

PMDAに関する最近の動き

- (1) ドラッグロス対策 (頁2～6)
- (2) 海外事務所 (頁7～8)
- (3) 組織改編等 (頁9～11)



ドラッグロス対策について

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

- ◆ **希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応**
⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先も可）
- ◆ **小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応**
⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認
（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ **小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付）**
⇒ 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業を開始予定
（相談枠の新設（実施要綱公表済み）／相談手数料の補助）
- ◆ **先駆的医薬品指定制度：総審査期間 6 か月を目指す**
- ◆ **先駆け総合評価相談：申込み全件対応**
- ◆ **治験エコシステムの早期導入を推進**
⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（事業実施機関を公募中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ **海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施**
- ◆ **PMDAの米国事務所（年内設置予定）を窓口に、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施**
- ◆ **国際共同治験参加に関する治験相談における的確な助言**
⇒ 参加前に日本人第 I 相試験が必要ない場合を通知で明示

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置（令和6年7月1日付）

- ▶ 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター※

※事務局：審査マネジメント部

小児用医薬品

開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進

希少疾病用医薬品

希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品

開発の加速化

【相談体制の整備】

小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

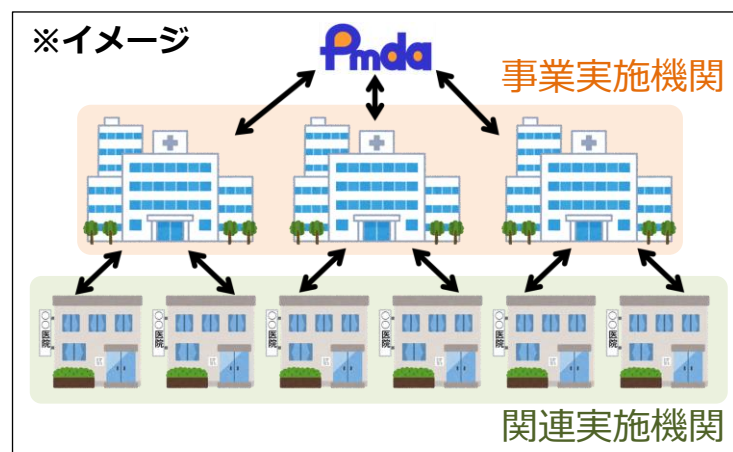
治験エコシステム導入推進事業

<背景>

- ◆ 国内治験を効率的に実施し、国民にいち早く治療薬を届けるため、製薬企業、医療機関、規制当局、被験者等あらゆるステークホルダーが協力して効率的に治験を行うための仕組み（**治験エコシステム**）の早期導入が期待されている。
- ◆ 本事業では、国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消を進める観点から、PMDA信頼性保証部と事業実施機関が連携し、医療機関における負担の実態調査及び治験エコシステムの導入を行う。

<事業概要>

- ◆ PMDAが治験環境の改善に積極的に取り組む事業実施機関（3施設程度）を公募・選定
- ◆ 機構は事業実施機関と協力して、医療機関の治験実施体制の現状を把握し、本邦の治験にかかる経費や手続きの負担削減のために優先して改善すべき課題を特定
- ◆ 事業実施機関は複数の治験実施医療機関（20施設程度を想定）を対象に課題に関する実態調査及び意見交換会を行い、内容をPMDAにフィードバック



<スケジュール>

5月下旬：本事業の実施要綱及び公募要領の公告
（5月29日：医療機関に対する本事業の説明会）
5月24日～7月17日：公募
～8月下旬：事業実施機関の選定

8月下旬：結果通知・契約締結
9月～：事業実施機関での事業開始
令和7年3月：成果物の発表

日本の薬事制度等に関する海外での情報発信強化

第5期中期計画において、実用化推進に対する積極的貢献、
国際的な提案能力の強化、業務の質の向上と一層の効率化を規定
⇒ドラッグロス解消のため、海外の革新的製品を開発するベンチャー企業等に対し、
日本での開発も検討できるよう、日本の薬事制度等に関する情報を直接発信

キーマッセージ

- ① 世界最速レベルの速さと、高い質の審査
- ② 国際共同開発の促進への取組
(国際共同治験参加の際に日本人 P 1 試験原則不要を明確化したこと等)
- ③ 日本で開発を行う際の支援
(開発早期から承認後まで科学的な相談を実施、国際的に規制調和が行われていること等)

最近（令和6年度上半期）の取組（理事長自ら発信）

American Society of Clinical Oncology (ASCO、米国臨床腫瘍学会) にて、パネルディスカッションに参加	シカゴ (米国)
BIO International Conventionにて、パネルディスカッションに参加及び講演	サンディエゴ (米国)
Welcome Trust Regulatory Science of Antimicrobial Agents Workshopに参加	シンガポール (シンガポール)
(予定) DIA 2024 Global Annual Meetingにおけるセッションに参加 (PMDA Town Hallも実施)	サンディエゴ (米国)

※ DIAなどの展示会等において、日本での医薬品等の開発に向けた無料相談を実施

海外ベンチャー企業へのアプローチ

<BIO International Convention 2023> 2023.6月

Program Sessionでの講演

- ◆ 承認申請から薬価収載までの迅速性やPMDAにおけるアジア地域での参照国化等の取組の紹介を通じ、日本での承認取得の魅力をアピール

米国ベンチャー企業との意見交換

- ◆ 15社以上のバイオベンチャー企業と面会
- ◆ 日本の承認制度、治験実施前の相談制度や相談を希望する場合のコンタクト先、日本人データの要否、市場性等を紹介

海外ベンチャー向けの 国内開発紹介資料



<https://www.pmda.go.jp/files/000266927.pdf>

<DIA米国年会> 2023.6月 ➡ 英語による個別企業相談を実施

- ◆ 日本における開発の始め方から具体的な製品開発まで幅広く対応（個別企業相談：7社）

<DIA欧州年会> 2024.3月 ➡ PMDAがOpenでFriendlyでFlexibleであることをアピール

- ◆ PMDA Town Hallでオーファンの早期指定や国際共同治験前の日本人第Ⅰ相試験は原則不要である旨を説明したほか、日本の先発薬市場の伸び、薬事規制・保険適用の予見性や日本も含めた開発のメリット（アジア展開など）等をアピール

【今後の課題】

- ◆ PMDA自らの言葉（英語）で発信する。
- ◆ 米国事務所を年内（予定）に立ち上げ、米国に拠点を置くJETRO等と連携し、米国ベンチャー企業等に日本への上市を働きかける。

アジア各国・米国との連携強化：海外拠点の整備

第5期中期計画の実施方向性：

- ・「国際的な貢献・提案能力の強化」を進めるにあたり、PMDA海外拠点を整備

[必要性]

(1) アジア各国：

- 日本及びアジア各国における革新的医薬品・医療機器へのアクセス確保に向け、特にASEAN諸国との連携強化を進めることが必要（ASEAN諸国：急速に発展・地域統合に向けた取り組みが進展）。
- アジア各国と薬事規制調和の推進、円滑に臨床開発がアジア各国で進められるよう規制環境の整備支援が必要。

(2) 米国：

- 革新的な医薬品・医療機器の開発支援・承認審査・市販後対策において、日米規制当局の緊密な協力・連携が必要。
- 国際協力の重要性が一層増している中（例：COVID-19等対応）で、日米が時差がなく、フレキシブルに広範な議論を進める体制が必要（対面会合の有用性）。

[対応]

アジア事務所・ワシントンD.C.事務所を整備し、相手当局等と、現地で直接協働する。

(1) アジア事務所（場所：タイ・バンコク都 開所：2024年7月）

○アジア各国の薬事当局との規制基盤の構築

（現地ニーズの収集・アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター研修の現地実施・二国間規制調和活動の現地実施）

○アジア地域進出企業・団体及び現地企業・団体との薬事規制に関する情報交換・各種相談等

○その他関連業務（関係組織等との連携）

(2) ワシントンD.C.事務所（場所：米国・ワシントンDC 年内設置予定）

○在米の個別スタートアップ企業への情報発信・初期の開発相談事業対応（※PMDAアウトリーチ活動を現地で実施）

○FDAを含む米国行政機関と現地での薬事規制協力の強化・規制関連の情報交換

日米首脳会合・共同声明等について

United States-Japan Joint Leaders' Statement

Global Partners for the Future

< 抜粋 >

We are also working to align global health security and innovation, including in such areas as pandemic prevention, preparedness, and response and promoting more resilient, equitable, and sustainable health systems. Today, we announce that the U.S. Food and Drug Administration and the Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) intend to collaborate and exchange information on oncology drug products to help cancer patients receive earlier access to medications and to discuss future drug development and ways to prevent drug shortages. We welcome PMDA's future representative office in Washington, D.C., to facilitate this cooperation.

FACT SHEET: Japan Official Visit with State Dinner to the United States

< 抜粋 >

Biotechnology, Biopharmaceutical, and Health-Related Cooperation

Tackling Cancer Together: In alignment with the Biden Cancer Moonshot to end cancer as we know it, the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) intend to collaborate and exchange information on oncology drug products. Specifically, under initiatives Project Nozomi and Project Orbis, FDA and PMDA intend to work to enable earlier access to cancer medication for patients and hold discussions on future drug development, including multiregional clinical trials and ways to prevent drug shortages.

Advancing Pharmaceutical Innovation: The United States and Japan welcome the Japan's Pharmaceutical and Medical Devices Agency (PMDA)'s intent to establish an office in the Washington, D.C. metro area. This office provides opportunities to enhance PMDA's cooperation with the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and facilitate information sharing with private industry.

医療機器ユニットの組織再編（令和6年7月1日付）

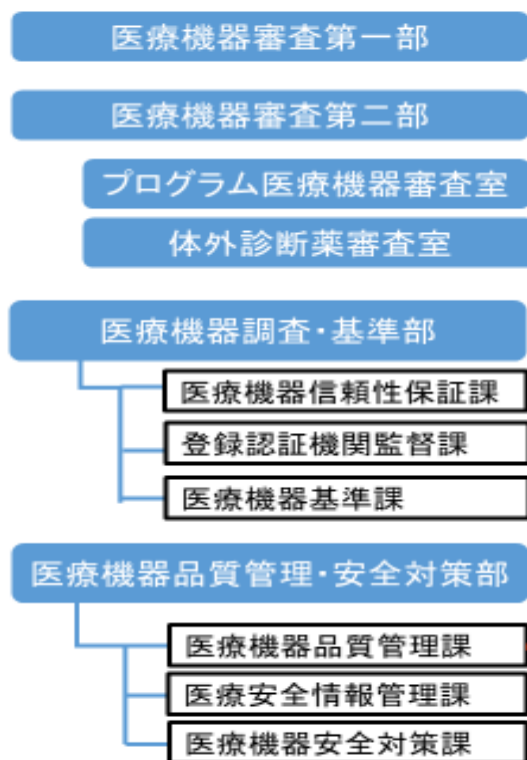
① プログラム医療機器審査室の部への組織改編

- ・骨太の方針2023においてプログラム医療機器の実用化促進に向けた体制の強化を図ることとされており、また、厚生労働省、経済産業省により策定された「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略2」（DASH for SaMD2）でも体制の強化が掲げられていることから、部へ組織改編する。

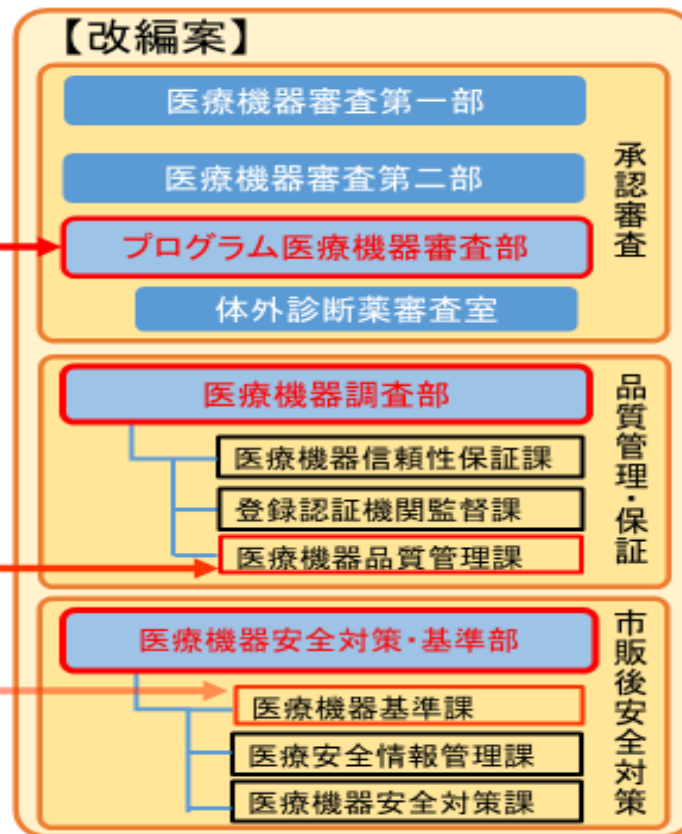
② 医療機器の調査業務と安全対策業務の再編

- ・医療機器等の調査業務と安全対策業務について、各業務内での連携強化と効率化、より一層の調査等能力の向上を図るため、それぞれ医療機器ユニット内に分散配置されている業務を、再編後の調査担当部と安全対策担当部に統合する。

【現行】



【改編案】



アジア事務所の設置（令和6年7月1日付）

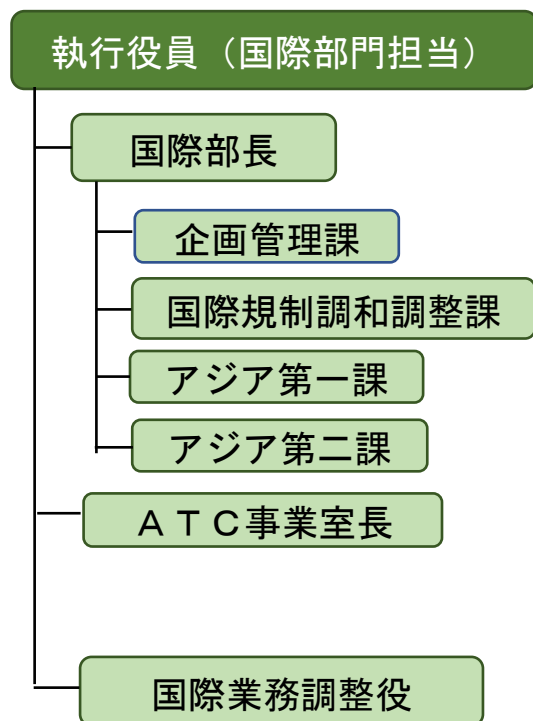
以下の業務を担わせるため、アジア事務所をタイ（バンコク）に設置する。

- ・ アジア各国の規制基盤構築及び規制調和を図るための現地での薬事当局との調整に関すること
- ・ アジア各国に係る現地での情報の収集及び分析に関すること
- ・ 現地で行うアジアトレーニングセンター活動の主宰に関すること

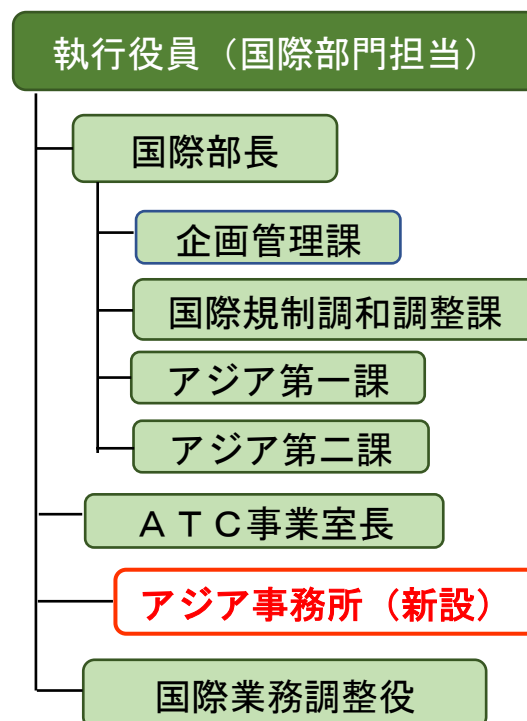
アジア事務所が行う業務は、国際部・ATC事業室の両部室の対応業務を現地で新規又は拡充して実施するものであるため、執行役員（国際部門担当）の指揮の下に設置する。

※ワシントンD.C.事務所の設置時に、国際部の組織改編を検討。

【現行】



【改編後】



PMDA関西支部の移転等について

- 大阪府等の要望を受け、現在うめきた・グランフロント大阪タワーB 12階に所在する関西支部を、大阪市北区中之島に新たに開業する「Nakanoshima Cross」 6階に移転します。
- 「Nakanoshima Cross」は、再生医療をベースに、医療技術の進歩に即応した最先端の産業化推進、国内外の患者に対する未来医療の提供を通じた国際貢献推進をめざす施設であり、医療機関と企業、スタートアップ、支援機関等が一つ屋根の下に集積する、未来医療の産業化拠点です。
- 今般の関西支部の移転は、アカデミアや企業等から寄せられる開発の初期段階からの相談などに対応することを通じて、第5期中期計画に規定する「レギュラトリーサイエンスの観点からの実用化推進に対する積極的貢献」などの実現に資するものと考えています。
- なお、移転前の関西支部において実施してきたテレビ会議システムを用いた各種対面助言については、移転後もこれまで同様実施いたします。関西支部において各種対面助言を利用する場合、これまでは対面助言に係る手数料のほかにテレビ会議システム利用料を別途ご負担いただいておりますが、移転後は、対面助言に係る手数料のみで対面助言を利用いただけるよう見直し、テレビ会議システム利用料は無償化いたします。一般用医薬品等に関する簡易相談につきましても、移転後はテレビ会議システムを利用できるように見直します。これらのテレビ会議システムを利用した各種対面助言等、簡易相談の実施について積極的にご検討くださいますようお願いいたします。

移転後の住所 〒530-0005 大阪府大阪市北区中之島4丁目3番51号
Nakanoshima Cross 未来医療R&Dセンター 6階

営業開始時期 2024年秋頃予定

- 一般財団法人未来医療推進機構(<https://miraikiko.jp/>)が主催する「Nakanoshima Cross」のオープニングセレモニーは2024年6月29日（予定）。
- 移転後の営業開始日及びテレビ会議システムの利用方法は確定次第、PMDAのホームページ等で周知します。
- 移転までの間は従前のとおり、うめきた・グランフロント大阪タワーB12階で営業しております。テレビ会議システムの利用方法の詳細はホームページ(<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/0002.html>)をご覧ください。

