

PMDA相談の活用に向けて

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）

再生医療製品等審査部 松本 潤

2024年2月22日

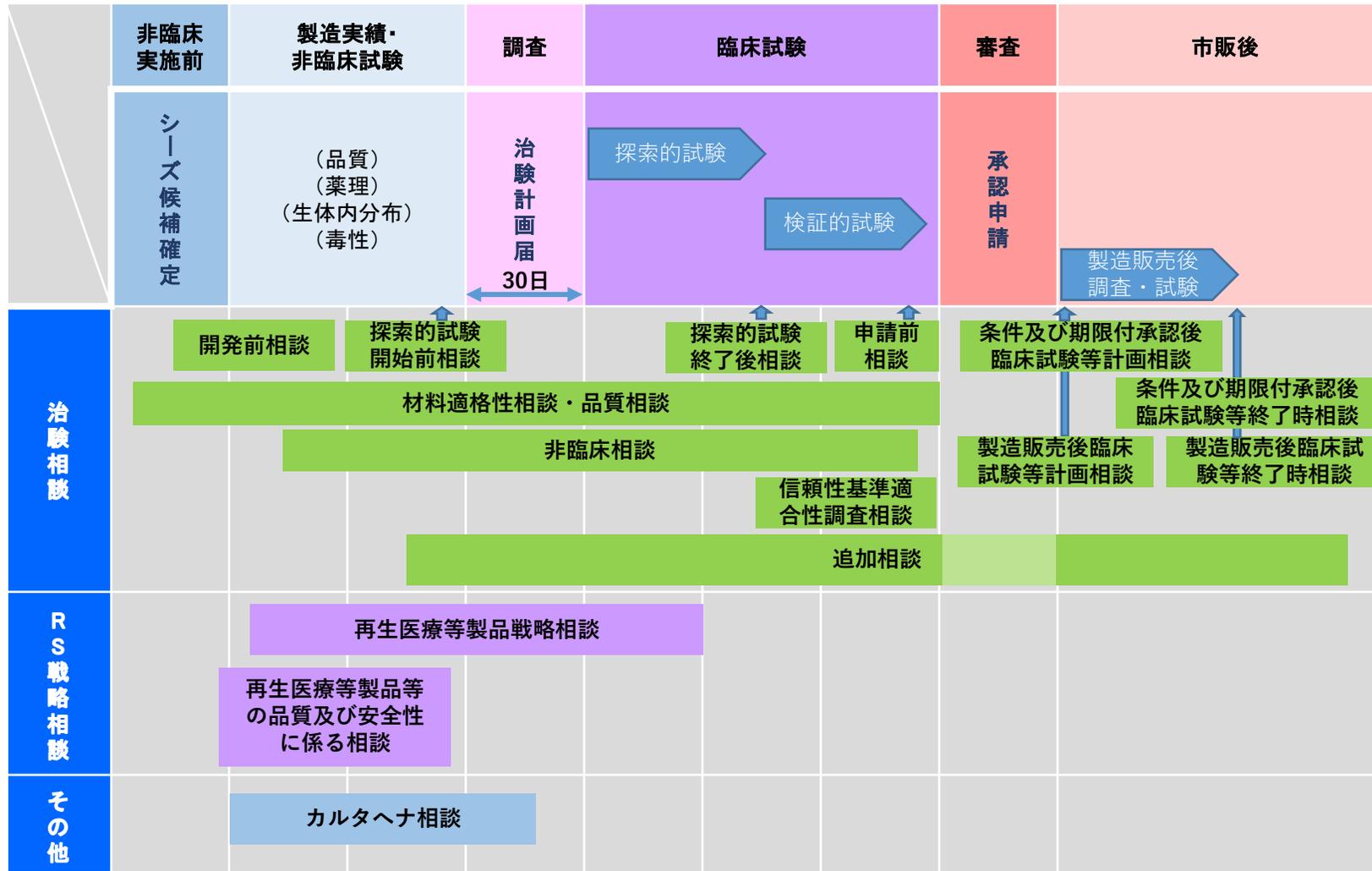
2023年度 第4回 神戸再生医療勉強会



**本日の講演内容は講演者個人の見解であり、
PMDAの公式見解ではありません。**

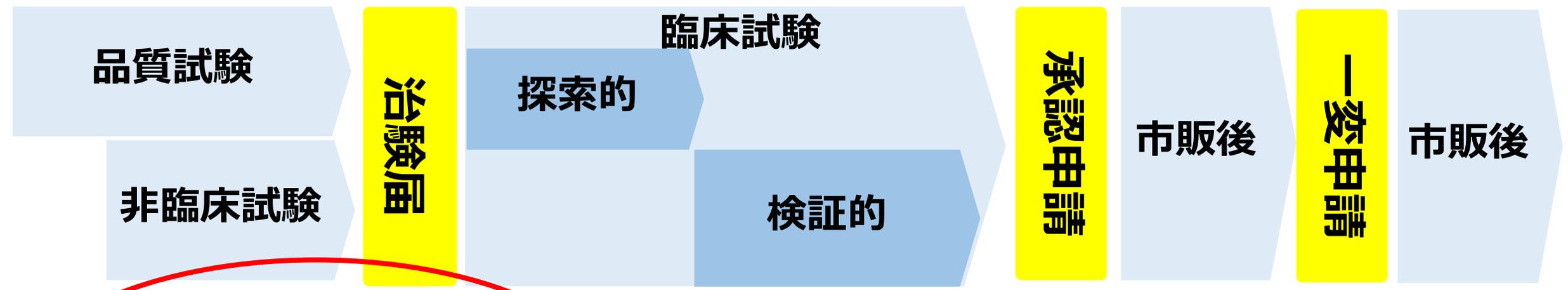
開発段階に応じた対面助言による開発サポート

再生医療等製品に係る対面助言



⇒ 開発段階、相談内容に応じて、多数の相談メニューを用意

開発段階に応じた対面助言による開発サポート



RS戦略相談

治験相談

カルタヘナ相談

レギュラトリーサイエンス (RS) 戦略相談とは？



日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、**開発初期から必要な品質・非臨床試験及び早期の臨床試験**に関する指導・助言を実施

<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0003.html>

- ✓ **対面助言**では、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・助言を実施
- ✓ 相談範囲の整理等、一般的なアドバイス等に関しては**事前面談**を実施
- ✓ 本事業や手続き等の理解を深めていただくための**RS総合面談**を実施

レギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談とは？

名称	目的	面談形式	申込から実施までの目安	面談時間	相談手数料	議事録
RS総合相談	RS相談の制度、薬事規制、参考とすべきGLの紹介など	面会／Web	1～3週間	20分以内	無料	無
RS戦略相談（事前面談）	対面助言に向けた相談事項、相談資料の整備	面会／Web	2～5週間	30分以内	無料	無
RS戦略相談（対面助言）	科学的議論	面会／Web	2～3カ月	2時間以内	有料 （低額要件有）	有

⇒Web会議で実施可能

⇒RS総合相談、RS戦略相談（事前面談）は無料

RS戦略相談（対面助言）の種類

相談区分	相談者	実施目的	申込み	資料搬入	備考
再生医療等製品 戦略相談	アカデミア ベンチャー	初期開発段階までに必要な臨床試験に関する相談	月初	5週間前の週の第1勤務日	
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談	すべての開発者 (制限なし)	初回治験届出前に必要な品質及び非臨床安全性の確認	随時	5週間前の週の第1勤務日	複数日にわたり実施可能
開発計画等戦略相談	アカデミア ベンチャー	開発計画のロードマップ等、開発計画に係る一般的な考え方や進め方の相談	随時	(資料提出は不要)	個別品目の具体的な開発計画は対象外

⇒ 「再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談」については、すべての開発者が対象

RS戦略相談のタイムスケジュール

目安の時期	相談者のアクション
2～3カ月程度前（月初）	対面助言の日程調整依頼、低額要件適用申請（希望する場合）
2カ月程度前	相談費用の振込み、対面助言の申込み
6～5週間前	相談資料（電子ファイル）の提出
4週間前～直前まで	照会事項、事前の機構見解等への対応
0（実施日）	対面助言
2～5週間後	相談記録（案）の確認
約5週間後（30勤務日）	相談記録の受領

⇒ 予見性の高いスケジュールで実施

⇒ 申込みから相談記録受領まで一定期間（3～4カ月程度）を要するため、計画的な相談が必要（申込み前には事前面談において相談事項の整理、相談資料の確認も必要）

RS戦略相談の相談手数料

相談区分		1申込あたりの 相談手数料	低額要件（※1） を満たす場合	
RS総合相談		無料	—	
RS 戦略 相談	事前面談	無料	—	
	対 面 助 言	医薬品戦略相談	1,541,600円	154,100円
		医療機器戦略相談	874,000円	87,400円
		再生医療等製品戦略相談	874,000円	87,400円
		再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談（※2）	1,541,600円	154,100円
		再生医療等製品等の品質及び安全性に係る追加相談	496,800円	—
		開発計画等戦略相談	73,600円	—

※1 低額要件を満たす場合、相談手数料は1/10に減額

※2 複数日にわたり相談可能

【低額要件とは？】

原則として、以下の要件をすべて満たすこと。

大学・アカデミア機関の場合

- 国から当該シーズに係る下記の金額程度以上の研究費を受けていないこと
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談：9,000万円
再生医療等製品戦略相談：5,000万円
- 当該シーズに係る製薬企業・医療機器等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

ベンチャー企業の場合

- 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

※ 問合せ先：PMDA審査マネジメント部審査マネジメント課
(TEL：03-3506-9556)

「再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談」の相談手数料

相談者		1回目手数料	2回目手数料	3回目手数料	4回目手数料 (以降も同様)
種類	低額要件				
アカデミア	適用	必要 (9割減)	不要	不要	不要
	非適用	必要	不要	不要	不要
企業	適用	必要 (9割減)	不要	不要	不要
	非適用	必要	不要	不要	必要 (追加相談)

- ⇒ アカデミア及び低額要件を満たす企業は、1回分の相談手数料で複数日にわたり相談可能
- ⇒ 低額要件を満たさない企業は、4回目以降、相談手数料が必要（追加相談の区分）

PMDA相談を受けるメリットは？

1. 効率的な製品開発

- 適切なタイミングで規制当局に確認しながら開発を進めることは、効率的な製品開発を行う上で不可欠

- 例)
- ・非臨床試験の充足性の確認
 - ・臨床試験のデザイン、評価項目の妥当性の確認

→不要な試験の回避、追加試験のリスクの低減



2. 公的研究資金の獲得の可能性

- 実用化に向けたマイルストーンを明確にすることで、公的研究資金の新規獲得・継続の可能性が向上

- 例)
- ・AMED再生医療実現拠点ネットワークプログラム（文）
 - ・AMED再生医療実用化研究事業（厚）
 - ・AMED再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（経）



→多くの公募要領においてPMDAとの相談実施が採択要件

PMDA相談を円滑に進めるには？

1. 余裕をもったスケジュールの設定

- データ収集、相談事項の整理、資料作成等の期間も踏まえ、全体計画から逆算して相談のスケジュールを設定することが肝要

- 悪い例)
- 年度末での駆け込み相談 → 結果として不十分な相談に終わる
 - 資料作成が間に合わない → 相談取下げ



2. 的確な相談資料の作成

- 相談したい事項（相談事項）を明確にし、相談者の考えを根拠とともに記載
→ 解釈のすれ違い防止、的確な機構見解の受領
- 事前面談での指摘事項を確実に反映 → 再度の事前面談、照会事項の回避
- 必要となる要件を確実に押さえる → 技術的ガイダンス、チェックポイント等

再生医療等製品の開発初期段階からの品質及び安全性に係る薬事戦略相談を効率的に行うために留意すべき事項
(チェックポイント)

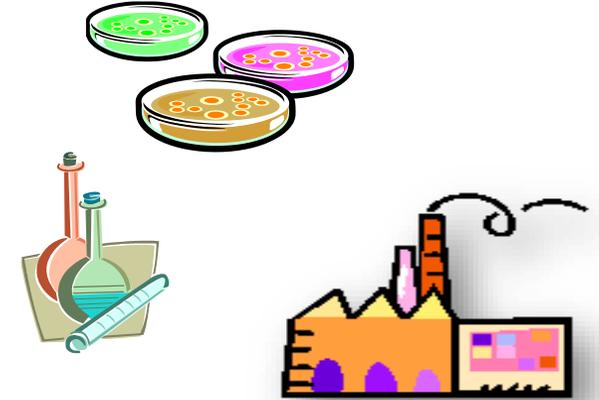
相談内容	細胞・組織加工製品	遺伝子治療用製品
品質		
非臨床安全性		



RS戦略相談（対面助言）での主な論点

•品質

- 原材料に起因する外来性感染性物質の安全性評価
- 中間・最終製品の品質管理（工程内管理試験、規格試験）
- 製法変更前後の品質の一貫性
- 安定性（貯法、有効期間と合わせ輸送方法も検討）、など



•非臨床安全性

- 試験計画の適切性
- データパッケージの充足性
- 製造工程由来不純物、副成分の安全性評価、など



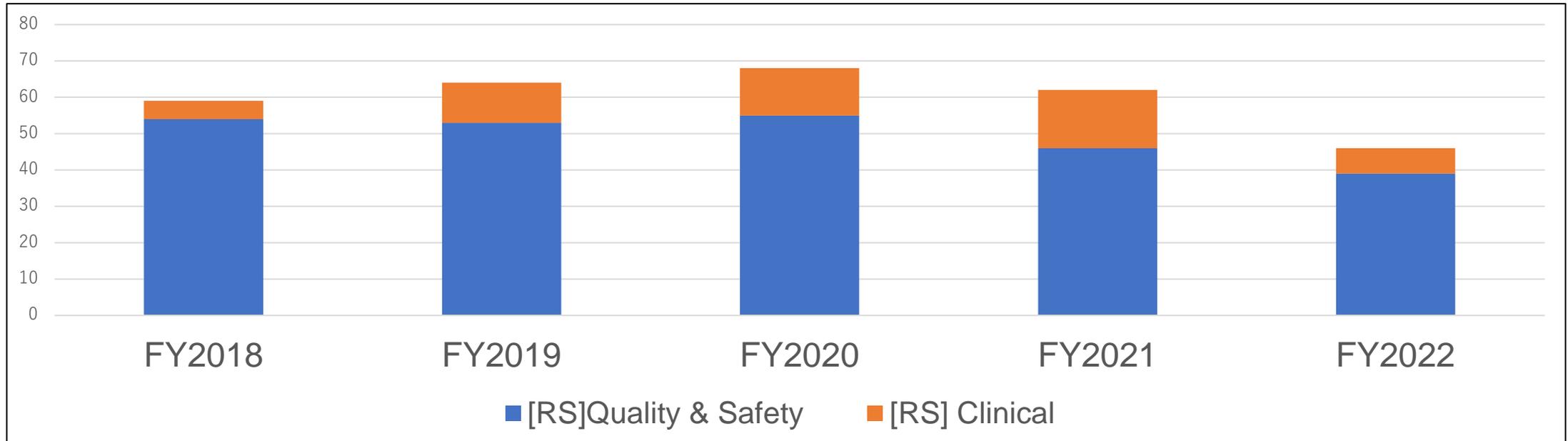
•臨床（早期探索的試験まで）

- 有効性、安全性の評価項目の適切性
- 選択・除外基準の適切性、など



論点整理は事前面談で!!

再生医療等製品に係るRS戦略相談の実施状況



	2018	2019	2020	2021	2022
RS戦略相談（臨床）	5	11	13	16	7
RS戦略相談（品質・非臨床）※	54	53	55	46	39
合計	59	64	68	72	46

※：数値は、再生医療等製品等に係る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ったものを、個別に計上した場合の延べ件数。

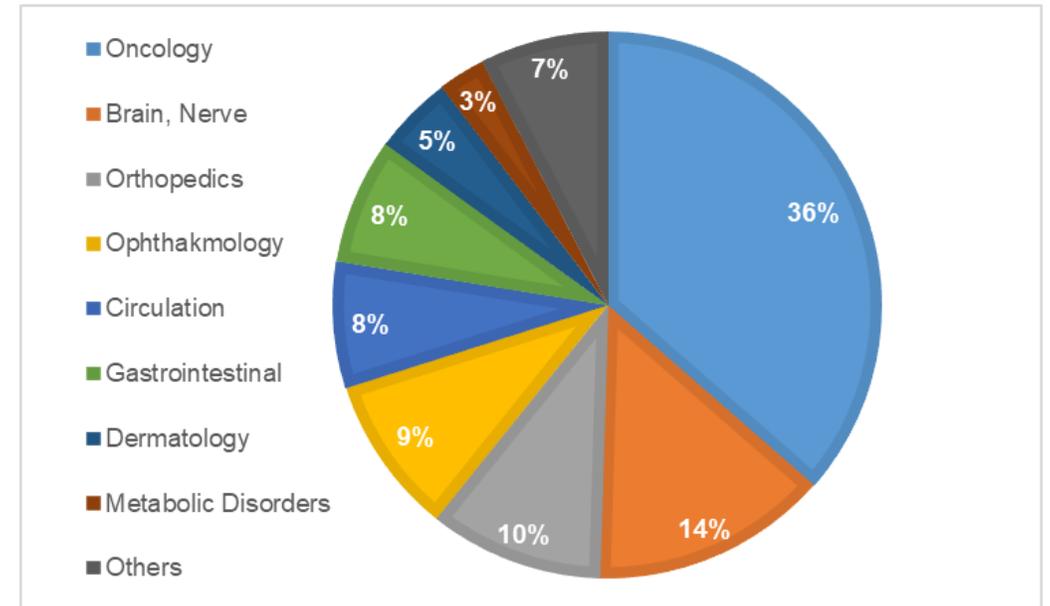
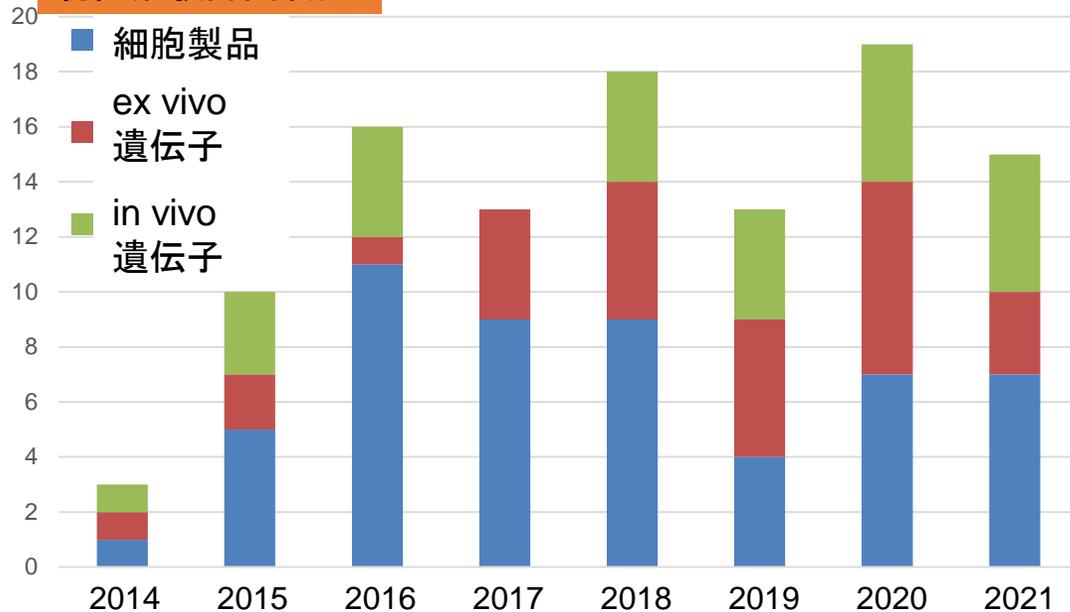
<https://www.pmda.go.jp/files/000253085.pdf>

国内における再生医療等製品の開発動向（治験届の推移）

治験計画届出	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	2021年度	合計
初回	3 [1]	10 [2]	16 [7]	13 [8]	18 [8]	13 [7]	19 [9]	15 [7]	107 [49]
n回	1 [1]	3 [2]	5 [0]	14 [10]	17 [3]	16 [7]	22 [5]	18 [9]	96 [37]
変更届	2	19	52	93	151	206	215	278	1016

- ・ n回治験計画届は、30日調査対象外の治験計画届である。
- ・ 初回治験計画届、n回治験計画届における[]の数値は、いわゆる医師主導治験に係る届出数を示す。
- ・ 出典：<https://www.pmda.go.jp/files/000238173.pdf>

初回治験計画届出



本日のまとめ

- 早期の実用化を加速するため、PMDAでは開発段階に応じて開発者へのサポートを行っている。特に開発初期では「RS戦略相談」が重要な役割を担っており、品質、非臨床安全性、臨床に関する助言を行っている。
- RS戦略相談ではアカデミア・ベンチャー企業に対する手数料の大幅な減額措置（1/10）がある。また、RS戦略相談のうち、「再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談」では、1回の手数料で複数回相談できるなど、本制度をうまく活用することで効率的な相談が可能。
- 円滑な相談実施のためには、相談者の考えを根拠を示して明確に記載する、事前面談での指摘事項を反映する、チェックポイントを確実に押さえるなど、的確な資料作成が重要。
- PMDAでは、再生医療等製品の開発促進のため、本勉強会も含め、関連する学会等においてPMDA個別面談を実施。今後も様々な機会を通じて、新規性の高い製品の開発促進に繋がる活動に取り組む。

参考文献

- 再生医療等製品（ヒト細胞加工製品）の品質、非臨床試験及び臨床試験の実施に関する技術的ガイダンスについて

<https://www.pmda.go.jp/files/000212850.pdf>

- 再生医療等製品の開発初期段階からの品質及び安全性に係る薬事戦略相談を効率的に行うため留意すべき事項（チェックポイント）

（細胞・組織加工製品）

品質 : <https://www.pmda.go.jp/files/000238176.pdf>

非臨床安全性 : <https://www.pmda.go.jp/files/000238178.pdf>

（遺伝子治療用製品）

品質 : <https://www.pmda.go.jp/files/000243091.pdf>

非臨床安全性 : <https://www.pmda.go.jp/files/000238180.pdf>

- 「PMDA相談の対応と相談資料作成」（前田大輔，遺伝子治療用製品の開発・申請戦略，2023）

ご清聴ありがとうございました



fmda