPMDA職員双方の知識獲得

レギュラトリーサイエンスセンターの取組みを通じて、  
製品開発や市販後安全対策等のさらなる効率化を促進

# PMDAレギュラトリーサイエンスセンター開設記念シンポジウム

## PMDA レギュラトリーサイエンスセンター 開設記念シンポジウム

本シンポジウムは、平成30年4月1日にPMDA内に設置したレギュラトリーサイエンスセンターの目的と取組み、今後の展望を紹介するとともに、第3期科学委員会の成果も併せて発信すべく、開催いたします。

2018年

8月1日(水) 13:00~17:00  
開場 12:00

ニッショーホール  
東京都港区虎ノ門2丁目9番16号  
日本消防会館

### 開催概要

- 定員 500名程度 (WEB登録先着順)
- 参加費 無料
- 参加申込 <https://form.qooker.jp/Q/auto/ja/rscsymposium/sanka/>
- 主催 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA)



参加申込サイトへのアクセスは上のQRコードもご利用下さい。

### プログラム

- 開会挨拶 PMDA理事長 近藤 達也
- 来賓挨拶 厚生労働省 大臣官房審議官 (医薬担当) 森 和彦
- 基調講演 イノベーションとレギュラトリーサイエンス  
～がんゲノム医療の立場から～  
国立がん研究センター 理事・がんゲノム情報管理センター長・研究所長 間野 博行
- 第3期科学委員会の総括について  
委員長 永田 恭介 (筑波大学長)
- 第3期科学委員会専門部会の報告
  - 希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言2017  
部会長 上田 龍三 (愛知医科大学 医学部 教授)
  - アカデミアと企業との連携による創薬を促進するための課題と提言2017  
部会長 井上 純一郎 (東京大学医科学研究所 分子発癌分野 教授)
  - AIを活用した医療診断システム・医療機器等に関する課題と提言2017  
部会長 光石 衛 (東京大学 大学執行役・副学長、教授)
- レギュラトリーサイエンスセンター (RSセンター) の概要について  
PMDA RSセンター長 新井 洋由
- RSセンターでの取組
  - RSセンターの体制と連携への取組 (包括的連携協定、科学委員会等)  
PMDA 研究支援・推進部長 長谷部 和久
  - 申請電子データを利用した審査の高度化と開発への貢献  
PMDA スペシャリスト (生物統計担当) 安藤 友紀
  - 電子診療情報等を活用した医薬品安全性評価の質の向上と今後の取組  
PMDA 医療情報活用部長 宇山 佳明
- RSセンターに対する期待  
日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 委員長 国忠 聡
- 閉会挨拶 PMDA理事 (技監) 林 憲一

お問い合わせ PMDA RSセンターシンポジウム事務局  
RSC-symposium@pmda.go.jp



## 当日参加者数:約510名

### <プログラム概要>

◎講演資料はPMDAのHPに掲載

<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/symposia/0009.html>

### 【基調講演】

イノベーションとレギュラトリーサイエンス  
～がんゲノム医療の立場から～

国立がん研究センター理事・がんゲノム情報管理センター長・研究所長  
間野 博行 氏

### 【第3期科学委員会について】

・第3期科学委員会の総括

科学委員会前委員長 永田 恭介 氏 (筑波大学長)

・第3期科学委員会専門部会報告

希少がん対策専門部会:上田 龍三 氏 (愛知医科大学 医学部 教授)

医薬品開発専門部会:井上 純一郎 氏 (東京大学医科学研究所 分子発癌分野 教授)

AI専門部会:光石 衛 氏 (東京大学 大学執行役・副学長、教授)

### 【レギュラトリーサイエンスセンター (RSセンター) について】

・RSセンターでの取組

RSセンター長ほかPMDA関係各部

・RSセンターに対する製薬業界からの期待

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会委員長 国忠 聡 氏

# 第4期科学委員会のテーマ

平成31年3月31日現在

## 1 薬剤耐性菌感染症治療薬の臨床評価（AMR専門部会）

部会長：岩田 敏（国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 感染症部長）

副部会長：門田 淳一（大分大学医学部附属病院 病院長）

発生が稀な薬剤耐性菌による感染症の治療薬の有効性及び安全性に関する開発段階から製造販売後までの情報収集とその評価方法について留意点等を取りまとめ、今後の承認審査や治験相談に活用する。

## 2 ゲノム編集技術を応用した医薬品等のリスク評価の考え方 （ゲノム編集専門部会）

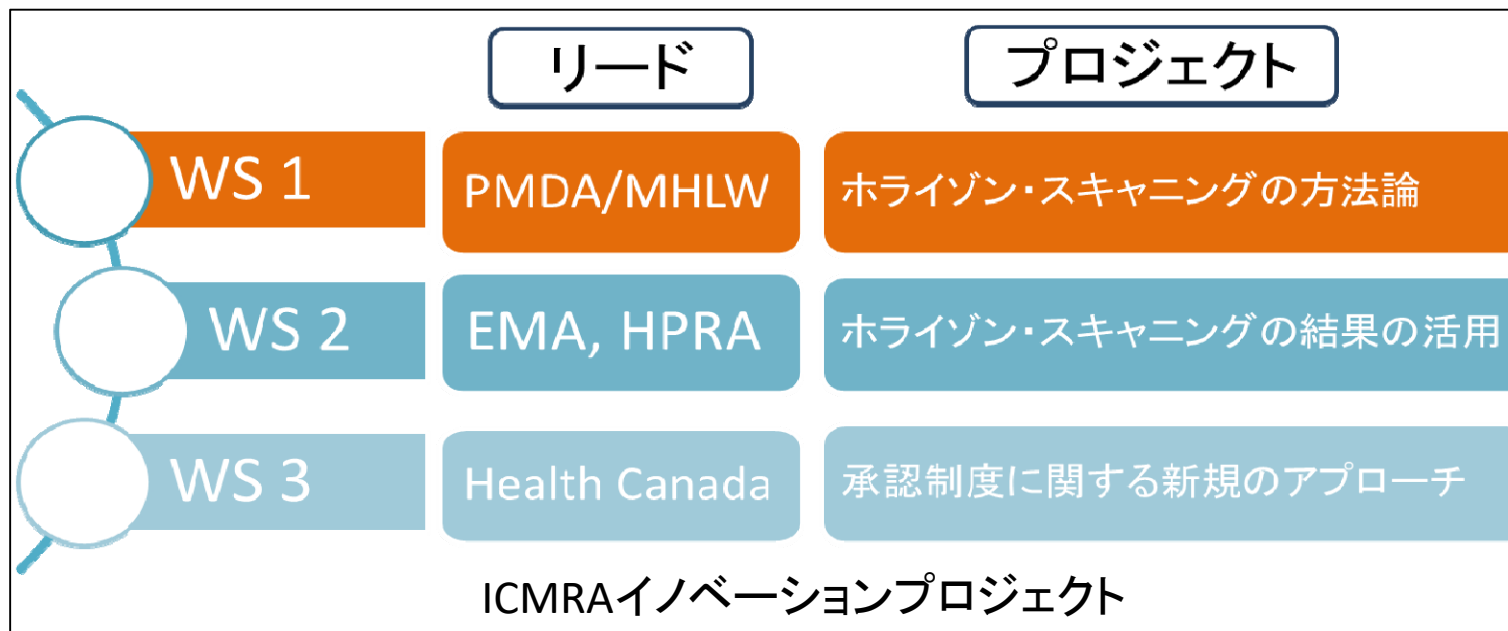
部会長：山口 照英（日本薬科大学 薬学部 客員教授）

副部会長：小澤 敬也（自治医科大学 名誉教授／客員教授）

ゲノム編集技術応用した医薬品等が抱えるリスクとして考えられる、目的としないゲノムDNA部位に変異が入る可能性（オフターゲット）、全ての細胞で目的の変異が導入されない事象（モザイク）など、現在考えられ得るリスクを俯瞰し、それらをどのように評価できるのか、その考え方を取りまとめ、今後の承認審査や治験相談に活用する。

# ホライゾン・スキャンニング手法の検討に向けた情報収集

- 「ホライゾン・スキャンニング」とは、レギュラトリーサイエンスに基づき、どのような革新的技術が登場しつつあるのか網羅的調査と、それが規制に及ぼす影響の評価を行い、革新的技術に対する適切な規制構築に役立てる取組である。
- 平成 29 年 10月に京都で開催された、薬事規制当局の責任者が参加するICMRA (International Coalition of Medicines Regulatory Authorities; 薬事規制当局国際連携組織) 会合で、「イノベーションプロジェクト」を開始することが決定し、革新的技術に対する早期の規制対応に関わる3つの活動(WS1~3)が行われた。
- 特に、WS1では、各規制当局のホライゾン・スキャンニング手法を解析し、ベストプラクティスを見出し、規制当局が直面している共通の課題の解決法を探る、ホライゾン・スキャンニングの方法論が検討された。



平成30年度は、日本における薬事規制分野でのホライゾン・スキャンニング手法の検討に向けて、ICMRAでの活動の中で海外規制当局におけるホライゾン・スキャンニング手法について情報を収集するとともに、日本国内における薬事規制分野以外でのホライゾン・スキャンニングの取組について情報の収集を行った。

# <臨床・イノベーション・ネットワーク（CIN）推進プロジェクトへの参画> リアルワールドデータ（RWD）活用に向けて

## 国際的な動向 ～規制判断へのRWD活用の方向性～

- 21st Century Cures Act（米国）
- ICH GCP Renovation
  - E8「臨床試験の一般指針」の近代化
  - E6「医薬品の臨床試験の実施の基準（GCP）」の包括的見直し

## 患者レジストリ・データの活用（目指す将来像）

- ランダム化比較試験が困難な場合の対照群データ等 → 承認申請評価資料
- 製造販売後調査 → 再審査申請の評価資料

### 検討体制

PMDA

CIN対応WG

1) 臨床試験デザイン・疫学手法の検討

2) 信頼性基準等の検討

3) データ収集項目等の検討

4) 利活用に関する相談制度を新設  
(2019年度から開始)

方針確認等

厚生労働省

協力・調整

AMED

連携・協力

### ○横串研究班（横断的事項を検討）

- 林班：データ信頼性基準、試験デザイン 等
  - 武田班：レジストリ有効活用、倫理面の課題 等
  - 国土班：国内レジストリの整理・検索システム構築 等
- \* 群馬大学 大学院保健学研究科 林邦彦 教授  
国立精神・神経医療研究センター 武田伸一 所長  
国立国際医療研究センター 国土典宏 理事長

### ○レジストリ構築研究班（4課題）

- 筋ジストロフィー（国立精神・神経医療研究センター）
- 筋萎縮性側索硬化症（ALS）（名古屋大学）
- がん希少フラクシオン（国立がん研究センター）
- 脳神経外科学会データベース（日本脳神経外科学会）

# リアルワールドデータ（RWD）活用に向けたPMDAの取組み

## 1. レジストリに関する新たな相談枠の設置（2019年度試行的に開始）

- レジストリ保有者及び開発企業などを主な相談対象者と想定する、複数の相談枠の設置を検討
  - レジストリ保有者に対しては、個別品目の開発に係らない、承認申請などへのレジストリの利活用を前提とした計画の考え方やレジストリの信頼性確保のための一般的な考え方を助言
  - 開発企業等に対しては、レジストリを用いた、個別の開発品目の承認申請などに向けた助言

## 2. RWDを活用した医薬品・医療機器開発に資するガイドライン作成

- 通知済み
  - GPSP省令改正
  - 製造販売後の医薬品安全性監視における医療情報データベースの利用に関する基本的な考え方について (H29.6.9)
  - 製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について (H30.2.21)
  - 医療機器の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について (H30.12.19)
- PMDAにおける今後の対面助言での経験や海外の調和も考慮しながら、レジストリデータを承認申請等に活用するための基本的な考え方、及び信頼性担保に関する留意点に関するガイドラインを作成
  - 2019年度に素案の作成を目指し、専門家等との協議を経て2020年度以降を目標に公表

# 包括的連携協定に関する活動

アカデミア等と連携し、レギュラトリーサイエンスの推進と有効性・安全性・品質確保及びその信頼性保証において医療水準の向上に貢献するために、専門機関と広範な分野で協力・連携を進める体制を構築する。

## 包括的連携協定の例

### 人材交流（必須事項）

（PMDAへの恒常的な職員の出向、PMDAからの派遣等）

人材育成

共同研究

情報発信・普及啓発

客員教員派遣・受け入れ

学位審査参画

情報交換

PMDA職員の大学院入学・学位取得

大学院生の受け入れ・指導

教育課程編成参画

### ○ 協定締結数： 9施設

国立がん研究センター（平成28年2月）、広島大学（平成28年3月）、慶應義塾（平成28年3月）、筑波大学（平成28年3月）、国立精神・神経医療研究センター（平成28年7月）、東北大学（平成28年10月）、国立国際医療研究センター（平成29年3月）、国立循環器病研究センター（平成29年7月）、国立成育医療研究センター（平成30年1月）

### ○ 連携事項の概要：

	平成28年度	平成29年度	平成30年度	備考
共同事業	1件	5件	10件	AMED研究事業における研究協力等
人材育成	10件	27件	54件	講師派遣、意見交換会、委員会見学等
人材交流	協定締結先から16名 PMDAから2名	協定締結先から17名 PMDAから3名	協定締結先から22名 PMDAから3名	

# アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター（PMDA-ATC）

## 背景

- 欧米で承認を受けた新薬等は、アジア諸国において簡略審査制度等の対象。しかし、日本の新薬等は欧米と同等の位置づけを得られていない。

## 対応

- アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター（PMDA-ATC）をPMDAに設置し、アジア主要国に赴いた研修を含め、アジア規制当局の要望のある分野や審査・査察等の能力に応じた効果的なトレーニング機会を提供。
- 日本も、APECの国際共同治験及びファーマコビジランスの中核トレーニング施設を整備

➔ 日本の規制等について、アジア規制当局担当者に積極的に発信して理解を促進。また、アジア全体の医薬品・医療機器等に係る規制のレベルアップにも貢献





# 平成30年度アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター主な研修

	セミナーの研修内容	開催時期	開催場所	参加者数
1	小児医薬品の審査*	2018年 6月11～14日	東京(PMDA)	12カ国／地域から 24名が参加
2	医薬品の審査、安全対策等	2018年 6月18～22日	東京(PMDA)・富 山市	16カ国／地域から 30名が参加
3	医薬品の適切な申請及び審査手続き(GRM)	2018年 9月26～28日	台北(台湾)	11カ国／地域から 29名が参加
4	医薬品の審査、安全対策等	2018年 10月15～16日	ネピドー (ミャンマー)	ミャンマーから32名 が参加
5	品質管理(漢方)	2018年 10月22～24日	富山市	14カ国／地域から 15名が参加
6	医療機器の審査、安全対策等	2018年 11月12～16日	東京(PMDA)	17カ国／地域から 25名が参加
7	GMP(Good Manufacturing Practice)***	2018年 11月26～30日	宇都宮市 (栃木県)	14カ国／地域から 14名が参加
8	医薬品の国際共同治験**	2019年 1月21～24日	東京(PMDA)	13カ国／地域から 21名が参加
9	医薬品の審査、安全対策等	2019年 1月28～31日	ジャカルタ (インドネシア)	インドネシアから 48名が参加
10	医薬品安全性監視(ファーマコビジランス)**	2019年 2月4～7日	東京(PMDA)	15カ国／地域から 29名が参加

\*U.S.FDAとのジョイントセミナー, \*\*APEC-LSIF-RHSC CoE Workshop, \*\*\*With the support of PIC/S

# ホライズンスキヤニングに関するICMRAの報告書（概要）

## 【ICMRAとは】

- ✓ International Coalition of Medicines Regulatory Authorities (ICMRA; 国際薬事規制当局連合組織)は日、米、欧等の主要国・地域の29当局の長が参加する会議体。2013年に設立。
- ✓ 国際活動の重複排除や、重要な国際活動の優先等を議論する場。
- ✓ 革新的技術の規制に関しては2017年10月の京都ICMRA会合にて3つのICMRAのプロジェクトを開始し、日本はホライズンスキヤニング(HS)の手法を検討するプロジェクトの議長を務めた。

## 【ホライズンスキヤニングとは】

ホライズン・スキヤニングは、5年～10年後に大きなインパクトをもたらす可能性のある変化の兆候をいち早く捉えて、それに対応することを目的とした将来展望活動の一つ。具体的には、文献や記事、専門家など様々な情報ソースから医薬品、医療機器等に関連する新しい技術を見つけ出し、規制へ及ぼす影響や優先順位付け等の評価を行う。

## 【報告書概要】

### □ プロジェクト1:HS手法の最適化検討（議長:日本）

各国のHS手法について比較検討。HSの一般的なプロセスは右図参照。

### □ プロジェクト2:HSの結果の活用（議長:EUとアイルランド）

代表的なHS活動として、ゲノム編集、3Dプリンティング及び人工知能を取り上げ、各国の規制上の対応等の経験を共有。早期の規制対応及び革新的技術の評価するための規制当局内専門家の育成の必要性について提言。

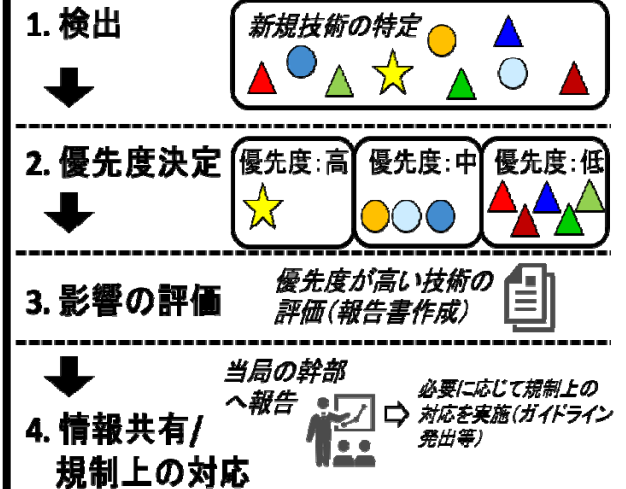
### □ プロジェクト3:承認申請への新たなアプローチ（議長:カナダ）

革新的製品を早期に患者へ届けるための各国の法規制の枠組みについて調査。優先審査等(先駆け審査制度等)における評価に必要なエビデンス、ステークホルダーとの連携、国際調和等を課題としてあげた。

## 【今後について】

各国はHSに関する国際協力の重要性を認識し、今後ICMRA内で更なる協力強化を行う予定。

## ホライズンスキヤニングの手法



# 最近の主な国際活動

## 多国間

会議体	内容
ICMRA	ICMRA会合に出席し、各種議論をリード（平成30年4・9・11月）
ICH	ICH会合に出席し、各種議論をリード（平成30年6・11月）
IMDRF	IMDRF管理委員会(MC)会議に出席し、各種議論をリード（平成30年9月、平成31年3月）

## 二国間等

	内容
タイ王国	タイ王国保健省食品医薬品庁と医薬品医療機器等の規制に関する協力のための覚書を締結（平成30年4月）
デンマーク	デンマーク医薬品庁と薬事規制に関する守秘取り決めを締結（平成30年5月）
中華人民共和国	第1回 日中薬局方フォーラムを開催（平成30年6月）
大韓民国	第3回 日韓医療製品規制に関するシンポジウムを開催（平成30年7月）
インド	第3回 日インド医療製品規制に関するシンポジウムを開催（平成30年8月）
台湾	第6回 日台医薬交流会議を開催（平成30年10月）
ブラジル	第4回 日ブラジル医療分野規制に関するセミナー（平成30年12月）
ASEAN諸国	AMDC-PMDA 規格基準Workshopの開催（平成29年度より。実施対象国：ベトナム、インドネシア、マレーシア、フィリピン、タイ、ブルネイ、ミャンマー）

1) AMDC: ASEAN Medical Device Committee (ASEAN医療機器委員会)

2) ICMRA: International Coalition of Medicines Regulatory Authorities (薬事規制当局国際連携組織)

3) ICH: International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (医薬品規制調和国際会議)

4) IMDRF: International Medical Device Regulators Forum (国際医療機器規制当局フォーラム)

# 日本が参照国制度等の対象になっている主要国・地域

## 1. 医薬品

(平成31年3月末現在)

国名	制度	参考
欧州委員会	• GMP・GLP調査結果受入れ	• 日欧間の相互承認協定(MRA)によるもの
スイス	• 医薬品審査の迅速化	
タイ	• 医薬品審査の迅速化	
台湾	• 非臨床試験の審査結果の受入 • 医薬品審査の迅速化	• 日米欧の2以上で承認かつ人種差がない場合
インドネシア	• 医薬品審査の迅速化	• 日米欧を含む3か国以上での承認の場合
マレーシア	• 適応追加審査の迅速化	• 日米欧等2以上での承認の場合 • 現在、参照国制度を見直し検討中
ウクライナ	• 医薬品審査の迅速化	
アラブ首長国連邦	• 医薬品審査の迅速化	

(その他) 厚生労働省・PMDAはWHOが定義するSRA (Stringent Regulatory Authority) (信頼できる規制当局)の1つとして公表されている。

# 日本が参照国制度等の対象になっている主要国・地域

## 2. 医療機器及び体外診断用医薬品 (IVD)

(平成31年3月末現在)

国名	制度	参考
台湾	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVDの品質管理システムに関する資料の軽減</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>台湾に医療機器を輸出する際に企業から提出が必要な品質管理システムに関する資料が対象</li> </ul>
シンガポール	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	
マレーシア	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	
メキシコ	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器審査の迅速化</li> </ul>	
インド	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本の医療機器及びIVDのQMS調査結果受入れ</li> <li>インドでの臨床試験の実施免除</li> </ul>	
オーストラリア	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器及びIVD審査の迅速化</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>施行待ち</li> </ul>
サウジアラビア	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本での承認／認証取得がサウジアラビアでの医療機器及びIVDの承認要件</li> </ul>	

(その他) 日本の医療機器の承認／認証制度と同様の仕組みがWHOの「Global model framework」(参考にすべき規制体系)として公表されている。

# PMDA行動基準

わたしたちは、PMDAの理念を実現するため、以下の行動基準に則り、社会的倫理観とレギュラトリーサイエンスの価値観をもって行動します。

## 1. コンプライアンス

わたしたちは、法令及び組織の諸規程の遵守はもとより、社会規範に則り、高い倫理観をもって行動します。

## 2. 厳重な情報管理

わたしたちは、職務上知り得た企業秘密、個人情報等の機密情報を厳重に管理します。

## 3. 職務執行の公正性の確保

わたしたちは、業務にかかわるすべての関係者に対し、高い透明性のもとで、公平、誠実、かつ、礼儀正しく、謙虚に行動し、「Honest PMDA」を実践します。

## 4. 働きやすい職場環境づくり

わたしたちは、働きやすい職場環境を目指し、挨拶の励行をはじめとし、良好なコミュニケーションを図ります。

## 5. 健康管理

わたしたちは、自身の健康の維持管理に努め、周囲の人の健康にも気を配ります。

## 6. ハラスメントの防止

わたしたちは、一人ひとりの尊厳と人格を尊重し、差別やハラスメントを行いません。

## 7. チームワーク

わたしたちは、適時適切に報告・連絡・相談を行い、相手の立場を理解して、真摯に周囲の意見に耳を傾け、協力して業務を行います。

## 8. 業務改善

わたしたちは、常に前向きな精神により、業務改善を行い、効率をあげ、より高い目標に向かって挑戦します。

## 9. PMDA資産の適切な管理・使用

わたしたちは、PMDAが所有する物品等を常に良好な状態で管理し、公私混同することなく、効率的に使用します。

# PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト（概要）

- PMDAは、設立から14年目に入り、この間の体制強化（300人→1,300人（※ 嘱託職員、事務補助員を含む））や規制のイノベーションの取組により、パフォーマンス面では世界をリードする規制機関へと進化。
- 今後、さらに世界をリードしていくためには、これまでの組織規模や機能の拡大等を踏まえ、将来に亘って使命を果たしていくことのできる組織基盤（ガバナンス体制）を固めていくことが必要。
- これまでも個別にガバナンス向上の取組を実施してきたが、取組の全体像を「見える化」することにより透明性を確保しつつ、職員のモチベーションと生産性の向上を通じて、PMDAを取り巻く全ての人々の思いに真摯に向き合い、より一層、信頼される組織になるための取組を進めていく。



2018年度末を目標に、適切な進捗管理の下、総合的にガバナンス向上の取組を進めていく「**PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト**」をスタート。

## 具体的取組内容

### 1. 1,300人の組織にふさわしい意思決定、統制体制の構築

- (1) **意思決定、業務執行体制の強化**（経営企画機能の強化、新たな課題に対応するための執行体制の見直し）
- (2) **規律ある職場の実現に向けたルールの見直し**（労務管理関係諸規程の見直し、働き方改革を踏まえた対応）
- (3) **リスクマネジメントの強化**（コンプライアンスの徹底（研修の強化）、リスク事案検証・再発防止策策定プロセスの改善、IT統制・効率的なセキュリティ対策の実施、研究に関する利益相反防止の徹底、法務・コンプライアンスに関する組織体制の強化、文書決裁、管理、保存及び廃棄のあり方を見直し）

### 2. 科学的な視点での確な判断を行う優秀な人材の確保・育成の推進と業務品質の一層の向上

- (1) **CDP (Career Development Program)の着実な運用による職員の計画的な育成**  
（キャリアシートによるキャリアデザイン推奨、新たな人事ローテーションの運用、CDPを踏まえた研修体系の整備、学位取得の支援）
- (2) **人事評価制度及び給与制度の見直し**（職員を的確に評価できる人事評価制度、職務内容を踏まえた給与制度の構築）
- (3) **働きやすい職場づくり**（業務改革による働き方のイノベーションの推進（働き方改革）、フレックスタイムの導入、テレワークの検討（対象拡大）、職員の健康管理対策の充実、組織内コミュニケーションの活性化、オフィス改革の取り組みに向けた検討）
- (4) **意見・苦情対応の強化を通じた業務品質の一層の向上**（意見・苦情に真摯に向き合うための仕組みづくり）

### 3. 財務ガバナンスの強化

- (1) **手数料・拠出金が収入の太宗を占める組織にふさわしい財務ガバナンスの確立**（申請動向を踏まえた迅速な意思決定体制の整備・運用、適切な財務指標の設定）
- (2) **長期に安定した財政運営を可能にする予算編成**（的確なシーリングの設定等による予算編成）
- (3) **財務状況の定期的な開示**（外部有識者を構成員とする運営評議会等への定期的な財務状況の報告（審査等勘定））

上記取組を通じ、将来にわたって、より有効で、より安全な医薬品・医療機器等をより早く医療現場に届ける組織基盤を構築

# 不適正な事案

※日付は公表日

## 安全性定期報告書の紛失(平成31年2月1日)

概要: 企業から提出された新医薬品の安全性定期報告1冊を紛失

- 再発防止策:
- ①担当役員から全役職員に対し文書の適切な管理を徹底
  - ②職員専用のIDカードがなければ入れない執務室内の施錠管理されたロッカーで保管
  - ③「PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクト」で取り組んでいる「文書決裁、管理、保存及び廃棄のあり方の見直し」の取組内容の見直し及び対応強化
  - ④文書管理の徹底を図るため、「文書管理の徹底等について(平成30年5月8日、平成30年8月7日改正)」を策定
  - ⑤決裁、保存及び廃棄のあり方を含め、抜本的な見直しのための検討を行い、「文書管理の徹底等に係る手引(平成31年3月)」を策定し、役職員に周知

## 不適正な兼業を行った職員の懲戒処分(平成31年3月1日)

概要: 国際部門に所属する係長級の職員が就業規則違反の兼業をしていた。

- 再発防止策:
- ①理事長から全役職員に対し、綱紀の粛正、特に兼業制限・利害関係企業等との関係を厳しく律すべきことの徹底を周知
  - ②管理職を対象に臨時の研修を実施(勤務状況に問題のある職員への対処法、経営幹部への早期報告の組織的対応の重要性の徹底)
  - ③PMDA組織基盤プロシーディングプロジェクトの4チーム<sup>(注)</sup>が連携し、就業上のルールやシステム面での対応に関し、同様の事案の発生防止の観点から対応の検討を開始
  - ④PMDA職員が医薬品開発等のコンサルタント業務に就けないこと及び問題行動があった場合の通報窓口の設置をPMDAホームページ及び関係団体宛に文書により周知

(注)「労務管理関係諸規程の見直し」チーム、「コンプライアンス徹底」チーム、「リスク事案検証・再発防止策策定プロセスの改善」チーム及び「IT統制・効率的なセキュリティ対策の実施」チーム