

令和5年10月18日
(独)医薬品医療機器総合機構

第5期中期計画の方向性について(案)

I. 第5期中期計画の基本的考え方

- 当機構は、医薬品の副作用による健康被害を迅速に救済するとともに、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性を確保し、国民保健の向上に資することを目的として、平成16年4月に発足した。
これまで、計画的に体制整備を図り、審査におけるドラッグラグ・デバイスラグの解消のための審査迅速化や相談業務の充実、安全対策の強化、健康被害の迅速な救済などの諸課題について、着実に成果を挙げ、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献してきた。
- 第4期中期目標期間(平成31年度から令和5年度まで)においては、国民や医療現場の期待に応えるべく、役職員一丸となって、新型コロナウイルス対応に尽力した。具体的には、新型コロナウイルス関連製品やワクチンの開発相談や承認、大幅に増加した新型コロナワクチンの副反応報告の受付や評価などについて、組織として優先順位を付け人の配置を行うこと等により、迅速かつ適切に対応した。また、このような状況下にあっても、FDAに続く世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、審査期間のバラツキが小さく予見性のある審査を継続した。
- 一方で、審査や安全対策におけるパンデミック等の緊急時の対応が法制化され、機構においても体制整備を行う必要がある。また、新型コロナウイルス感染症に対する mRNA ワクチンや、プログラム及びこれを記録した記録媒体であるプログラム医療機器(SaMD)を始めとする、これまでに無かった革新的な医薬品や医療機器などの相談・申請が増えており、テクノロジーの発展への適切な対応が今後一層重要となっていく。さらに、アカデミア・ベンチャー企業発シーズが起点となることが世界的な潮流となっており、海外で承認されているにも関わらず、日本では薬剤等の開発に着手されないという問題(いわゆる「ドラッグロス、デバイスロス」)が生じており、画期的な製品を迅速に患者・医療現場に届けるため、画期的製品の開発・上市の場として日本が米国バイオベンチャーなどにより認知される取組が求められている。
- こうした課題に対応していくため、政府が策定した「経済財政運営と改革の基本方

針 2023」(令和5年6月16日閣議決定)においても、「臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。これらにより、ドラッグラグ・ドラッグロスの問題に対応する」、「プログラム医療機器の実用化促進に向けた承認審査体制の強化を図る」旨が規定されており、付託された業務の遂行に対する期待と責任は引き続き大きなものとなっている。

第5期中期目標期間(令和6年度から令和10年度まで)においては、こうした政府の方針等に基づき、新たな課題に対する取組を強化するため、引き続き計画的に体制整備を図りつつ、業務の質を向上させていく。

- 具体的には、第4期中期目標期間までに構築した基盤を活かしつつ、レギュラトリーサイエンスに基づき、スピードだけではなく、各業務の一層の質の向上、高度化に取り組むことを通じて、
 - (1) 国民が、世界最先端の医薬品、医療機器、再生医療等製品の恩恵を受けることができるよう、これらをより早く安全に医療現場に届けるための審査等業務
 - (2) 世界最先端の医薬品等が海外での使用経験なく我が国の医療現場で使用される状況を想定し、保健衛生上の危害発生の防止、発生時の的確かつ迅速な対応を行い、医薬品等がその役割をより長期にわたって果たせるようにするための安全対策業務
 - (3) 適正に使用しても避けることができない、医薬品等の副作用及び医薬品等を介した感染等による健康被害について、迅速な救済を行う健康被害救済業務の三業務を柱とする「セイフティトライアングル」による総合的なリスクマネジメントを引き続き推進する。

- さらに、「セイフティトライアングル」の仕組みを発展させるため、
 - (1) 令和5年7月に改組したレギュラトリーサイエンスセンターを中心とした、レギュラトリーサイエンスの推進
 - (2) 米国、EUと並ぶ世界の三極の一つとして国際舞台で主導的役割を果たすとともに、海外拠点の創設等を通じて、我が国の国際的な比較優位をさらに伸張し、アジア規制当局のリファレンスカントリーとしての地位を確立するため、戦略的な国際活動の推進
 - (3) 急速に拡大した組織規模に相応しいガバナンスの強化とITなど専門人材の確保・育成の推進に取り組み、業務の質の向上や一層の効率化を図り、社会から期待される役割を果たすことを目指す。

Ⅱ. 各業務における取組の方向性

1. 健康被害救済業務

(1) 医薬品副作用被害救済業務・生物由来製品感染等被害救済業務の着実な実施

- ① 救済されるべき健康被害者を確実に救済するため、広報・周知活動を効果的かつ積極的に展開し、さらなる認知度・理解度の向上を実現(医療機関が実施する医療安全研修において、救済制度をテーマとして取り上げ、PMDA 職員による講義等を活用する働きかけを強化)
- ② 迅速な事務処理の一層の推進(標準処理期間内に処理する割合の引上げ)
- ③ 救済給付の請求・届出のオンライン化等による請求者・受給者の負担軽減及び PMDA の業務効率化の推進
- ④ 保健福祉事業の適切な実施
- ⑤ 拠出金の安定的な徴収

(2) スモン患者、血液製剤による HIV 感染者、特定血液製剤による C 型肝炎感染被害者等に対する給付業務の適切な実施

- ① 個人情報に配慮しつつ、委託契約等の内容に基づく適切な業務の実施

2. 審査等業務

(1) 医薬品審査業務の迅速かつ的確な実施

<新医薬品審査関係>

- ① 世界最速レベルの審査期間の堅持と効率的で質の高い審査
- ② Early consideration の発信や最新の科学的知見に基づく臨床評価ガイドラインの策定などイノベーションに的確に対応した相談及び審査の実施
 - * Early consideration とは、情報等が十分に収集されていない段階ではあるものの、イノベーションの実用化と革新的な医薬品等の開発促進の参考情報として、その時点における開発の方向性に係る審査側の考え方を示したものの。
- ③ 希少疾病用医薬品、小児用医薬品など患者ニーズの高い医薬品の開発の積極的な支援
- ④ 海外開発先行の革新的医薬品について日本での開発・導入に着手しやすくなる環境の整備と情報発信の強化
- ⑤ パンデミック等に対応できる緊急時相談・審査体制の構築

<ジェネリック医薬品審査関係>

- ① 医療用医薬品の安定供給確保へ貢献するための迅速な審査の実施と一層の質の向上
- ② 相談業務について、申し込まれた全ての相談に対応

<一般薬、医薬部外品審査関係>

- ① ニーズに適合した一般用医薬品等の開発に貢献するための申請区分の考え方の明確化と迅速な審査の実施

<信頼性保証関係>

- ① リアルワールドデータ(RWD)や新技術を用いた開発等を積極的に支援するための環境整備

- ② 国内治験における手続き等の簡素化・負担の解消(治験エコシステムの導入)を支援するための環境整備
- ③ 信頼性保証に関連する調査・相談について、リモート調査手法を活用するなど、より効率的・効果的になるよう手法の見直し
- ④ GLP/GCP/GPSP 等に関する国内外の企業・アカデミア等に対する積極的な情報発信

<品質管理関係>

○ 製造管理の徹底等を通じた医薬品品質確保対策の着実な推進

- ① 医薬品製造施設における製造管理・品質管理の更なる徹底
- ② 医薬品の品質向上に向けたコミュニケーション強化と安定供給の確保支援

<その他>

- ① 各種申請、相談、届出関係業務の書類の電子化、オンライン化の推進
- ② 事務局審査品目、再審査、治験届、治験相談の完全電子化に向けた DX 化の推進
- ③ 海外規制当局との連携、規制調和への適切な対応
- ④ 日本薬局方、品質に関する基準の国際規格化への貢献

(2) 医療機器、再生医療等製品等の審査業務の迅速かつ適切な推進

<医療機器・体外診断用医薬品関係>

- ① 世界トップレベルの審査期間の堅持と効率的で質の高い審査
- ② Early consideration の発信や最新の科学的知見に基づく評価指標の策定などイノベーションに的確に対応した相談及び審査の実施
- ③ 伴走型支援など開発の積極的な支援
- ④ プログラム医療機器の特性や新規性を踏まえた相談・審査体制の強化

- ⑤ 海外開発先行の革新的医療機器・体外診断薬について日本での開発・導入に着手しやすくなる環境の整備と情報発信の強化
- ⑥ 承認基準、認証基準及び審査のポイント等の策定の推進と情報発信の強化
- ⑦ パンデミック等に対応できる緊急時相談・審査体制の構築

<再生医療等製品関係>

- ① 世界トップレベルの審査期間の堅持
- ② 革新的技術を利用した開発品目に対応できる人材の育成
- ③ 伴走型支援など開発の積極的な支援と情報発信の強化

<信頼性保証関係>

- ① リアルワールドデータ(RWD)や新技術を用いた開発等を積極的に支援するための環境整備
- ② 信頼性保証に関連する調査・相談について、リモート調査手法を活用するなど、より効率的・効果的になるよう手法の見直し
- ③ GLP/GCP/GPSP 等に関する国内外の企業・アカデミア等に対する積極的な情報発信

<品質管理関係>

- QMS 調査の効率的・効果的な実施
 - ① 我が国で製造される医療機器等の品質の向上を図り、国際的により高い信頼を勝ち得るため、QMS 実地調査体制の充実、不具合報告を基にした安全対策を充実
 - ② QMS 調査の効率的な実施のため、MDSAP 利用申請の推進、申請書等のオンライン提出の推進

<その他>

- ① 各種申請、相談、届出関係業務の書類の電子化、オンライン化の推進

- ② 日本発の国際標準を積極的に提案し、国内開発の医療機器のグローバル展開につなげるとともに、我が国発のレギュラトリーサイエンスを世界に発信
- ③ グローバルに活躍できる国内の登録認証機関の育成
- ④ 海外規制当局との連携、規制調和への適切な対応

3. 安全対策業務

(1) 適切かつ効率的な安全性情報の収集、分析・評価、提供

【情報収集】

- ① 患者会との連携、医薬関係者からの電子的な報告の推進など、患者・医薬関係者からの情報収集等の効率化と強化
- ② プログラム医療機器を含む多様な医療機器、体外診断用医薬品の製品特性に応じた情報収集

【情報提供】

- ① 電子版お薬手帳等を介した患者への情報提供の充実
- ② 注意事項等情報の構造化対象を医療機器等に拡大することなどによる医薬関係者向け情報の利活用の推進

【情報分析】

- ① RWDに基づく薬剤疫学的分析の活用推進、関連人材の育成等による安全対策の質の向上
- ② IT技術の副作用等報告の分析への活用(DXの推進)による業務の質の向上と効率化
- ③ 緊急承認、先駆的医薬品等の増大やモダリティの異なる多様な医薬品の開発等に伴う副作用の増加、多様化に対応でき、パンデミック等の緊急時の対応も可能なリスクマネジメント体制の構築

4. レギュラトリーサイエンスの推進

(1) 人材力の強化

- ① 包括連携協定などの外部機関との人事交流等を活用した臨床現場の状況を理解した人材の育成
- ② RS 業務への関与等を通じたディスカッションをリードできる人材の育成

(2) 科学的エビデンスの充実・強化

- ① 研究へのエフォート増加による、組織としての研究遂行能力の強化
- ② 審査・相談上の課題を集約し、部横断的に検討できる体制の確立

(3) 発信力の強化

- ① RS 研究等の業務を通じて得られた成果を、英語論文等として発表

(4) MID-NET 運営安定化への対応

- ① 製薬企業等のニーズを踏まえた、利活用者の利便性のさらなる向上策を検討
- ② 構築・運営時に得られた標準化、品質管理等に関する技術・知見を情報発信

5. 国際化の推進

(1) 国際的リーダーシップの発揮

- ① 多国間交渉・会議の戦略的な活用による国際的なリーダーシップの獲得
- ② 規制調和活動の積極的推進

(2) アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターの充実強化と二国間協議の推進

- ① 薬事規制調和の加速に向け、PMDA アジア拠点の設置やアジア規制当局からの長期研修の受入れ等によりアジア諸国との協力基盤を強化するとともに、アジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを通じた日本の薬事規制の知識・経験の提供活動を強化
- ② 二国間協議を通じた日本の規制手法・日本の審査結果の受け入れ推進(日本を簡略審査対象国とする国の増加)、簡略審査制度をより利用しやすくするための環境整備
- ③ 再生医療等製品に関する日本規制モデルの国際化
- ④ 日本の GxP 調査結果の相手国における受け入れ推進

(3) PMDA の業務内容・実績の世界への発信

- ① PMDA 米国拠点の設置等を通じ、海外のベンチャー企業等に対する我が国の薬事制度に関する情報発信を強化
- ② 審査報告書の英訳版の作成強化、レギュラトリーサイエンスセンター等の活動内容の世界への発信
- ③ 日本の薬事行政に関する取組等について、実績や経験等に係る積極的・効果的な周知を展開

6. 効率的かつ効果的な業務運営体制の整備

(1) 業務運営の効率化

- ① 各種業務における業務プロセスの見直しを図るとともに、DXを始めとするデジタル技術の活用に関する取組を推進

(2) PMDA の役割、社会的立場を踏まえたガバナンス体制の強化

- ① リスクの未然防止のため、引き続き組織横断的にリスク情報の共有化に取り組むとともに、不測の事態の発生に際して迅速かつ的確に対応
- ② 拡大した組織を適切に運営するためのガバナンス体制を確保するため、管理部門を強化
- ③ ワークスタイルや執務環境の改善等働きやすい職場環境に向けた取組の実施

(3) 財務ガバナンスの強化

- ① 手数料・拠出金を主要な財源として運営する組織にふさわしい財務ガバナンス
- ② 長期に安定した財政運営への取組

(4) 情報セキュリティの強化

- ① 「情報システムの整備及び管理の基本的な方針」(令和3年12月24日デジタル大臣決定)等に基づき、情報システムの適切な整備及び管理等を進める。特に情報セキュリティについては「政府機関等のサイバーセキュリティ対策のための統一基準群」(令和5年7月4日サイバーセキュリティ戦略本部決定)をベースラインとし、必要な施策を遅滞なく実施する。

(以上)