

医薬薬審発 1222 第 6 号
令和 5 年 12 月 22 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」の一部改正について

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号。以下「法」という。）第 77 条の 2 第 2 項に基づく先駆的医薬品の指定については、「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和 2 年 8 月 31 日薬生薬審発 0831 第 6 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知。以下「課長通知」という。）等に従って取り扱ってきたところです。

今般、先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて、別添の新旧対照表のとおり改めることとしましたので、御了知の上、貴管内関係事業者に対し周知方御協力お願いいたします。

なお、改正後の課長通知を参考として添付します。また、本通知の写しについて、別記の団体等に宛てて連絡するので、念のため申し添えます。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」の改正箇所

(下線部は改訂部分)

新	旧
1. 指定の要件 指定を受ける医薬品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。 なお、4つのすべての要件を満たす場合であっても、過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医薬品として指定された医薬品に対する当該医薬品と同一の作用機序による効能若しくは効果の追加、又は当該医薬品と同一の作用機序を有する医薬品に対する当該作用機序による効能若しくは効果の指定は、原則として行わない。 (1) 指定要件1：治療薬の画期性 原則として、既承認薬と異なる新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への適応は初めてであること、又は革新的な薬物送達システムを用いていること。<u>なお、既承認薬としては、外国においてのみ承認を受けている医薬品を含む。</u>	1. 指定の要件 指定を受ける医薬品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。 なお、4つのすべての要件を満たす場合であっても、過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医薬品として指定された医薬品に対する当該医薬品と同一の作用機序による効能若しくは効果の追加、又は当該医薬品と同一の作用機序を有する医薬品に対する当該作用機序による効能若しくは効果の指定は、原則として行わない。 (1) 指定要件1：治療薬の画期性 原則として、既承認薬と異なる新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への適応は初めてであること、又は革新的な薬物送達システムを用いていること。
(4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 日本における早期開発を重視し、世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）に先駆けて又は同時に日本で承認申請される（最初の国の申請日を起算日とし、同日から<u>3か月以内</u>の申請は同時申請とみなす。）予定のものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）で実施されている先駆け総合評価相談（以下「先駆け相談」という。）を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。 ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制（他社との連携体制を含む。）を有していること。	(4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 日本における早期開発を重視し、世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）に先駆けて又は同時に日本で承認申請される（最初の国の申請日を起算日とし、同日から<u>30日以内</u>の申請は同時申請とみなす。<u>ただし、申請日と申請受理日が存在する国においては、申請受理日を起算日とする。</u>）予定のものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）で実施されている先駆け総合評価相談（以下「先駆け相談」という。）を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。 ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制（他社との連携体制を含む。）を有していること。

4. 指定の手続 (1) 対象品目への指定申請 対象品目への指定を希望する場合は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行規則（昭和 36 年厚生省令第 1 号。以下「規則」という。）に規定する様式第 107 の 2 に、(2) の添付資料を付し、医薬品審査管理課に指定申請をすること。なお、資料は、<u>原則として電子ファイル</u>により提出すること。	4. 指定の手続 (1) 対象品目への指定申請 対象品目への指定を希望する場合は、<u>医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和 2 年厚生労働省令第 155 号）による改正後の医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する施行規則（昭和 36 年厚生省令第 1 号。以下「規則」という。）に規定する様式第 107 の 2 に、(2) の添付資料を付し、医薬品審査管理課に指定申請をすること。なお、資料は、紙媒体（正本 1 部、副本 2 部）及び電子媒体で郵送又は持参</u>により提出すること。 <u>郵送の場合</u> 〒100-8916 東京都千代田区霞が関 1－2－2 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課 <u>指定業務担当者宛て</u>
--	---

薬生薬審発 0831 第 6 号
令和 2 年 8 月 31 日
[一部改正]令和 5 年 12 月 22 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長
(公 印 省 略)

先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて

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、その開発を促進するため、「先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 4 月 1 日付け薬食審査発 0401 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）のとおり、平成 27 年度より、先駆け審査指定制度を試行的に実施してきたところです。

この度、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律の一部を改正する法律（令和元年法律第 63 号。以下「改正法」という。）により、先駆け審査指定制度が法制化されたことを踏まえ、改正法による改正後の医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号。以下「法」という。）第 77 条の 2 第 2 項に規定する先駆的医薬品の指定について下記のとおり取り扱うこととしましたので、御了知の上、貴管内関係団体、関係機関等に周知いただきますよう御配慮願います。

なお、「先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 4 月 1 日付け薬食審査発 0401 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第二回）について」（平成 28 年 10 月 3 日付け薬生薬審発 1003 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第三回）について」

（平成 29 年 10 月 5 日付け薬生薬審発 1005 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について」（平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審発 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）及び「医薬品の先駆け審査指定制

度の試行的実施（第五回）について」（令和元年 9 月 6 日付け薬生薬審発 0906 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）で指定された医薬品については、本通知に関わらず、なお従前の通りといたします。

記

1. 指定の要件

指定を受ける医薬品は、以下の 4 つのすべての要件を満たすこと。

なお、4 つのすべての要件を満たす場合であっても、過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医薬品として指定された医薬品に対する当該医薬品と同一の作用機序による効能若しくは効果の追加、又は当該医薬品と同一の作用機序を有する医薬品に対する当該作用機序による効能若しくは効果の指定は、原則として行わない。

（1）指定要件 1：治療薬の画期性

原則として、既承認薬と異なる新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への適応は初めてであること、又は革新的な薬物送達システムを用いていること。なお、既承認薬としては、外国においてのみ承認を受けている医薬品を含む。

（2）指定要件 2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

（3）指定要件 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、又は既存の治療薬／治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、若しくは著しい安全性の向上が見込まれること。ただし、有効性の大幅な改善が見込まれるものについては、少なくとも国内外を問わず探索的臨床試験等において、ヒトに対する有効性が示唆されていること。

（4）指定要件 4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）に先駆けて又は同時に日本で承認申請される（最初の国の申請日を起算日とし、同日から 3 か月以内の申請は同時申請とみなす。）予定のものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」

という。)で実施されている先駆け総合評価相談(以下「先駆け相談」という。)を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの
- ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの

また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制(他社との連携体制を含む。)を有していること。

2. 指定の方法

先駆的医薬品の指定については、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて行う。当面の間は、年に2回程度(概ね4月及び10月)の指定を行うこととし、今後審査体制の状況に応じ変更するものとする。ただし、保健衛生上必要な場合には、臨時の指定も行うことがある。なお、指定した医薬品については、指定年月日、医薬品の名称、対象疾患並びに申請者の氏名及び住所を厚生省ホームページに掲載する。

3. 指定の相談

先駆的医薬品の指定の申請に当たっては、事前に、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課(以下「医薬品審査管理課」という。)の指定業務担当者に相談すること。

4. 指定の手続

(1) 対象品目への指定申請

対象品目への指定を希望する場合は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行規則(昭和36年厚生省令第1号。以下「規則」という。)に規定する様式第107の2に、(2)の添付資料を付し、医薬品審査管理課に指定申請をすること。なお、資料は、原則として電子ファイルにより提出すること。

(2) 申請書の添付資料

規則第251条の2第2項の規定により申請書に添付すべき資料が定められているが、その具体的な内容は次のとおりであること。なお、このほか、必要に応じて資料の提出を求めることがあること。

ア 作用機序又は原理に関する資料

イ 医療上の必要性に関する資料

(ア) 病因、症状等対象疾病に関する資料

(イ) 類似の医薬品の有無、治療方法の有無など医療の現状に関する資料

ウ 毒性、薬理作用等に関する試験成績の概要

エ 臨床試験の試験成績の概要

オ 本邦及び外国における開発計画の概要

カ 指定申請する医薬品の概要

部会説明用資料及び公表用資料として、別紙様式に従って作成した概要

5. 指定された医薬品の優先的な取扱い及び留意事項

(1) 優先相談

PMDA で実施されている対面助言等で、他の医薬品に優先した取扱いを受けることができるので、実施時期等について PMDA に相談すること。

(2) 事前評価の充実

PMDA で実施されている先駆け相談を受けることができる。ただし、申請から承認までの期間を6ヶ月以内に納めるためには、申請前からこれらの枠組みを積極的に活用する必要があることから、(4)のコンシェルジュに相談し、指定を受けた後から承認申請までに、原則、すべての相談区分で先駆け相談を利用すること。

- 特に、品質については、承認申請後速やかに GMP 調査が実施可能となるように、積極的に先駆け相談や医薬品品質相談等の枠組みを活用すること。また、実生産バリデーションデータの提出可能時期及び GMP 調査の対応可能日の情報を承認申請時に準備すること。
- また、信頼性調査に関しても、積極的に、先駆け相談等の枠組みを活用するとともに、速やかに日程調整・実地調査が可能となるよう、早期の段階から信頼性調査に必要な情報等を準備すること。

なお、申請から承認までの期間を6ヶ月以内とすることを目指すが、上記の先駆け相談による事前評価が十分でない場合、申請から承認までの期間を医薬品の評価の状況を踏まえて個別に設定することがある。

(3) 優先審査

法第14条第8項の規定により優先審査の取扱いを行うこととする。

(4) コンシェルジュ

厚生労働省及び PMDA の連絡調整を行うことができる適当な者として、PMDA において指名される者（以下「コンシェルジュ」という。）が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、申請者及び承認審査関係部署との調整を行う。指定後早期に当該対象品目にかかるコンシェルジュは、当該対象品目について法第 77 条の 2 第 2 項の規定による指定を受けた者（以下「指定者」という。）に連絡する。

6. 試験研究等の中止

指定者は、当該指定に係る先駆的医薬品の試験研究、製造販売又は製造を中止しようとするときは、法第 77 条の 5 の規定に基づき、速やかに厚生労働大臣に届け出ること。

なお、中止の届出は、規則様式第 108 による届書を提出することにより行うこと。

7. 指定の取消

法第 77 条の 5 の規定による中止の届出があったときは、法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、厚生労働大臣は、指定の取消しを行う。また同条第 2 項の規定に基づき、次のいずれかに該当するときは、指定を取り消すことがある。

なお、指定を取り消す際は、医薬品審査管理課は、薬事・食品衛生審議会に報告の上、2. に準じてホームページに掲載する。

(1) 指定された医薬品よりも先に他の医薬品等が国内で承認されたことなどにより、指定要件 1 又は 2 を欠くと認められるとき。

(2) 検証的臨床試験における結果等から、極めて高い有効性が見込まれなくなり、指定要件 3 を欠くと認められるとき。

(3) 指定された医薬品について、以下のいずれかの場合により指定要件 4 を満たせなくなったとき。

- 世界に先駆けて又は同時に日本で承認申請を行わなかった場合。
- 十分な事前評価を受けずに申請された又は申請資料に相当の瑕疵があると判明した結果、我が国での早期の開発が達成できなくなった場合。

(4) 同一の医薬品が海外で先に承認されたとき。

(5) 指定申請書の虚偽記載等不正があったと認められるとき。

(6) 正当な理由なく先駆的医薬品の試験研究又は製造販売が行われないうとき。

(7) 指定者について法その他薬事に関する法令で定めるもの又はこれに基づく処分に違反する行為があったとき。

8. 承継の取扱い

指定者から、他の者（以下「承継者」という。）に本邦での開発権を譲渡する場合、指定者は、6に従って、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、4（1）の申請書及び（2）カの資料を提出すること。ただし、指定者が指定を受けた時点から変更が生じている場合には、変更部分について、承継時点でも指定要件を充足することを示す資料も併せて提出すること。なお、承継は別途発出する指定書を以て認めるものとする。

なお、承継を検討している指定者は事前に医薬品審査管理課へ相談すること。その際、承継に係る契約書の写しや承継の経緯等が把握できる資料等も提出すること。

9. その他

指定を受けた対象品目の開発に付随して、先駆的医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するコンパニオン診断薬等（体外診断用医薬品又は医療機器）の開発を併せて検討する必要がある場合には、対象品目の開発・承認に遅延が生じないように、当該診断薬等についても必要な措置（先駆的医薬品等への指定を含む。）を講じることがあるので、速やかにコンシェルジュに相談すること。

10. 施行日

本通知は令和2年9月1日から施行する。

(別紙)

先駆的医薬品の指定要件該当性に関する概要

申請者名		英語表記を併記すること
名称	一般的名称※ ¹	INN等の英名を併記すること
	販売名※ ²	英語表記を併記すること
対象となる効能・効果		英語表記を併記すること
指定要件 1	治療薬の画期性 ※ ³	☐ 既承認薬と異なる作用機序であるもの ☐ 既承認薬と作用機序は同一であるが開発対象とする疾患に適応するものは初めてであるもの ☐ 革新的な薬物送達システムを用いているもの ☐ その他（ ） ※ ⁴
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象疾患の重篤性 ※ ³	☐ 生命に重大な影響がある重篤な疾患 ☐ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状況）が続いている疾患
	(対象疾患の概要)	
指定要件 3	対象疾患に係る極めて高い有効性 ※ ³	☐ 既承認薬が存在しない ☐ 既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する臨床試験成績等の要旨)	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制※ ³	☐ 世界に先駆けて日本で（単独に）承認申請される予定 ☐ 世界で初めて承認申請（複数の国・地域を対象とする場合に限る）を行う対象として日本が含まれる予定 ☐ 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	
	(開発に関する進捗状況・予定の概況※ ⁵ ※ ⁶)	

--	--

- ※1：一般的名称が決まっていない場合には「開発成分記号等」を記載。
- ※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。
- ※3：該当する口を塗りつぶすこと。
- ※4：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること
- ※5：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。
- ※6：使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制、開発の進捗状況等を含めて記載すること。