

# 最近の主な取組状況

- (1) 健康被害救済業務
- (2) 審査業務
- (3) 安全対策業務
- (4) レギュトリーサイエンス業務
- (5) 国際業務
- (6) 管理業務

# (1) 健康被害救済業務

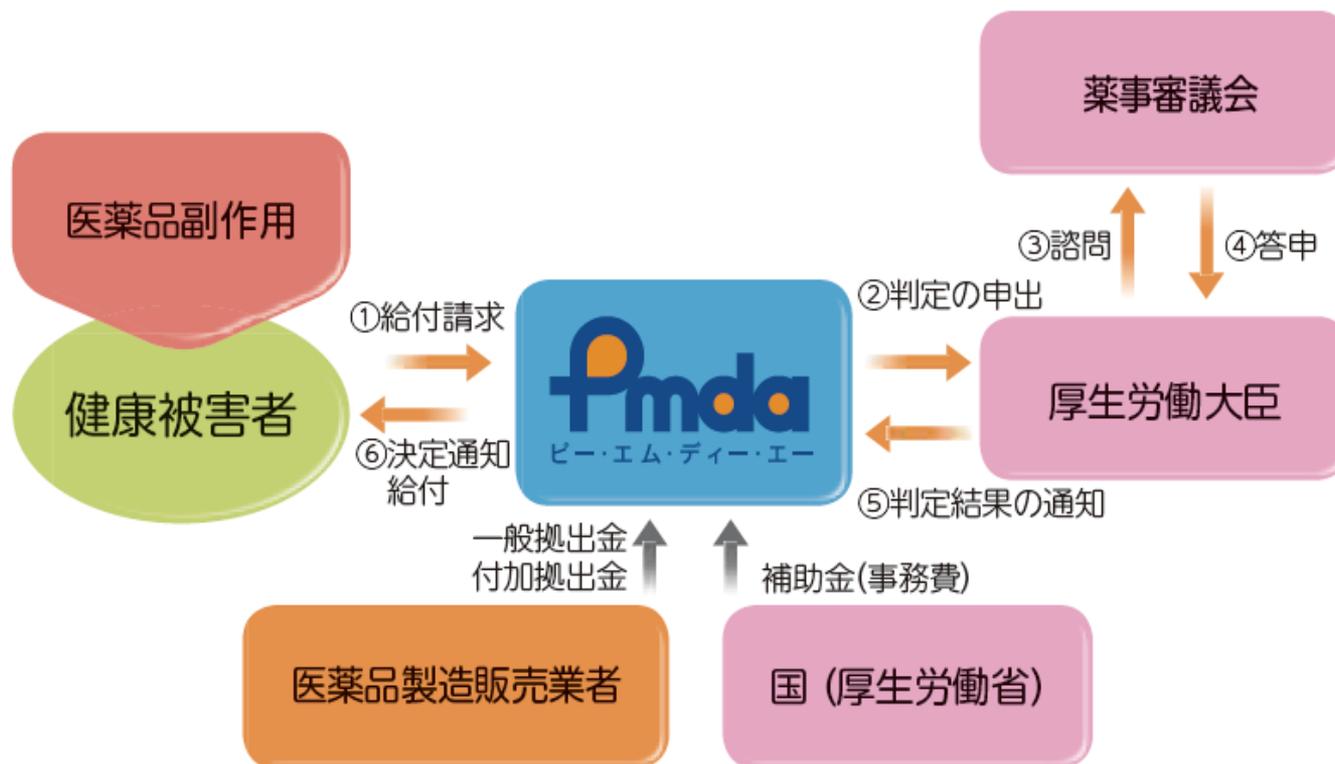
# 救済制度の概要

- 医薬品等※1を適正に使用したにもかかわらず発生した副作用により
  - **入院治療が必要な程度** の重篤な疾病
  - 日常生活が著しく制限される以上の障害

等の健康被害を受けた方の迅速な救済を図ることを目的として医療費、医療手当、障害年金等の救済給付を行う公的な制度。(再生医療等製品については平成26年11月25日以降の使用。)

- 救済給付の必要費用は、医薬品の製造販売業者がその社会的責任に基づいて納付する拠出金が原資。

※1：厚生労働大臣の許可を受けた医薬品及び再生医療等製品で、**医療用医薬品**及び**一般用医薬品**等いずれも対象（但し、抗がん剤、免疫抑制剤、再生医療等製品の一部は対象外医薬品）



# 救済制度の広報活動への取組

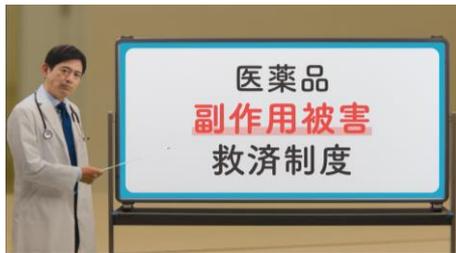
## 一般国民と医療関係者に向けて、広報・周知活動を幅広く・効果的に実施

- PMDA「特設WEBサイト」の他、ポスター・リーフレットもリニューアル制作
- 医療機関が実施する職員向け研修会や講習会への「講師派遣（出前講座）」（対面、WEB）を実施
- 「eラーニング講座」について、新たな支給・不支給事例を追加する等、活用を促進
- 医療関係団体、行政機関等に対しては、引き続き、制度広報への協力を依頼
- 医薬品使用の機会を捉え、電子お薬手帳での制度案内

### <集中広報期間（10～12月）>

- 著名タレントを起用したテレビCM、新聞広告、インターネット・SNS配信等を戦略的に展開
- 医療機関・薬局でのテレビCMを使用したビジョン広告、大手薬局でのリーフレット配布
- 医療系専門誌・学会誌への記事広告掲載、関係学会での広報資材配布

### ※メディア等の広報イメージ



<テレビCM>



<新聞広告>



<インターネット・SNS配信>



<院内・薬局ビジョン>

## 給付事例等の公表

- 支給・不支給事例（医薬品販売名、副作用名称等、不支給理由等）、医療関係者向けの広報冊子、業務実績や各種統計資料等のHPへの掲載
- ホームページ掲載時にあわせて「PMDAメディナビ」からも情報発信

# 副作用・感染等救済給付請求の処理状況

## 副作用救済給付請求の処理状況

年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度上半期
請求件数	1,431 < 34>	1,379 < 20>	1,230 < 9>	1,355 < 6>	711 < 4>
決定件数	1,594 < 49>	1,450 < 29>	1,405 < 8>	1,240 < 13>	577 < 2>
支給決定	1,342 < 15>	1,213 < 8>	1,152 < 4>	1,016 < 4>	455 < 0>
不支給決定	244 < 34>	229 < 21>	245 < 4>	201 < 9>	106 < 2>
取下げ件数	8 < 0>	8 < 0>	8 < 0>	23 < 0>	16 < 0>
支給額	2,421百万円	2,376百万円	2,382百万円	2,317百万円	972百万円
6ヶ月以内 処理件数 達成率	877 55.0%	1,206 83.2%	1,267 90.2%	1,142 92.1%	537 93.1%
8ヶ月超 処理件数 比率	144 9.0%	80 5.5%	34 2.4%	25 2.0%	10 1.7%
処理期間(中央値)	5.8月	4.6月	4.4月	4.0月	4.4月

注1) 請求・決定件数欄の< >内は、HPV事例の件数であり内数。

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

※6ヶ月以内処理達成率65%以上の目標値は、令和5年度計画から設定。それ以前は60%以上。

注3) 比率は、当該年度中に決定されたもののうち、処理期間が8ヶ月超となったものの割合

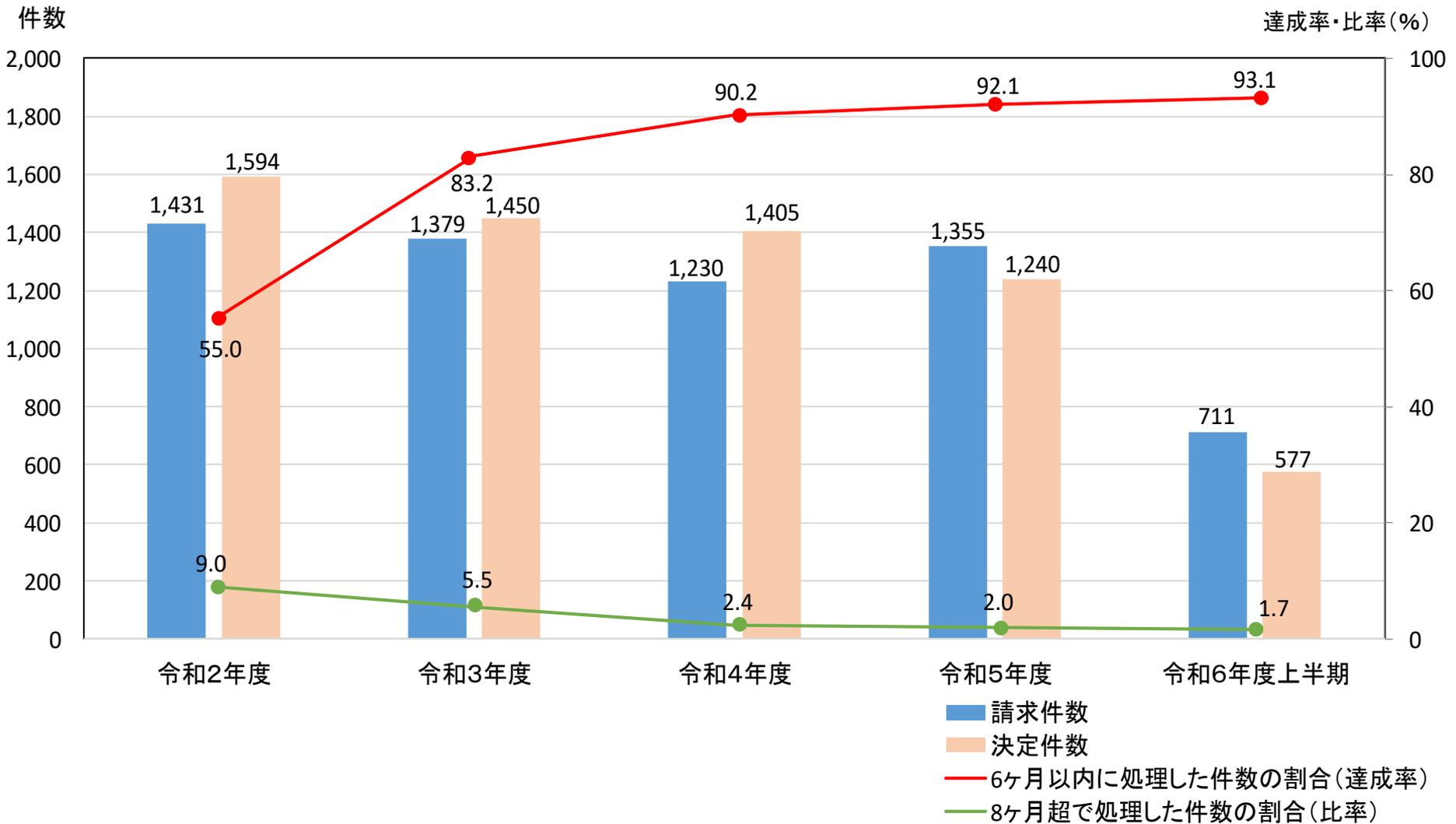
※8ヶ月超の割合10%以下の目標値は、令和4年度計画から設定。

## 感染等救済給付請求の処理状況

年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度上半期
請求件数	2	0	1	3	1
決定件数	1	1	0	3	1
支給決定	0	1	0	3	1
不支給決定	1	0	0	0	0
取下げ件数	0	0	0	0	0
支給額	38千円	244千円	79千円	3,315千円	1,320千円
6ヶ月以内 処理件数 達成率	1 100.0%	1 100.0%	0 ...%	3 100.0%	1 100.0%
処理期間(中央値)	5.9月	5.2月	...月	4.8月	6.0月

※上記注2)と同じ。

# 救済給付請求の迅速処理の状況(副作用救済)



注1) 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

※6ヶ月以内処理達成率65%以上の目標値は、令和5年度計画から設定。それ以前は60%以上。

注2) 比率は、当該年度中に決定されたもののうち、処理期間が8ヶ月超となったものの割合

※8ヶ月超の割合10%以下の目標値は、令和4年度計画から設定。

# 救済業務の電子化による業務の効率化・高度化

**住民基本台帳ネットワークシステム(住基ネット)との接続**  
(令和6年10月～実施済)

マイナポータルを利用した請求・届出等の**オンライン化**(令和7年12月～開始予定)  
※「紙」と「オンライン」による請求等に対応

**新救済システム**「給付システム、統合・解析システム、相談カードシステムのDB統合と稼働プラットフォーム」の再構築(令和7年1月～開始予定)

## ○ 対外的対応

・受給者に対して、現況届の提出依頼時に住民票の提出不要のお知らせを同封して送付する

## ○ 効果

・住民票、死亡者の除票の提出が不要となるため、受給者等の負担が軽減される

## ○ 対外的対応

・運用開始前にHP等で周知するとともに、運用開始後は電話相談でも案内を行う予定

## ○ 効果

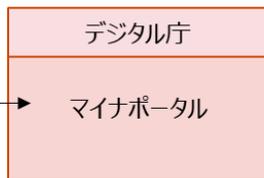
・郵送作業等、請求者・受給者の負担が軽減される  
・システムへの入力業務、請求者・受給者への発送業務の縮減、紙資料の縮減 等

※ なお、業務効率化の点では、2通りの請求等が発生するため、業務負担が増える可能性もある。

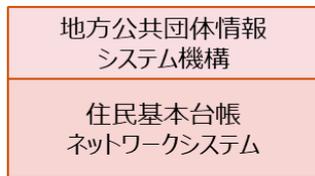
## ○ 効果

・課単位にバラバラだった情報を統合・一元化し、システム間の情報が連携される  
・重複したデータ保持による多重作業の解消  
・必要な情報への即時アクセスが可能(待ち時間解消)  
・適切なアクセス権管理による個人情報等の管理の徹底が図られる

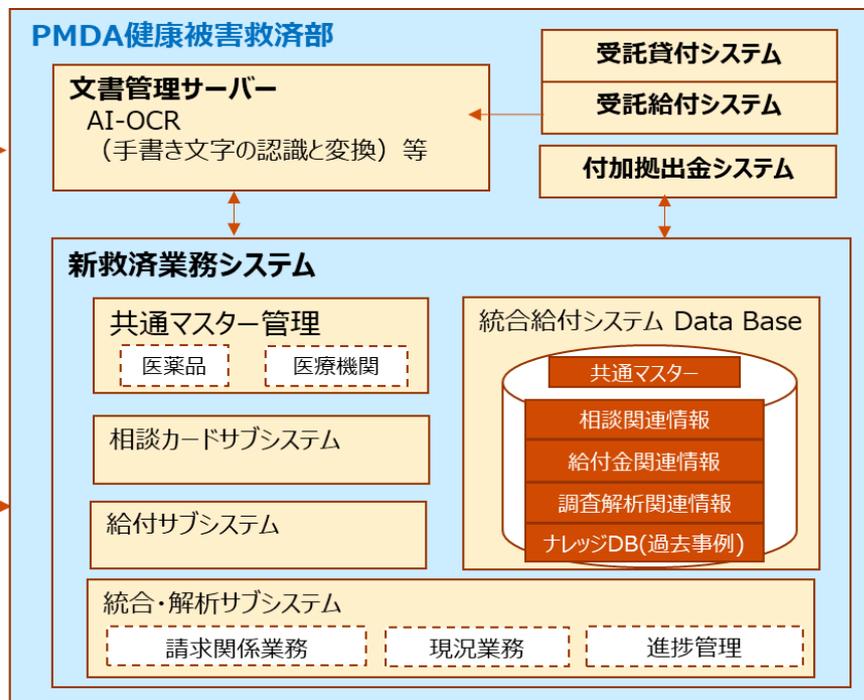
## <健康被害救済部のシステム構想>



閉鎖的  
ネット回線



専用回線



## (2) 審査業務

# 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日付け）**  
⇒ 当該センター事業を開始（新設した相談の実施／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（選定された事業実施機関において課題を検討中）

## 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**
- ◆ **ワシントンD.C.事務所を窓口、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や日本での承認申請等に向けた的確な助言**  
⇒ 国際共同治験参加前に日本人第I相試験が必要ない場合の考え方や、希少疾病等で海外でのみ検証的臨床試験が実施された場合の日本人データの取扱いに係る考え方を通知で明示 8

# ◆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日付け）

- ▶ 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。

## 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・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業）】

### 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。

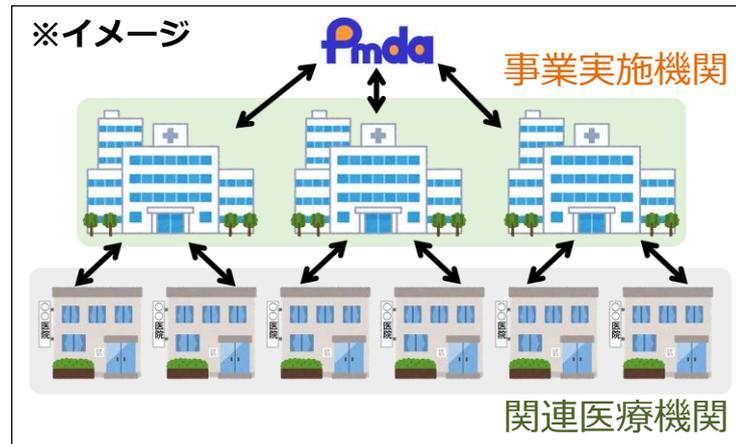
# ◆治験エコシステムの早期導入を推進

## <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を公募。
- ◆ 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>

- 令和6年5月24日～7月17日：公募（応募機関に対してアンケートを実施）  
→ 大阪大学医学部附属病院、国立がん研究センター、北海道大学病院の3機関を選定
- 令和6年10月～：公募時アンケートの集計結果を踏まえて、PMDAと事業実施機関3機関合同で主要課題について意見交換を実施。  
事業実施機関及び関連医療機関において課題を検討。
- 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**

### キーメッセージ

- ① **高い質と世界最速レベルの審査**
- 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P1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)

### 令和6年度の取組

6月	American Society of Clinical Oncology (ASCO、米国臨床腫瘍学会) において、FDAセッションにパネル参加 <b>【理事長自ら登壇】</b>	シカゴ (米国)
6月	BIO International Conventionにおいて、セッション講演及び企業ラウンドテーブルに参加 <b>【理事長自ら登壇】</b>	サンディエゴ (米国)
6月	Welcome Trust Regulatory Science of Antimicrobial Agents Workshop参加 <b>【理事長自ら登壇】</b>	シンガポール (シンガポール)
6月	DIA 2024 Global Annual Meetingにおいて、日米欧セッションで講演・パネル参加 <b>【理事長自ら登壇】</b>	サンディエゴ (米国)
10月	AdvaMed MedTech Forumにおいて、日本セッションで講演・パネル参加	トロント (カナダ)

※それぞれの場において、日本での医薬品・医療機器等の開発に向けた無料相談を実施

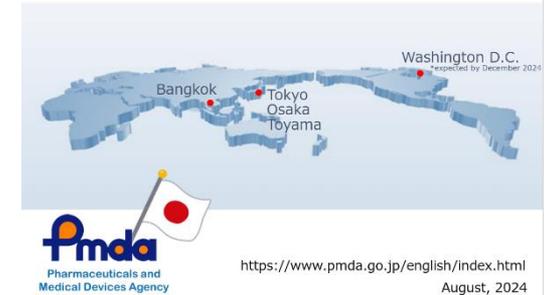
## ◆海外ベンチャー企業へのアプローチ

### <BIO International Convention 2024> 2024.6月

- ◆ Program Sessionでの講演において、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
- ◆ 海外ベンチャー企業（約30社）にアプローチし、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

#### PMDA's Support to Venture Companies



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

### <DIA米国年会> 2024.6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：13社）

### <ASCO（米国臨床腫瘍学会）年会> 2024.6月

- ◆ 海外ベンチャー企業（約20社）にアプローチし、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

#### 【今後の取組予定】

- ◆ PMDAウェブサイトについて、英語の情報を充実させ、最新の情報を発信する。
- ◆ ワシントンD.C.事務所において、米国に拠点を置くJETRO等と連携して相談会等を実施し、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 **設立：2024年7月1日**）

- 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）
- アジア規制連携国際シンポジウムを開催（2024年8月）  
※ASEAN諸国の規制当局・産業界・アカデミア等を招待

#### (2) ワシントンD.C.事務所（場所：米国・ワシントンDC **設立：2024年11月1日**）

- 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

## ○ 新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチンの評価に関する考え方（補遺5） 製法が十分に確立したワクチンの株変更の承認審査に必要な品質資料について（令和6年5月29日付け）

**背景：** COVID-19について、高齢者等を対象とした定期接種を行う上で、流行株に対する有効なワクチンが継続的に提供されることが求められる。このため、薬事規制当局国際連携組織（ICMRA）におけるコンセンサスを踏まえ、ワクチンの株変更について迅速な審査が可能な場合の要件や必要な資料を示すこととしたもの。

### 概要：

- 迅速な審査の対象は、株変更に対して頑健な製法が確立されたSARS-CoV-2ワクチン（過去に株変更が認められた本邦既承認のワクチンのうち、株変更により品質及び安全性が影響を受けない蓋然性が高く、免疫原性が非臨床試験によって予見できるもの）とする。なお、厚生労働省による株選定から3～5カ月以内に供給開始可能なものを想定。
- モダリティは、mRNA ワクチン及び組換えタンパク質ワクチンを想定（他のモダリティについてはPMDAと協議が必要）。
- 迅速な株変更のために必要な品質に関する試験成績等を具体的に提示。

## ○ 向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響を評価する臨床試験を計画する際の留意事項（令和6年8月15日付け）

**背景：** 向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響の評価については、厚生労働省より「向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響の評価方法に関するガイドライン」が示されているが、このうち、臨床試験を計画する際の留意事項を提示したもの。

### 概要：

- 自動車の運転技能に及ぼす影響の検討に際しては、「臨床的に意味のある影響の持続性」の評価が重要となる。
- 「臨床的に意味のある影響の持続性」の評価として、被験薬の薬物動態、薬理学的特性等に基づいて定義した「自動車運転に影響する有害事象」の発現時期、持続期間、そして耐性の有無等の時間的關係を検討することが推奨される。
- 自動車運転試験を計画・実施する場合には、自動車の運転技能への影響の大きさとその持続性の評価が重要となる。

# 先駆的医薬品等指定制度

「日本再興戦略」改訂2014（平成26年6月24日）に基づき、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日より試行的に開始（通知）。令和元年の薬機法改正で**「先駆的医薬品等」の指定制度**として法制化（令和2年9月施行）。

## 指定基準

※医薬品の場合

- 1. 治療薬の画期性**：原則として、以下のいずれかに該当するものであること
  - ・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
  - ・革新的な薬物送達システムを用いていること
- 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症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患
- 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・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
- 4. 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制**（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 〕

- 優先対面助言。随時募集対応とすることで事実上1か月で実施。

### 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。  
※②事前評価による審査の前倒し

### ④審査パートナー制度

〔 PMDA版コンシェルジュ 〕

- 専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定。節目ごとに進捗確認等を行い、必要な部署との連絡調整を行うことにより、円滑な開発を促進する。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

〔 再審査期間の延長 〕

- 法律に基づき、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

# 先駆的医薬品指定制度承認品目

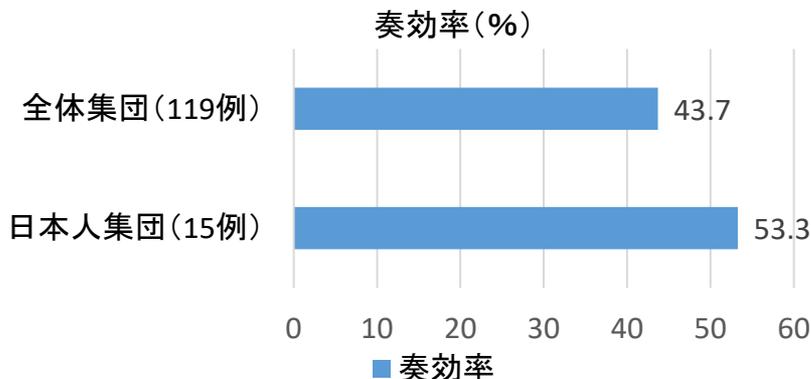
医薬品の名称 (申請者)	品目の概要	効能又は効果
エザルミア錠50 mg、 同錠 100 mg (第一三共株式会社)	一般名：バレメトスタットトシル酸塩 ヒストン等のメチル基転移酵素であるenhancer of zeste homolog (EZH) 1/2の酵素活性に対する阻害作用を有する低分子化合物。EZH1/2のメチル化活性を阻害することで、アポトーシスを誘導すること等により、腫瘍の増殖を抑制すると考えられている。	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫

- 再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫 (PTCL) は極めて希少な疾患であり、当該 PTCL 患者の予後は不良である。本邦において再発又は難治性の PTCL に対して承認されている抗悪性腫瘍剤は、いずれも検証的な試験成績は得られておらず、標準的な治療は確立されていない。
- 申請された令和6年1月時点において、再発又は難治性のPTCLに係る効能・効果にて本薬が承認されている国又は地域はない。

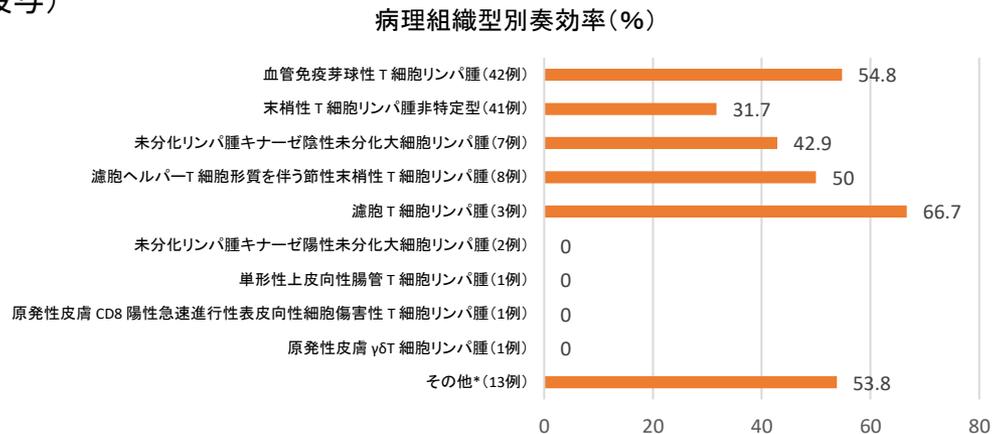
## <先駆け審査指定制度に係る経緯>

- ・平成31年4月：「再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫」を予定される効能・効果として先駆け審査指定制度の対象品目（指定番号：先駆け審査（31薬）第1号）に指定（平成31年4月8日付け薬生薬審発0408第1号）
- ・令和6年1月：製造販売承認事項一部変更承認申請（当該効能・効果の追加）。
- ・令和6年6月：製造販売承認事項一部変更承認取得（当該効能・効果の追加）。

## <臨床試験結果> ※国際共同第II相試験 (PTCL患者への投与)



(Lugano 分類の治療効果判定規準 (J Clin Oncol 2014; 2:3059-68) に基づく中央判定)



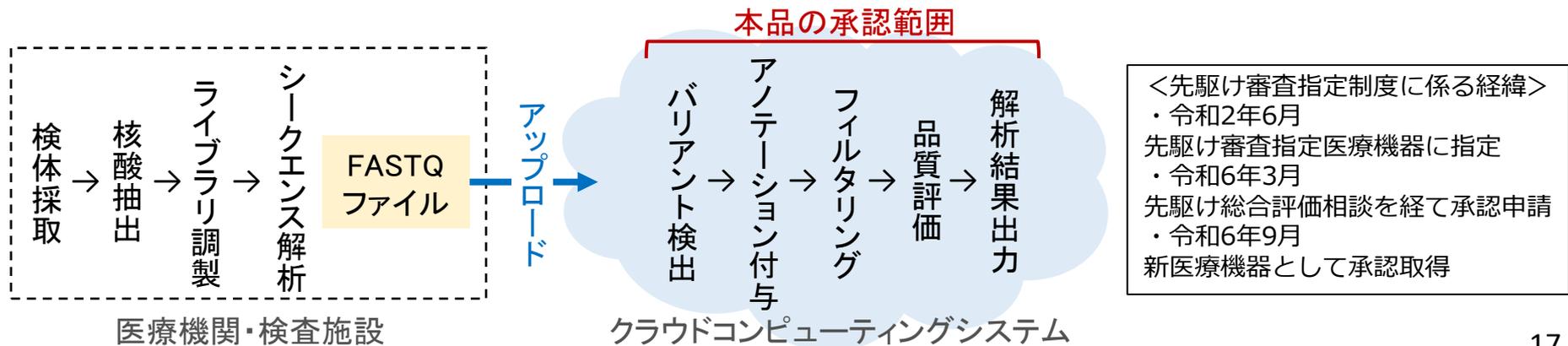
■ 奏効率 (Lugano 分類の治療効果判定規準 (J Clin Oncol 2014; 2:3059-68) に基づく中央判定)

\* : 中央病理判定で組入れの適格性を満たしたものの、病理組織型を最終決定できなかったT細胞リンパ腫

# 先駆的医療機器指定制度承認品目

医療機器の名称 (申請者)	品目の概要	使用目的又は効果
ヘムサイト解析プログラム (大塚製薬株式会社)	造血器腫瘍又は類縁疾患患者から得られた腫瘍部及び正常部検体由来のDNA及び腫瘍部検体由来のRNAのシークエンス解析により得られたFASTQファイルを入力情報とし、造血器腫瘍に関連するバリエーション情報を取りまとめたゲノムプロファイルを出力する遺伝子変異解析プログラムである。出力されたゲノムプロファイルは、一般社団法人日本血液学会が策定した「造血器腫瘍ゲノム検査ガイドライン」等に基づく造血器腫瘍及び類縁疾患の診断、治療法選択及び予後予測の検討のために使用される。	本品は、組み合わせて使用する体外診断用医薬品等により得られた塩基配列情報を入力することで、その解析結果の表示及び出力を行う。本品は、造血器腫瘍及び類縁疾患患者を対象とし、腫瘍等の包括的なゲノムプロファイルを取得する。

- 造血器腫瘍の分野においては、近年、診療におけるゲノム情報の重要性が高まっているが、包括的にゲノムプロファイルを取得する検査は存在しない状況であった。
- 本品は、国立がん研究センターと共同設計され、国立がん研究センター、九州大学、京都大学、名古屋医療センター、東京大学医科学研究所、慶應義塾大学との共同研究コンソーシアムにて開発された。
- 「造血器腫瘍ゲノム検査ガイドライン」では、造血器腫瘍の分野においては診断、治療法選択及び予後予測のためにCGP検査が有用とされており、本品は造血器腫瘍患者等の診断、予後予測及び治療法選択に有用とされる遺伝子を解析対象としている。
- 検体採取～シークエンス解析の工程では、別品目として承認された「ヘムサイト診断薬」及び一般医療機器のDNAシーケンサーが用いられる。



# 先駆的再生医療等製品指定制度承認品目

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
アクーゴ脳内移植用注（サンバイオ株式会社）	<p>本品は、主構成体として健康成人から骨髄液を採取し、培養により分離・増殖させた間葉系幹細胞にヒトNotch-1の細胞内ドメインをコードしたプラスミドベクターを導入したヒト（同種）由来の脳内移植用細胞懸濁液、副構成体として移植する細胞懸濁液の調製に用いる専用調製液及び専用投与機器セットにより構成される、コンビネーション製品である。</p> <p>本品から分泌されるサイトカインによる内因性神経幹細胞の増殖・分化、血管新生、免疫調節の促進等を介した神経細胞の修復作用が期待される。</p>	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善

## <製品画像>

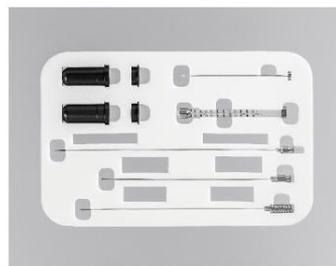


脳内移植用細胞剤バイアル



専用調製液

サンバイオ株式会社より提供



専用投与機器セット

## <先駆け審査指定制度に係る経緯>

- ・平成31年6月：先駆け審査品目（再生医療等製品）に指定。
- ・令和 4年3月：先駆け総合評価相談を経て承認申請。
- ・令和 6年7月：再生医療等製品として条件及び期限付きで承認。（承認の期限：7年）

## <臨床試験成績>

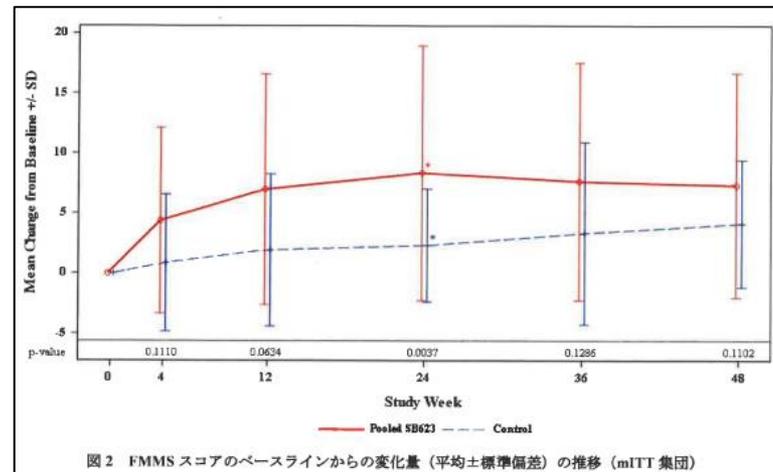


図2 FMMSスコアのベースラインからの変化量（平均±標準偏差）の推移（mITT 集団）

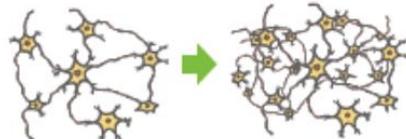
アクーゴ脳内移植用注 審査報告書より抜粋

[https://www.pmda.go.jp/regenerative\\_medicines/2024/R20240904001/331695000\\_30600FZX00001\\_A100\\_1.pdf](https://www.pmda.go.jp/regenerative_medicines/2024/R20240904001/331695000_30600FZX00001_A100_1.pdf)

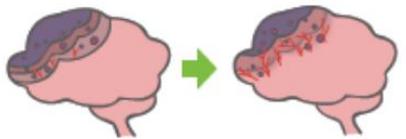
## <作用機序>



神経に作用



損傷組織に作用



サンバイオ株式会社より提供

# リアルワールドデータ活用促進事業（令和6年度）

## 1. リアルワールドデータ活用促進事業の目的

- リアルワールドデータ活用促進事業は、**薬事申請に利用できるリアルワールドデータを国内で整備するため、レジストリ又は医療情報データベースの薬事申請への利用に積極的なレジストリ保有者又は次世代医療基盤法に基づく認定仮名加工医療情報作成事業者（認定を受けるために申請中又は令和6年度中に申請予定の事業者を含む。以下「認定事業者」という。）**を選定し、選定されたレジストリ保有者又は認定事業者と機構の調査担当者との人材交流、意見交換等を通じて**双方の理解を深め、薬事水準のデータの信頼性確保の方策等に関する知識の普及を図る**ことを目的とする。

厚生労働省HP（[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_40431.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_40431.html)）

## 2. 活動概要

- 本事業は、**厚生労働省が主管し、機構が協力**することで実施する（令和5年度開始）。
- 厚生労働省は、**医薬品の薬事申請への利用を前向きに検討している国内のレジストリ保有者及び認定事業者を対象に、事業実施を希望する機関（実施機関A）を公募**する。
- 機構独自の活動として、実施機関A以外の薬事申請への活用を積極的に検討しているレジストリ保有者を対象に、実施機関Bを募集**する。
- 実施機関Aに対しては、人材交流、体制説明（現地訪問・Web会議）、成果物の作成（DB調査管理ツールその他利活用者向け資料）、説明会・勉強会を実施する。
- 実施機関Bに対しては、実施機関Aとの合同説明会・勉強会、薬事利用に必要な資料の作成（DB調査管理ツールその他利活用者向け資料）を実施する。

リアルワールドデータ活用促進事業 ⇒ 実施機関A（4機関）として活動  
機構独自の活動 ⇒ 実施機関B（7機関）として活動

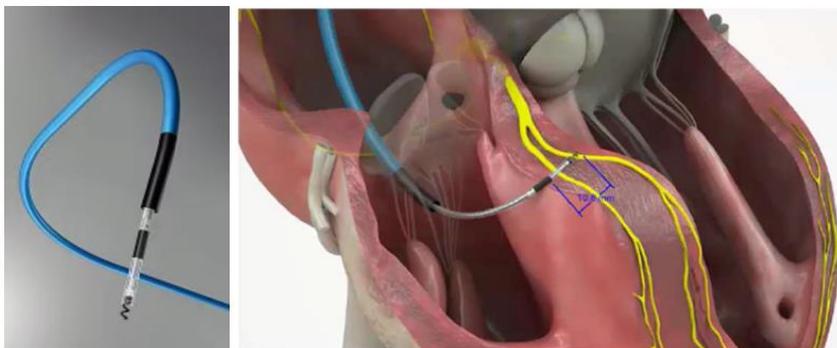
令和5年度の参加機関数

実施機関A：2

実施機関B：11

# レジストリデータを臨床試験の代替として活用した承認品目①

品目名 (製造販売業者)	品目の概要	使用目的又は効果
SelectSecureリード (日本メドトロニック株式会社)	心房又は心室のペーシング及びセンシングを行う際に使用される、スクリューイン型の双極経静脈リードである。 <u>心臓の刺激伝導系のうち左脚をペーシングするために、右室から心室中隔の左室側にリードを植え込む左脚領域ペーシングにも使用可能である。</u>	本品は、不整脈を治療するために植込み型心臓ペースメーカー等のパルス発生器と接続して体内に植え込んで使用するペーシングリードである。心臓の自己脈をパルス発生器に伝達し、パルス発生器の刺激電流を心筋へ伝達することによって心臓リズムを補正する。 なお、本品は撮像可能条件に適合する場合にのみ限定的にMRI検査が可能となる機器である。



## 左脚領域ペーシングの使用方法的追加: 2024/6/6承認

従来の右室心尖部からのペーシングは、非生理学的な刺激となり左室非同期収縮を誘発し、収縮機能不全を招く可能性がある

刺激伝導系を直接刺激する左脚領域ペーシングでは、生理的な心室内興奮伝導を維持することが期待される

## Product Surveillance Registryのデータを活用

- Product Surveillance Registryは、自社製品を対象に実施された企業主導の国際共同レジストリ。本品による左脚領域ペーシングを行った患者のデータが前向きに抽出された。
- レジストリデータを確認した結果、本品による左脚領域ペーシングの有効性及び安全性を評価可能と判断。
- 左脚領域ペーシングへの使用にあたり本品自体に変更はなく、従来の植込み方法との差分は植込み深さのみであることを踏まえ、当該レジストリデータをもって承認審査を行うことは可能と判断。
- 信頼性調査により、データの信頼性については担保されていることを確認。

# レジストリデータを臨床試験の代替として活用した承認品目②

品目名 (製造販売業者)	品目の概要	使用目的又は効果
COMBO Plus コロナリース ステント (オーバスネイチメディカ ル株式会社)	マウス抗体使用冠動脈 ステント	<p>対照血管径が2.5 mmから<b>4.0 mm</b>の範囲にあり、新規の冠動脈病変（病変長<b>33 mm</b>以下）を有する症候性虚血性心疾患患者の治療。</p> <p>ステントサイズの追加に伴い、 対照血管径 3.5→4.0 mm、病変長28 mm→33 mmに拡大</p>



<https://www.orbusneich.jp/products-stent.html>

## ステントサイズの追加:2024/8/2承認

径/長	9mm	13mm	~	23mm	28mm	33mm	38mm
2.5mm	X	X	X	X	○	○	-
2.75mm	X	X	X	X	○	○	-
3.0mm	X	X	X	X	X	X	○
3.5mm	X	X	X	X	X	X	○
4.0mm	○	○	○	○	○	○	○

X:既存サイズ ○:追加サイズ

## MASCOTレジストリのデータを活用

- MASCOT (Multinational Abluminal Sirolimus Coated Bio-engineered stent) レジストリは、COMBOステント(今回追加したサイズ含む)の市販後の有効性及び安全性を評価するために実施された企業主導の国際共同レジストリ。通常診療の一環として少なくとも1本のCOMBOステントを留置し、PCIを受けた患者を対象として登録された。
- 本邦におけるステントサイズの追加にあたり、MASCOTレジストリの二次解析により、追加ステントサイズ群と既存ステントサイズ群との比較を行い、追加ステントサイズの有効性及び安全性が臨床的に許容可能であることが示された。
- 信頼性調査により、データの信頼性については担保されていることを確認。

# SaMDに関する相談・審査体制の強化（令和6年7月1日付）

「プログラム医療機器審査室」を「プログラム医療機器審査部」に改編

## 早期実用化に向けた体制強化

- 従前の1チームによる相談・審査体制から、部への昇格及び審査員の増員により、疾患領域ごとに2チームの体制に拡充
- 各審査員の専門性をより高めた相談・審査を遂行しつつ、承認審査の考え方やガイドライン等の策定を推進

## SaMDに特化した相談枠の新設

- クラス分類や治験実施の該当性について速やかに助言するための相談枠等を新設（予定）
- アカデミアやスタートアップ企業が製品開発にかかる相談事業を有効に活用できるよう、1度の相談申込で複数回の相談が実施可能な「サブスクリプション型」相談枠を新設（予定）

## 充実した情報提供

- プログラム医療機器の審査ポイント、認証基準あるいは迅速な審査等に資する通知等の作成・発出により、承認審査や対面助言における具体的事例等を開発者にフィードバック
- PMDAウェブサイト上の「SaMD特設ページ」における情報提供をさらに充実

## プログラム医療機器審査部

### チーム1

#### 担当領域

- ・ウェアラブルデバイス用アプリ
- ・がんゲノム医療支援プログラム
- ・放射線治療計画プログラム
- ・AI画像診断プログラム 等

### チーム2

#### 担当領域

- ・精神疾患系アプリ（行動変容系）
- ・神経心理検査プログラム
- ・内視鏡画像診断プログラム
- ・医薬品投与制御プログラム 等

# スイッチOTC審査の迅速化について

「規制改革実施計画（令和6年6月21日閣議決定）」において、スイッチOTC化の承認申請から承認の可否判断までの総期間を1年以内と設定

## スイッチOTC審査の改善方策の検討

スイッチOTC WG（※）を設置し、これまでのスイッチOTC審査における臨床試験成績の活用状況等を分析

※厚生労働省・PMDA・日本OTC医薬品協会

要指導・一般用医薬品部会において報告（令和6年9月4日）

関連通知・QA発出（令和6年10月9日）

## スイッチOTCの承認申請資料の見直し（令和6年10月9日）

### ◆ 以下①③又は②③を満たす場合には、原則として、臨床試験成績の添付は不要

- ① 元となる医療用医薬品と生物学的同等性が確認されている場合
- ② 元となる医療用医薬品と同一成分及び分量並びに剤形
- ③ 効能又は効果が元となる医療用医薬品の承認事項の範囲内であり、各々の効能又は効果について用法及び用量が元となる医療用医薬品の承認事項と同一

### ◆ 元となる医療用医薬品と同一製剤でない場合は、生物学的同等性試験に関する通知及び事務連絡を参照し、実施された試験成績を添付

医薬発 1009 第 1 号  
令和 6 年 10 月 9 日

各都道府県知事 殿

厚生労働省医薬局長  
(公印省略)

「医薬品の承認申請について」の一部改正について

医薬品の製造販売の承認申請の取扱いについては、「医薬品の承認申請について」（平成 26 年 11 月 21 日付け薬食発 1121 第 2 号医薬食品局長通知。以下「局長通知」という。）により取り扱ってきたところですが、今般、スイッチOTC WGにおける報告を踏まえ、局長通知の別表 2-（2）について、下記のとおり改正しましたので、御了知の上、貴管下関係事業者、関係団体等に対し周知徹底を図るようお願いいたします。

なお、この通知は、令和 6 年 10 月 9 日以降に行われる医薬品の承認申請について適用します。

記

別表 2-（2）の「（4）要指導（一般用）新有効成分含有医薬品」の右欄「ホの 5（生物学的同等性）」及び「ト（臨床試験の成績に関する資料）」を△とする。

※「規制改革実施計画（令和6年6月21日）」（閣議決定）の内容を確実に達成するため、さらに、今後、詳細な標準的プロセスの検討を開始するとともに、**PMDAにおいて、新たな対面助言の枠組みを設置**

# 製造管理・品質管理の向上に関するPMDAの取組

## ■品質問題の予防・自主的な改善活動の促進

### ① 調査体制・調査手法の質の向上

- (1) 後発医薬品製造所等への無通告立入検査の強化
- (2) 都道府県の教育訓練の支援
- (3) 調査結果報告書・不備事項の収集・蓄積・分析等

調査当局のレベルアップ

### ② 調査関連情報の公開 リンク先 <https://www.pmda.go.jp/review-services/gmp-gms-gctp/gmp/0011.html>

- (1) ORANGE Letter (GMP指摘事例速報)
- (2) GMP/GCTP Annual Report (指摘事例の定期公表を含む)
- (3) 【課題】日本版Warning Letter制度

品質情報の「見える化」

### ③ 関連企業との対話・議論

- (1) GMPラウンドテーブル会議の定期開催
- (2) 実地相談 (医薬品革新的製造技術相談) の拡充

意思疎通の機会の拡充

## ■その他

【独立行政法人医薬品医療機器総合機構 令和6年度計画より抜粋】

### ワクチン等国家検定業務の適切な実施

- ・ 国家検定業務に係る関連規程・手順の整備等を行う。
- ・ 令和7年度以降の国家検定業務移管に備え、国立感染症研究所への派遣等を通じた国家検定の審査技能の習得・向上により国家検定業務担当者の育成を図る

<https://www.pmda.go.jp/files/000267757.pdf>

# GMP等※ 実地調査実績 《2024年4月～9月》

## 海外

66 調査

- ① 62調査
- ② 1調査
- ④ 3調査

## 国内

42 調査

- ① 14調査
- ③ 19調査
- ④ 9調査

ノルウェー  
1 調査

スイス  
1 調査

トルコ  
1 調査

中国  
18 調査

- ① 17調査
- ④ 1調査

インド  
9 調査

韓国  
7 調査

- ① 5調査
- ④ 2調査

台湾  
2 調査

マレーシア  
1 調査

インドネシア  
1 調査

カナダ  
4 調査

米国  
17 調査

- ① 16調査
- ② 1調査

プエルトリコ  
2 調査

メキシコ  
1 調査

アルゼンチン  
1 調査

※ GMP適合性調査の他、GCTP適合性調査、立入検査、施設調査を含む。

### 【内訳】

- ① GMP適合性調査
- ② GCTP適合性調査
- ③ 立入検査
- ④ 施設調査

※特に記載がない場合は①

# ① 調査体制・調査手法の質の向上 都道府県等の職員への教育支援

目的：都道府県の職員の調査能力向上及び均てん化

## GMP教育支援メニュー提供実績 (2024年4月～9月)

<b>【1】 実地調査の支援</b> (合同の立入検査、調査同行等)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 合同の立入検査: <b>9件</b></li> </ul>
<b>【2】 PMDAの研修資料等の提供</b> (導入研修、専門研修、教育マテリアル)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 導入研修(4月、都道府県の職員がWeb参加)</li> <li>• 専門研修(7月、都道府県の職員が現地参加)</li> <li>• 各研修動画・スライドの提供(更新等)</li> </ul>
<b>【3】 講習会等</b> (外部講師による講義、GMPラウンドテーブル会議)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• GMPラウンドテーブル会議(9月、都道府県の職員が現地/Web参加)</li> </ul>
<b>【4】 講師派遣・相談支援等</b> (模擬査察講師、PMDA報告書共有、相談対応)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 講師派遣: <b>8件</b></li> <li>• 国内のGMP調査結果報告書: <b>37報</b>を都道府県に共有(4月～9月調査終了分)、相談支援実施</li> </ul>

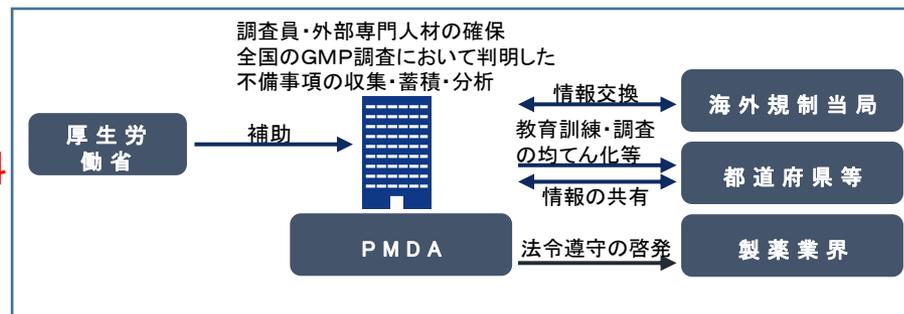
## 調査結果報告書・不備事項の収集・蓄積・分析等【2024年4月開始】

### ◆ 国と都道府県の薬事監視の速やかな情報共有を含めた連携体制の整備

⇒PMDAは、全国のGMP調査結果報告書情報を蓄積・分析  
その分析結果を都道府県等が活用できる体制を構築

### 【成果物とその活用方針】

- 重要な指摘事項の抽出・調査当局への共有
- 調査業務に係る企画立案のための基礎資料
- 調査の経時的な動向把握



# ORANGE Letter (Observed Regulatory Attention/Notification of GMP Elements)

PMDAのHPにGMP指摘事例速報を掲載【2024年度も、継続して発行】

No.	発行年月	タイトル	2024年10月時点
12	2024/1	<a href="#">リスクに応じたバリデーション計画の立案について</a>	
13	2024/3	<a href="#">使用又は出荷に不適とされた製品等の取扱いについて</a>	
14	2024/6	<a href="#">変更管理の要否の判断について</a>	Update
15	2024/9	<a href="#">後発医薬品関連製造所で最近認められた不備事例</a>	Update
16	2024/10	<a href="#">承認事項等の不遵守及び虚偽の記録作成に関する事例</a>	Update



# GMP/GCTP Annual Report

PMDAのHPにGMP/GCTP Annual Report を掲載【2023年度版を公開(2024年9月)】

Update

## Annual Report 発出の狙い

『医薬品品質情報の見える化』を通じ、以下の3点の目標を目指す。

- ① 指摘事項などの公表を通じ、**医薬品製造施設の能力や評価をオープンに**
- ② 申請実態や調査件数のデータ公表により、**日本の医薬品製造・供給の課題を検証**
- ③ PMDAのパフォーマンスを公表することにより、**行政側の課題や見直しの機会に**



# GMPラウンドテーブル会議

PMDAのHPに開催状況を掲載【第4回を開催】*Update*

～ともに学び、ともに育むクオリティカルチャー～

開催日時: 令和6年9月3日(火)

会場: 東京会場 日本橋ライフサイエンスハブ  
静岡会場 クーポール会館

参加者: 東京会場

企業担当者 59名  
都道府県GMP調査員 10名  
PMDA GMP調査員 22名

静岡会場

企業担当者 32名  
都道府県GMP調査員 3名  
PMDA GMP調査員 16名

Web聴講者

申込数 約420アカウント

## プログラム:

講演1:クオリティカルチャーの背景と業界の現状  
講演2:クオリティカルチャー醸成の大局と本質  
ショートディスカッション(各社の取り組み状況に関する情報交換)

メインディスカッション(発表・質疑応答含む)

- 第一部 製薬企業が目指すクオリティカルチャーの理想像
- 第二部 製薬企業が取り組むクオリティカルチャー活動の現実  
クオリティカルチャー醸成の課題

パネルディスカッション(全体討議・質疑応答含む)  
情報交換会

## ■ 当日の様子



開会挨拶



パネルディスカッション



東京会場



静岡会場

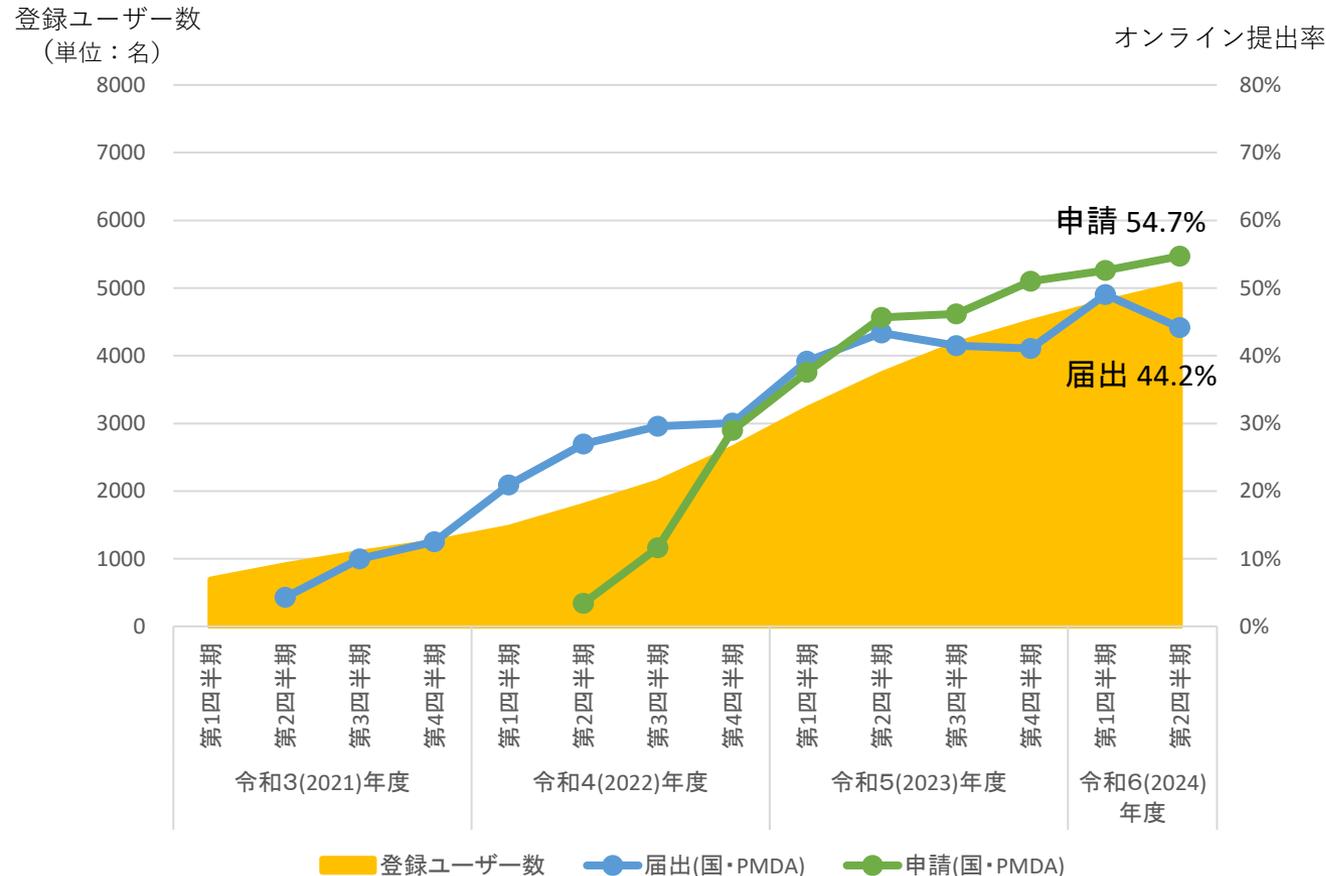
- 東京メイン会場と静岡サテライト会場の2会場をオンライン中継
- Web聴講者も含めた双方向形式による開催は今回で2回目
- 講演資料はPMDAのHPに公開済み。開催報告も後日公開予定
- 次回第5回は、2025年春頃の地方開催を予定

# オンライン提出の進捗、現状

## 届出・申請のオンライン提出

- 令和3年度以降、システム改修や業務手順の見直しを進め、オンライン提出可能な手続きを順次拡大した。
- 令和5年1月には医薬品等電子申請ソフトで作成する申請及び届出は全てオンライン提出が可能となり、オンライン提出率も増加傾向にある。

### 登録ユーザー数とオンライン提出率の推移

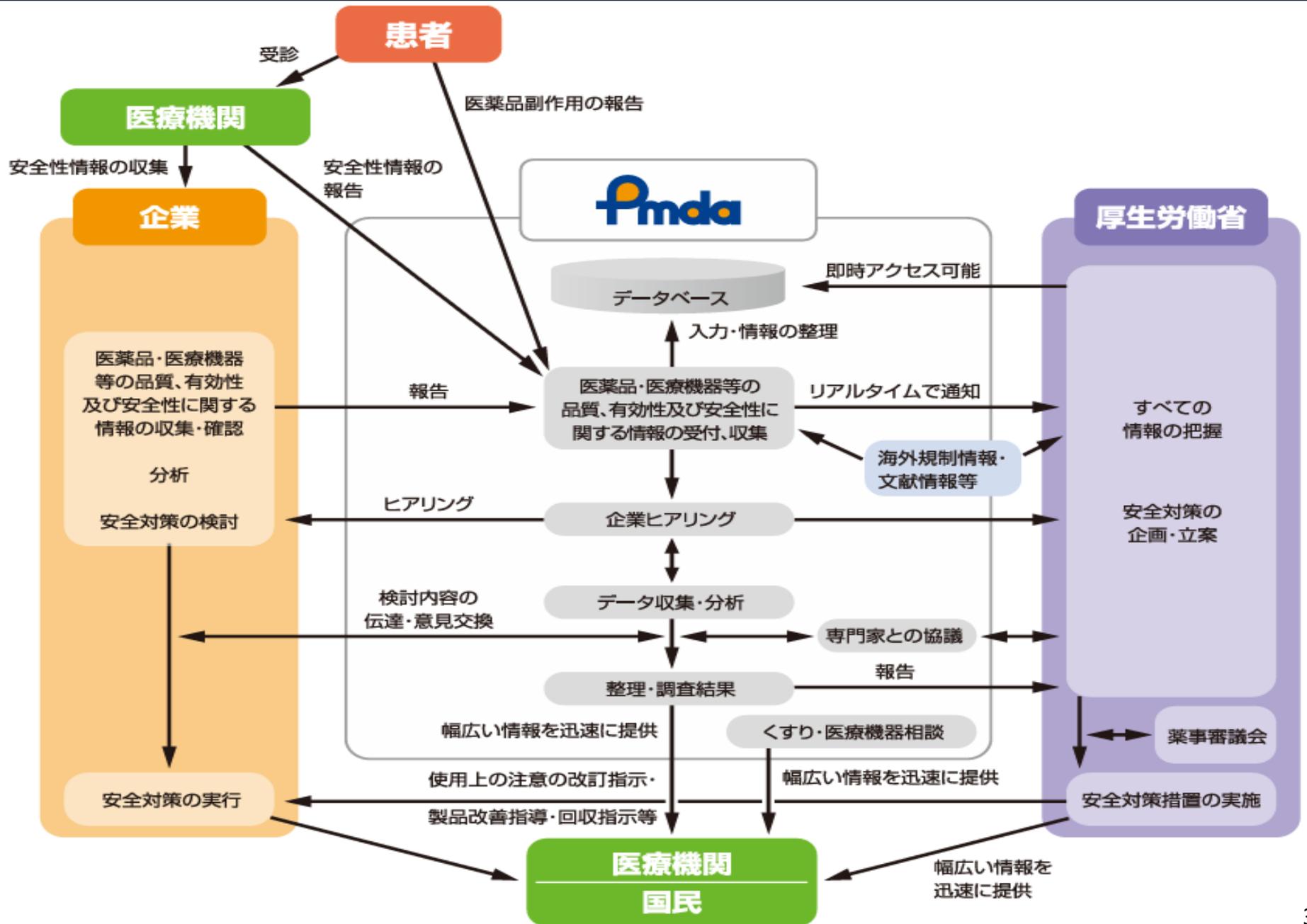


(参考) 令和5年度 オンライン提出率(平均)

品目	承認申請	届出
新医薬品	96.4%	
後発医療用医薬品	62.5%	59.7%
一般用医薬品	17.2%	
医薬部外品	21.3%	55.6%
化粧品	-	29.0%
医療機器	32.8%	30.3%
体外診断用医薬品	23.0%	32.1%
再生医療等製品	95.5%	95.3%
全体	42.7%	41.3%

## (3) 安全対策業務

# 安全対策業務の流れ



# 電子報告システム（報告受付サイト）利用周知の取組み

医薬関係者からの副作用等の報告をオンラインで報告できるPMDAの電子報告システム「報告受付サイト」の広報をさらに展開中

**NEW !**

## WEB広告

医薬関係者にターゲティングしたWEBを介した広報として、令和6年11月まで実施。

## 学会出展

医薬関係者向けの複数学会にブース出展し、対面での広報を展開。



医薬品の副作用等報告、ワクチン等の副反応報告における電子報告の割合（電送率）は、令和5年度において、それぞれ5割程度、3割程度まで増加

※開始当初（令和3年度）においては、それぞれ2割程度、1割程度

# 医療情報データベースを活用した医薬品安全対策

## 1 PMDAにおける医療情報データベース活用による安全対策（主なもの）

### (1) 使用上の注意改訂による新たな注意喚起等

- ・コロナワクチン × ギラン・バレー症候群 **NDB**
- ・ビスホスホネート製剤 × 低カルシウム血症 **MID-NET**
- ・抗うつ薬 × 血小板減少 **MID-NET**
- ・VEGF経路の阻害作用を有する薬剤 × 動脈解離 **NDB**
- ・ミロガバリンベシル酸塩 × 腎機能障害 **MID-NET**
- ・ACE阻害薬 × 肝機能障害 ※現時点での措置は不要と判断 **MID-NET**

### (2) 安全対策措置の効果検証

- ・チアマゾール投与患者における定期的な血液検査の効果（血液検査の実施状況、顆粒球減少の発現状況） **MID-NET**
- ・腎機能障害患者に関するメトホルミンの使用上の注意新設の効果（処方実態、乳酸アシドーシス発現状況） **MID-NET**

### (3) 早期安全性シグナルモニタリング

- ・エンシトレルビル フマル酸（ゾコーバ） × 臨床検査値異常 **MID-NET**
- ・チキサゲビマブ（遺伝子組換え）・シルガビマブ（遺伝子組換え）（エバシエルド） × 臨床検査値異常 **MID-NET**

### (4) 処方実態の調査

- ・COVID-19治療薬の処方実態調査 **MID-NET**

## 2 医薬品安全性監視活動へのリアルワールドデータ活用（製造販売後データベース調査）促進

### (1) 製造販売後データベース調査に関する通知・事務連絡の発出 ※以下は第4期中期計画期間中に発出したもの

- ・製造販売後データベース調査で用いるアウトカム定義のバリデーション実施に関する基本的考え方（令和2年7月31日薬機レギ長発第0731002号、薬機審長発第0731002号）
- ・「医薬品安全性監視における医療情報データベースの活用とその事例」について（令和5年6月9日厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課、医薬安全対策課事務連絡）

### (2) 医薬品疫学調査計画相談対応 ※対応が終了した件数は以下のとおり

年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度
件数	4	6	15	6	11

# 【参考】使用上の注意改訂による新たな注意喚起の例①（NDBによるもの）

## VEGF経路の阻害作用を有する薬剤 × 動脈解離

- VEGF/VEGFR阻害剤のうちベバシズマブ（遺伝子組換え）については、本剤との因果関係が否定できない動脈解離の副作用報告症例が集積したことから、2020年6月に「重大な副作用」として注意喚起
- 他のVEGF/VEGFR阻害剤においても、作用機序より動脈解離のリスクが想定されたが、個別の副作用報告症例に基づく情報のみでは評価が困難なため、NDBを活用した薬剤疫学調査を実施

### 【主な結果】

	患者数 (人)	総追跡期間 (人年)	アウトカム 発現数 (人)	粗発現率 (/10万人年)	調整発現率比* (95%CI)
ベバシズマブ (遺伝子組換え)	278,722	281,401.43	125	44.4	Reference
アキシチニブ	13,082	13,010.07	23	176.8	3.37 (2.15 - 5.28)
アフリヘルセプト ベータ (遺伝子組換え)	5,657	2,439.76	<10†	-†	4.30 (1.76 - 10.52)
スニチニブリンゴ酸塩	16,870	13,370.37	29	216.9	4.39 (2.91 - 6.60)
ソラフェニブシル酸塩	33,849	20,539.99	23	112.0	1.90 (1.21 - 3.00)
ニンテダニブエタンスルホン酸塩	20,276	21,324.71	21	98.5	1.61 (1.00 - 2.59)
バソバニブ塩酸塩	15,141	9,880.31	15	151.8	3.19 (1.87 - 5.46)
バンデタニブ	102	125.52	<10†	-†	21.47 (2.99 - 154.15)
ラムシルマブ (遺伝子組換え)	73,593	33,322.10	21	63.0	1.19 (0.75 - 1.90)
レゴラフェニブ水和物	25,691	8,721.58	10	114.7	2.22 (1.16 - 4.24)
レンバチニブメシル酸塩	20,359	13,687.92	19	138.8	2.51 (1.54 - 4.09)
カボザンチニブリンゴ酸塩	0	0	0	0.0	-

\* 調整因子：性別及び年齢（65歳未満/65歳以上）

† NDBの公表基準に基づき10未満の集計値が特定できないようマスク

➡ 各VEGF/VEGFR阻害剤における動脈解離の発現リスクは、ベバシズマブ（遺伝子組換え）と比較して同程度以上に高い傾向

対応

薬理学的作用機序も踏まえ、動脈解離はVEGF/VEGFR阻害剤に共通のリスクと判断し、使用上の注意を改訂し、「重大な副作用」の項に「動脈解離」を追記する安全対策措置を実施（2024年2月）

ミロガバリンベシル酸塩 × 腎機能障害

- ミロガバリンベシル酸塩（ミロガバリン）処方後において、腎機能障害関連事象について副作用報告症例等が存在し、安全性のシグナルが認められたことから、MID-NET®における「シグナル強化」を実施。定型の調査計画を用いる「シグナル強化」の枠組みで、ミロガバリン処方後の腎機能検査値異常発現頻度を、プレガバリンとワクシニアウイルス※をそれぞれ対照として比較

※ワクシニアウイルス接種家兔炎症皮膚抽出液の経口剤

(注) 対照薬及びデータ期間は以下のとおり（対照薬は注意事項等情報の記載状況を踏まえて設定。対照薬を変えて2回実施）

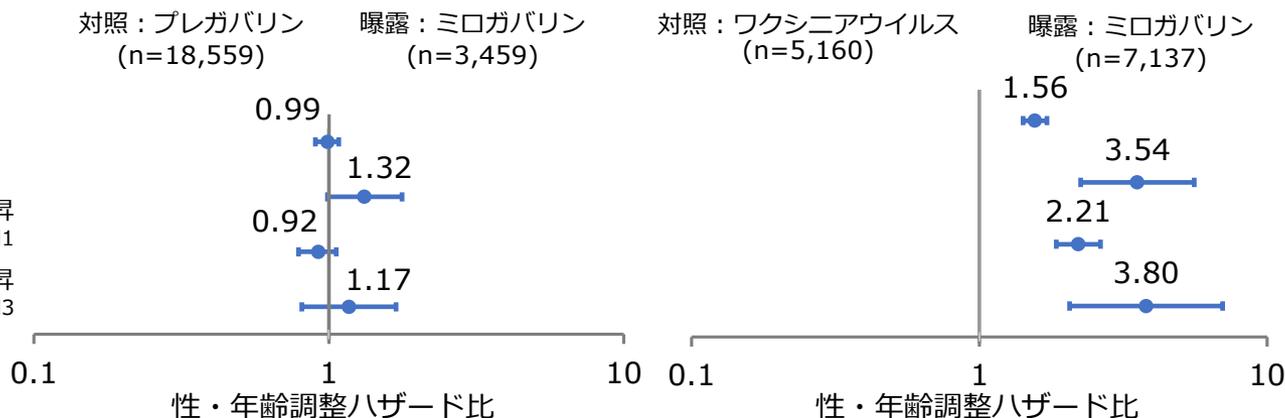
対照薬	腎機能障害に関する使用上の注意の記載状況	データ期間
プレガバリン	重大な副作用：0.1%未満：腎不全	2016年1月1日～2022年6月30日
ワクシニアウイルス	記載なし	2016年1月1日～2023年8月31日

シグナル強化の留意事項：医薬品とアウトカムの関連について速やか、かつ探索的に検討しており、調査計画及び統計解析では一部の患者背景に限定して調整。このため、本調査で医薬品とアウトカムとの間に関連が示唆されたことは、直ちにそれが医薬品の副作用であることを示すものではなく、当該アウトカムが副作用である可能性については他の情報も踏まえて検討する必要がある。

【主な結果】

ベースライン値が基準範囲内の患者（60 mL/min/1.73 m<sup>2</sup>以上）におけるハザード比。ベースライン値は、原則、初回処方日の180日前から初回処方日までの検査結果

eGFR低下（60未満）  
eGFR低下（30未満）  
血清クレアチニン上昇  
参考：KDIGO診療ガイドライン急性腎障害病期1  
血清クレアチニン上昇  
参考：KDIGO診療ガイドライン急性腎障害病期3



➡ ミロガバリンにおいて腎機能障害リスク増加の傾向が示唆

対応

腎機能障害関連の副作用報告症例及び同作用機序の薬剤の国内外注意喚起状況も踏まえ、腎機能障害リスクがあると判断し、使用上の注意を改訂し、「重大な副作用」の項に「腎機能障害」を追記する安全対策措置を実施（2024年8月）

# MID-NET®利活用の状況

本格運用開始（平成30年4月）以降の利活用承認件数（令和6年9月末時点）

	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度	運用開始からの合計
行政利活用	33	28	26	30	30	29	4	180 調査
企業利活用 (製造販売後調査)	2	1	1	3	3	4	1	15 品目
その他企業・アカデミア利活用 (製造販売後調査以外の調査)	1	1*	1	—	—	1	—	4 調査

\*令和元年度の1件は、平成30年度に分析用データセットなしで利活用承認がされたが、令和元年度に分析用データセットありに利活用区分の変更が承認されているため、令和元年度に記載している。

## MID-NET® 利便性向上や利活用促進に向けた主な取り組み

- ✓ 製造販売業者との意見交換
- ✓ 利活用に関するガイドラインの大幅改正
- ✓ 利活用者、利活用予定者に向けたMID-NET®に関する勉強会の開催
- ✓ 広報活動の見直し（パンフレットの刷新、解説動画のYouTube公開）
- ✓ MID-NET® Update 2024の開催（2024年11月28日予定）

# 患者・一般向けの「医薬品・医療機器相談」の普及啓発

- 患者・一般向けの「医薬品・医療機器相談」の普及啓発を図るため、TVアニメ『薬屋のひとりごと』とタイアップし、その一環として、ポスター・リーフレットを作成

【令和6年9月2日付けプレスリリース】

**独立行政法人 医薬品医療機器総合機構**  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

Press Release

報道関係者各位

令和6年9月2日  
(担当) 安全性情報・企画管理部長 太田 美紀  
(電話) 03(3506)9003

TVアニメ『薬屋のひとりごと』とタイアップし、くすり・医療機器の相談の普及啓発に取り組みます

患者・一般向けのくすり相談・医療機器相談の普及啓発を図るため、ポスター、リーフレットを作成

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA、理事長 藤原康弘）は、患者・一般向けの「くすり相談・医療機器相談」の普及啓発を図るため、TVアニメ『薬屋のひとりごと』（第2期 2025年放送予定）とタイアップします。その一環として、普及啓発ポスター・リーフレットの作成を行います。

◆ タイアップポスター及びリーフレット  
〔ポスター〕



© 日向夏・イマジカインフォス/「薬屋のひとりごと」製作委員会

〔リーフレット〕



© 日向夏・イマジカインフォス/「薬屋のひとりごと」製作委員会

〔令和6年度作成ポスター（A2サイズ）〕〔令和6年度作成リーフレット（A4サイズ）〕

ご存じですか？  
くすりの正しい  
使い方

私の専門は **薬** です

ふたたび  
経解きの幕が上がる

薬屋のひとりごと  
2025年第2期放送決定！

医薬品&家庭用医療機器のご相談にお答えします

PMDAの相談窓口 ☎ 03-3506-9425

9:00～17:00  
月曜日～金曜日 祝日・年末年始除く！

くすり相談窓口 初めに① ▶次に②をプッシュ  
医療機器相談窓口 初めに③ ▶次に④をプッシュ

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

医薬品医療機器相談

© 日向夏・イマジカインフォス/「薬屋のひとりごと」製作委員会

ご存じですか？  
くすりの正しい  
使い方

私の専門は **薬** です

ふたたび  
経解きの幕が上がる

薬屋のひとりごと  
2025年第2期放送決定！

医薬品&家庭用医療機器のご相談にお答えします

PMDAの相談窓口 ☎ 03-3506-9425

9:00～17:00  
月曜日～金曜日 祝日・年末年始除く！

くすり相談窓口 初めに① ▶次に②をプッシュ  
医療機器相談窓口 初めに③ ▶次に④をプッシュ

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

医薬品医療機器相談

くすり相談

医療機器相談

例えは、PMDAのくすり相談では以下のようなご質問をお受けしています

Q1 経解りから飲み始めたくすり（薬）を服用する際、どのような点にご注意する必要がありますか？

Q2 薬にアレルギーがある場合は、どのような点にご注意する必要がありますか？

Q3 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q4 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q5 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

そのほか、PMDAでは以下のようなご質問をお受けしています

Q1 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q2 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q3 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q4 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

Q5 薬を服用する際は、以下の点にご注意ください。

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

© 日向夏・イマジカインフォス/「薬屋のひとりごと」製作委員会

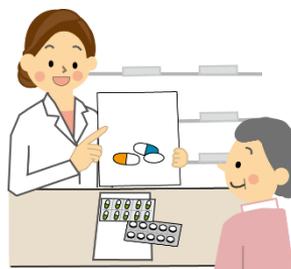


作成したポスター・リーフレットを、**全国の病院、薬局、ドラッグストア等に配布**

# 電子版お薬手帳を介した医薬品の情報提供

患者が、処方された薬について、電子版お薬手帳からPMDAホームページの一般向け医薬品情報に容易にアクセスできるよう、PMDAの統合ホームページ関連システムを改修

《お薬手帳アプリからPMDA HPの一般向け医薬品情報へのアクセスイメージ》



薬の処方

この薬のこと、もっと詳しく知りたいな…

PMDA HPの  
関連情報一覧  
を表示



電子版お薬手帳

お薬手帳アプリで患者さん自らが  
処方内容を確認  
(アプリは各アプリベンダーが作成)

患者さん自らが  
薬の詳細情報を閲覧可能

添付文書関連情報 (一般の方向け)	
一般名	XXXXX
販売名	〇〇錠
製造販売業者等	製造販売元/ 〇〇錠
患者向医薬品ガイド/ ワクチン接種を受ける人 へのガイド	〇〇錠
RMP資料	患者向け 〇〇錠を服用する方へ 副作用性 薬物性肝障害 アフリキニン 無顆粒球症 (顆粒球減少症、好中球減少症) 血小板減少症
重篤副作用疾患別対応マニュアル	
くすりのしおり	〇〇錠10mg 〇〇錠20mg-

選択した情報を  
表示

患者向医薬品ガイド



患者向けRMP資料  
(説明資料)



etc.

一般の方向け関連情報一覧の画面  
表示を、よりユーザーフレンドリーな  
デザインに改修予定(令和6年度)

# 患者への迅速・適確な情報提供・収集のための患者会との連携

- 情報提供では、PMDAホームページ、メディナビ、患者向け情報提供資材などの媒体を用いているが、ターゲットとなる使用者に確実に情報を伝達できるかが課題。情報収集では、患者からの情報収集は報告の質・量ともに課題。
  - 患者の属性は極めて多岐にわたり、多様な患者全体を対象にしたアプローチは困難であるが、希少疾患、難病等、小規模ながらネットワーク化が進んでいる患者会と連携することで、迅速・確実な情報提供、効率的な情報収集が行える可能性。
- **患者会との連携を試行的に実施**（2022年～ 日本ライソゾーム病患者家族会協議会）  
※試行の結果を踏まえ、今後、連携する患者会の数を拡大予定

## 主な取組

### 1. 新薬に関する情報提供資材の共同作成・情報提供

新たに承認された「ゼンフォザイム点滴静注用20mg」に関し、患者会と共同で情報提供資材を作成し、会員向けに情報提供（2022.5）。

また、新たに小児用法・用量の承認がされた「ガラフォルドカプセル123mg」に関し同様の資材を作成し情報提供（2023.2）。

### 2. シンポジウムへの参加

毎年8月に開催されている患者会主催のシンポジウムにPMDA職員が参加し意見交換等を実施。

### 3. 使用上の注意改訂のお知らせ

関連する医薬品の使用上の注意の改訂の際、患者会を介して速やかに情報提供を実施。

※これまでの取組については、医薬品・医療機器等安全性情報408号（2024.3）にて紹介

### ゼンフォザイム<sup>®</sup>点滴静注用20mg

製造販売業者：サファイ株式会社

#### 品目概要

- ◆ ニーマン・ピック病A型およびB型の治療薬です。  
添付文書の効能・効果はβ酸性スフィンゴリエナーゼ欠損症とされています。
- ◆ 2週間に1回、点滴静注注射されます。
- ◆ 投与時間はおおよそ18分～220分です。

#### 有効性について

- ◆ 成人の患者さんを対象とした臨床試験では、肺機能および肺容積<sup>(1)</sup>のいずれも改善効果が認められました。

注1) ニーマン・ピック病A型およびB型では、肝腫大(肝臓や脾臓が大きくなること)、肺の機能の低下などが一般的に認められます。

※ゼンフォザイムは承認後30日以内に承認後報告書が189頁

- ◆ 小児の患者さんを対象とした臨床試験でも、投与前と比較して、肺機能や肺容積の改善などが認められました。
- ◆ なお、中枢神経系症状に対する有効性は認められていません。

#### 安全性について

- ◆ 重度のインフルエンザ感染<sup>(2)</sup>や、アナフィラキシー<sup>(3)</sup>という症状が、本剤の投与中まれにみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。  
注2) 投与後およそ2週間以内に起こる。アレルギーのような症状

- ◆ また、本剤の臨床試験では、頭痛、吐き気、腰痛なども認められています。在宅中でも、気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。
- ◆ 投与量を徐々に増やす段階などで、肝機能異常があらわれることがあるため、肝機能の検査が行われます。
- ◆ 本剤は国内の治験症例が1名と非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用した患者さん全員を対象とした調査が行われる予定です。
- ◆ 長期投与における安全性は、まだ十分明らかになっておりませんが、上記の調査において、併せて確認することになっています。

この資料は、医薬品の有効性・安全性情報提供のため、医薬品の適正使用の促進や、患者さんや健康志向者に対する薬への理解を深め、適正な薬の活用を促進することを目的として、国立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と、日本ライソゾーム病患者家族会協議会（患者会）が連携し、共同で作成したものです。

医薬品の情報の届出は、添付文書等も参照してください。  
PMDA 医薬品医療機器総合機構 <https://www.pmda.go.jp/>  
お問い合わせ先：患者会等との連携は、PMDAに連絡してください。  
下記連絡先までお伝えください。  
〒100-8585 東京都千代田区千代田1-1-1 TEL: 03-6733-1151 E-MAIL: [pmc@pmda.go.jp](mailto:pmc@pmda.go.jp)

**日本ライソゾーム病患者家族会協議会**

## (4) レギュラトリーサイエンス業務

## 科学委員会設置規程等の改正（令和6年7月1日施行）

第5期中期計画では、科学的エビデンス構築の充実や情報発信力の強化等、レギュラトリーサイエンスの推進による業務の質の向上を目指すこととしている。そのため、科学委員会の運用を見直し、関連規程の一部改正等を行った。

（主な変更点）

検討課題に応じて迅速かつ柔軟な協議を可能とするため、科学委員会に置かれていた専門部会を廃止した。今後は必要に応じ専門協議を開催することで、外部専門家との意見交換等を行っていく。

## 専門部会活動実績

### 1. エクソソームを含む細胞外小胞（EV）を利用した治療用製剤

新規のモダリティとして、ウイルス安全性や、EVの不均質性（heterogeneity）をふまえた品質の確保、生産工程管理及び非臨床安全性の評価の考え方について検討し、評価における考慮事項をとりまとめた。2023年1月に公表した報告書の総説がPharm Resに掲載された。

### 2. 標的特異性を有する*in vivo*遺伝子治療用製品

各種遺伝子改変ツールの標的特異性を軸とした、新たな*in vivo* 遺伝子治療について、CAR-Tをはじめとする遺伝子治療の臨床使用経験等をふまえ、開発の留意点や評価における論点をとりまとめた。2024年7月に日本語版、8月に英訳版の報告書を公表した。

# 横断的基準作成等プロジェクトチームの発展的改編

- 「レギュラトリーサイエンスに係る横断プロジェクト実施要領」（令和6年6月21日 要領第3号）を策定
  - RS戦略会議の下で、課題解決（ガイダンス発出等）に向けた迅速かつ着実な対応を目的とした「横断PT」と課題整理・意見交換等を継続的に行うことを目的とした「意見交換WG」を設置



- 第1回RS戦略会議（R6年8月開催）にて以下を設置

## 意見交換WG

### 1. 小児用医薬品WG

- ◆ 小児用医薬品開発に係る各種案件について、国内外関係者と意見交換等を行う

### 2. 患者参画WG

- ◆ 患者との連携方針を分野横断的に検討しつつ、連携のための活動を進める

### 3. 国際共同治験WG

- ◆ 国際共同治験を含む日本人データ取り扱いや要否等について、新薬審査部門内で意見や対応の統一に取り組む

### 4. オープン医薬品WG

- ◆ 日本における希少疾病用医薬品開発促進に向け、開発促進のあり方等について、国内外に発信、関係者と議論する

### 5. コンパニオン診断薬WG

- ◆ コンパニオン診断薬の合理化等について意見交換を行う

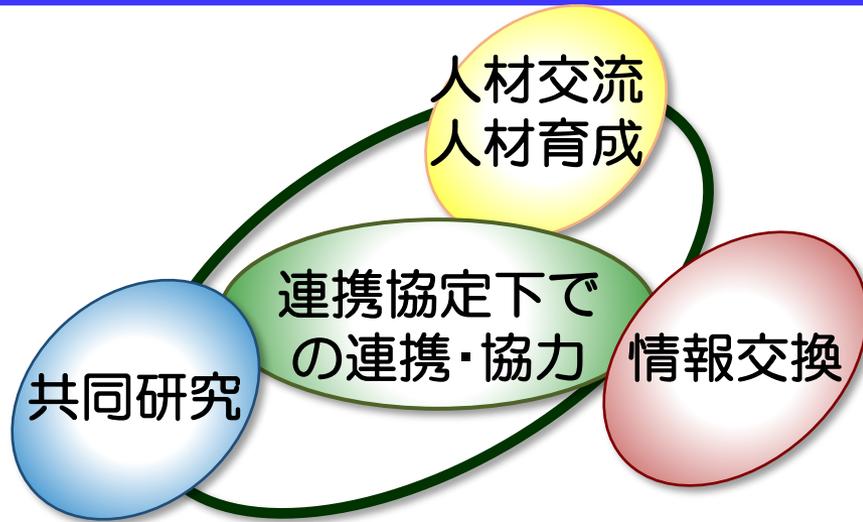
## 横断PT

### 小児開発状況に係る照会事項対応検討PT

- ◆ 相談・審査時に小児を対象とした開発状況等に関して照会事項を作成・送付する対応を整理
- ◆ 令和6年度内の文書発出を目標に関係者と調整

# 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連携・協力を進める体制を構築する。



## ○ 協定締結数: 11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)、東京科学大学(令和2年2月)、東京大学(令和2年3月)

## ○ 連携事項の概要(令和6年4月1日～10月末)

- ・人材交流 … 27名(締結先から23名、PMDAから4名)
- ・人材育成 … 14件 35名(講師派遣、意見交換会、委員会見学等)
- ・共同事業 … 15件 51名(締結先との共同研究※、薬剤部・治験管理部門での長期派遣研修等の連携プロジェクト)

※ 国立がん研究センターとの「希少がんの臨床開発の環境整備等に関する連携・協力の推進に関する個別協定」に基づくMASTER KEY Projectにかかる連絡会等

# 外部へのRS関連情報の発信

レギュラトリーサイエンス研究に従事しやすい環境を整備するとともに、職員による論文の査読付き雑誌への掲載の促進を図っている。

研究活動及び業務の成果を学術雑誌及び学会等で発表

(英語論文: 29 報、日本語論文: 9 報)

(国際講演等: 234 件、国内講演等: 562 件)

(論文及び講演の集計期間: 令和6年4月1日～9月30日分)

- 英語論文のリスト: <https://www.pmda.go.jp/english/rs-sb-std/rs/0004.html>
- 日本語論文のリスト: <https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/research/0006.html>

令和6年度の英語論文の例(令和6年4月1日～9月30日分)

- ❑ Kuribayashi *et al.*, Revisions to the requirement of the Japanese clinical study data for biosimilar developments in Japan.  
Expert Opin Biol Ther. 2024. Epub 2024 Jul 9
- ❑ Kajiyama *et al.*, PMDA Perspective on RWD/RWE Utilization for Regulatory Purposes Including Assessment on the Impacts of Regulatory Actions and Safety Risk of a Drug at Postmarketing Stage.  
Pharmacoepidemiol Drug Saf. 2024. Epub 2024 Sep 6
- ❑ Ishiguro *et al.*, Utility of Biomarker-Informed Drug Interaction Evaluation in Drug Development and Regulatory Decision Making.  
Clin Pharmacol Ther. 2024. Epub 2024 Sep 9

# 研究環境の改善及び研究成果の発信への取組み

レギュラトリーサイエンス研究における手順効率化、支援の充実などを通じて、PMDA職員による査読付き英語学術雑誌への投稿を促進

(以下について、実施済み)

- **RS戦略会議**の創設による**ガバナンス及び意思決定体制の強化**
- 研究活動に関する**相談制度**の創設による**研究環境の改善**
- **学位取得体験記**の作成による**経験の共有と学位取得支援**
- **RS表彰制度**の創設による研究活動に対する**評価の見える化**
- 論文公表手順の効率化や投稿・掲載費用の支援拡充、ハンドブックで手順の明確化等による**研究環境の改善**
- SNS(YouTube等)を介した**RS情報の積極的な発信**(研究解説動画など)

# 研究環境の充実と研究成果の積極的情報発信（計画）

（下記について、現在対応中又は検討中）

## □ 研究環境改善

- 文部科学省による研究機関指定に向け申請済み（審査中）
  - 同省担当部局（研究振興局学術研究推進課）と対応中

## □ 情報発信強化

- RS研究会の開催頻度を年2回に増加
  - 第8回：RSの視点からドラッグ・デバイスのロス・ラグ問題を考える（11月19日開催）
  - 第9回：RSの視点からバイオ医薬品の課題を考える（案）（2025年1月予定）
- RS活動報告書の新規作成

## □ 外部機関との連携強化

- 包括的連携協定・連携大学院の連携内容の具体化
  - 大学院講義の研修への取り入れ
  - 医療現場の実情の理解向上に向けた研修の充実（病院・手術見学等）
  - 機構職員の学位取得支援
  - 研究倫理教育体制の充実
  - 共同研究の拡充

## (5) 国際業務

# 【再掲】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 **設立：2024年7月1日**）

- 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）
- アジア規制連携国際シンポジウムを開催（2024年8月）  
※ASEAN諸国の規制当局・産業界・アカデミア等を招待

### (2) ワシントンD.C.事務所（場所：米国・ワシントンDC **設立：2024年11月1日**）

- 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

# PMDAが関与した主な多国間会議（成果）

会議体	活動目的	議長等	概況や成果等
ICMRA	規制当局による自発的、ハイレベルな支援組織として、医薬品の規制に対する課題の戦略的調整及び指導を行う	副議長： 藤原理事長	<p>○これまでの新型コロナウイルス感染症にかかる緊急時の多国間規制当局間の協働から、<b>平時における持続的な当局トップ間の協働</b>に向けて議論枠組みが変化。</p> <p>○PMDAはこれらの動きのうち、<b>新しい技術が将来の規制に及ぼす影響を評価・当局間で共有するプログラム（Innovation）</b>及び<b>ICMRA外の組織との広報</b>をリード。</p> <p>○次の主な<b>ICMRA文書の発出にもPMDAは貢献</b>。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- COVID-19ワクチンの安全性に関するICMRAステートメント</li> <li>- ICMRA-ICH-IPRP-PICS Joint Work Plan for Harmonisation and Convergence Work to Advance Development of a Regulatory Pharmaceutical Quality Knowledge Management Capability</li> </ul>
ICH	規制当局と業界が協働して、医薬品規制に関するガイドラインを科学的・技術的観点から作成する	管理委員会副議長： 安田執行役員	<p>○電子化の進展により<b>データを効率的に活用するためのガイドライン</b>、<b>新たなモダリティにも対応するガイドライン</b>、<b>新型コロナウイルス感染症の経験を踏まえた当局間協働を目指したガイドライン</b>の検討を開始。</p> <p>○PMDAはこれらの<b>いずれの動きにも、関与・対応</b>を進めてきたところ。</p> <p>○6年度中に整備された主なガイドラインは次のとおりであり、<b>いずれもPMDAが作成に貢献</b>。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- E11A：小児用医薬品開発における外挿</li> <li>- M12：薬物相互作用試験</li> <li>- M13A：即放性経口固形製剤の生物学的同等性 等</li> </ul>
IMDRF MDSAP	医療機器規制の国際的な整合化と収束、QMS調査機関の認定・監督を行う	IMDRF議長（2025年予定）： 安田執行役員	<p>○医療機器当局間の更なる規制整合・収束に向けて、<b>過去に作成された文書の現在の水準に合わせた高度化</b>を検討。</p> <p>○PMDAはこれらの<b>動きに、関与・対応</b>を進めてきたところ。</p> <p>○6年度中に整備された主な文書は次のとおりであり、<b>いずれもPMDAが作成に貢献</b>。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- N43：IMDRF不具合用語集（更新）</li> <li>- N9：IVDを除く医療機器の電子申請に関するToC（更新）</li> <li>- N13：IVD医療機器の電子申請に関するToC（更新）</li> <li>- N40, 47, 52, 59, 61, 63, 66, 71：N71の発行に伴う医療機器市販前審査に係る各種ガイダンス（更新）</li> </ul>
APEC- RHSC	APEC域内の薬事規制調和・収束を既にある規格基準をもとに進める	共同議長： 安田執行役員	<p>○規制調和活動の実施において優先作業領域を設定し、人材育成・規制協力を実施。</p> <p>○PMDAは優先作業領域のリード、またAPEC域内の規制当局向けのセミナー提供機関として、<b>積極的に関与・対応</b>。</p> <p>○RHSCの上部組織である<b>SCSC（規格基準委員会）の元、さらなる規制調査の活動を継続</b>。</p>

- 1) ICMRA: International Coalition of Medicines Regulatory Authorities（薬事規制当局国際連携組織）
- 2) ICH: International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use（医薬品規制調和国際会議）
- 3) IMDRF: International Medical Device Regulators Forum（国際医療機器規制当局フォーラム）
- 4) MDSAP: Medical Device Single Audit Program（医療機器単一監査プログラム）
- 5) APEC-RHSC: APEC, Regulatory Harmonization Steering Committee（APEC 規制調和運営委員会）

# 最近の主な二国間国際活動

相手国	内容
タイ (Thai FDA)	日タイ二国間会合 (令和7年2月予定)
インド (CDSCO)	日印シンポジウム・二国間会合 (令和6年7月)
インドネシア (MOH/Indonesia FDA)	インドネシア保健省：医療機器規制分野における長期研修生受入 (令和6年4月開始) Indonesian FDAとの二国間会合 (令和6年4月)
台湾 (TFDA)	第12回日台医薬交流会議・規制当局間会合 (令和6年10月)
マレーシア (NPRA)	NPRAと二国間会合 (令和6年4月) PMDA-ATC Generic Drugs Review研修 (令和5年7月)、PMDA-ATC GCP Inspection研修 (令和5年8月)
フィリピン (P-FDA)	PMDA-ATC Radiopharmaceuticalウェビナー (令和6年11月)
ベトナム (DAV)	日越二国間会合 (令和6年12月予定)
ASEAN (PPWG/AMDC)	AMDC向けPMDA-ATC 医療機器ウェビナー (令和7年2月予定)
米国 (FDA)	日米二国間会合 (令和5年5月、令和6年2月、7月)
欧州 (EC/EMA)	日欧二国間会合 (令和6年6月、令和6年11月)
デンマーク (DKMA)	日丹二国間医療機器ワークショップWeb会議 (令和6年8月) 日丹二国間PharmacovigilanceワークショップWeb会議 (令和6年12月予定)
サウジアラビア (SFDA)	日沙二国間医療機器ワークショップWeb会議 (令和6年8月)
カナダ (HC)	日加二国間会合 (令和6年10月)

1) PPWG: Pharmaceutical Products Working Group

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

(注) 別途、各国とも実務者会議を複数回実施

# 日本が参照国制度等の対象になっている主要国・地域

※括弧内は日本が対象となった年または確認した年

(令和6年9月現在)

## 1. 医薬品

国名	制度
欧州連合	• GMP・GLP調査結果受入れ (2002年)
スイス	• 医薬品審査の迅速化 (2010年)
タイ	• 医薬品審査の迅速化 (2015年) • 日本薬局方の参照化 (2019年)
台湾	• 非臨床試験の審査結果の受入れ (2016年) • 医薬品審査の迅速化 (2016年)
インド	• インドでの第3相試験の実施免除 (2019年)
インドネシア	• 医薬品審査の迅速化 (2000年)
マレーシア	• 適応追加審査の迅速化 (2004年) • <b>医薬品審査の迅速化 (2024年)</b>
ベトナム	• 日本薬局方の参照化 (2018年)
オーストラリア	• 医薬品審査の迅速化 (2019年)
ウクライナ	• 医薬品審査の迅速化 (2016年)
アラブ首長国連邦	• 医薬品審査の迅速化 (2018年)
フィリピン	• 医薬品審査の迅速化 (2022年)
エルサルバドル	• 医薬品審査の迅速化 (2023年)
ペルー	• 医薬品審査の迅速化 (2023年)
イギリス	• <b>医薬品審査の迅速化 (2024年)</b>
エジプト	• <b>医薬品審査の迅速化 (2024年)</b>

## 2. 医療機器及び体外診断用医薬品 (IVD)

国名	制度
台湾	• 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 (2018年)
シンガポール	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2010年)
マレーシア	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2014年)
メキシコ	• 医療機器審査の迅速化 (2012年)
インド	• 日本の医療機器及びIVDのQMS調査結果受入れ (2015年) • インドでの臨床試験の実施免除 (2017年)
オーストラリア	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2018年)
ベトナム	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2018年)
タイ	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2019年)
エルサルバドル	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2023年)
ペルー	• 医療機器及びIVD審査の迅速化 (2023年)
ブラジル	• <b>医療機器及びIVD審査の迅速化 (2024年)</b>
コロンビア	• <b>医療機器及びIVD審査の迅速化 (2024年)</b>
エジプト	• <b>医療機器及びIVD審査の迅速化 (2024年)</b>

(その他) 日本の医療機器の承認/認証制度の仕組みは、WHOの「Global model framework」(参考にするべき規制体系)として推奨

# アジア医薬品・医療機器トレーニングセンター オンライン教材

- 2020年1月よりオンライン教材として、PMDA-ATC Eラーニングの提供を開始しました。オンラインセミナーの事前学習として活用するとともに、セミナー参加者以外にも公開し、PMDAの主な業務、国際規制調和に向けた活動等に関するコンテンツを提供しています。

## オンライン教材 (一般公開)

PMDAの主な業務、国際規制調和に向けた活動等を、PMDA YouTubeチャンネルにて紹介しています。令和5年度は10コンテンツを新規掲載しました。

カテゴリ	コンテンツ数 (新規作成)	You Tube再生回数 (2023年4月～ 2024年3月)
審査	22(5)	14,541
安全対策	10(5)	10,147
救済	3	162
医療機器	8	3,628
GXP	7	5,853
PMDA Efforts	9	1,990
総再生回数		<b>36,321回</b>

## E-ラーニングコース (事前登録制、規制当局担当官のみ)

E-ラーニングシステム(PMDA ATCポータル)を介して、規制当局担当官向けのトレーニングコースを提供しています。

\* 受講中又は受講完了者数

コース	コンテンツ数	受講者数* (2023年4月～ 2024年3月)
品質管理 (ハーバルメディシン)	16	74
医療機器	12	84
医薬品審査	12	60
国際共同治験	11	76
医薬品安全監視 (ファーマコビジランス)	15	115

# アジア主要国との規制協力対応 ～2023年度実績及び2024年度対応～

	2023年度実績	2024年度の主な対応
規制枠組み	<ul style="list-style-type: none"> <li>・マレーシア：交渉の結果、日本を参照国指定</li> <li>※企業のリライアンスの枠組み活用は低調</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ベトナム：（ベトナムの）薬事法改正に協力</li> <li>・業界にリライアンスの枠組み活用を促進</li> </ul>
当局間コミュニケーション	<ul style="list-style-type: none"> <li>・（中国・インドを除き）ほとんどの国で当局間コミュニケーションが改善</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・中国・インドとの当局間コミュニケーションを活発化</li> <li>※タイ、インドネシア、シンガポールの長官交代に備える必要あり</li> </ul>
アジアMRCT推進	<ul style="list-style-type: none"> <li>・シンポジウム（タイ）、ATC/MRCTセミナー等 で対応</li> <li>※今後も治験届等について各国と要調整</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・PMDAアジア事務所とNCCバンコク事務所との連携</li> </ul>
トレーニング	<ul style="list-style-type: none"> <li>・要請があった二国間セミナーを実施</li> <li>※ベトナム・インドからの参加が無い／少ないことが課題</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ニーズを聴取し、二国間（+複数国）セミナーを充実</li> <li>・ベトナムは言語、インドはパスポート等の課題解決に向けて対応中</li> </ul>
長期研修	<ul style="list-style-type: none"> <li>・インドネシア保健省からの研修生受入の準備</li> <li>・JICAスキームの活用検討</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・インドネシア保健省からの研修生受入れ開始</li> <li>・JICAスキームの活用促進</li> </ul>
アジア事務所	<ul style="list-style-type: none"> <li>・アジア事務所の設立準備</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・アジア事務所を開設し、タイ国内の日系企業からの要望聴取などの活動を開始</li> <li>・ハブとして、各国のニーズとトレーニングを繋ぐ</li> </ul>

※二国間協議では、規制調和に向け、ICMRA/ICH等への参加に向けた働きかけも継続して実施  
 ※アジア規制当局トップとの共通課題の議論はアジアネットワーク会合で実施（2024年4月24日）

## (6) 管理業務

# 副作用拠出金・感染拠出金・安全対策等拠出金 申告・納付手続きのオンライン化による事務手続きの効率化

令和6年度一部企業協力の元、試行的に実施、令和7年度より本格稼働を予定

## 申告書類のオンライン授受

<効果>

・従来紙でやりとりしていた申告書類をオンライン上で授受することにより、申告者・PMDA双方の事務手続きが効率化。

## 申告書類の電子化

<効果>

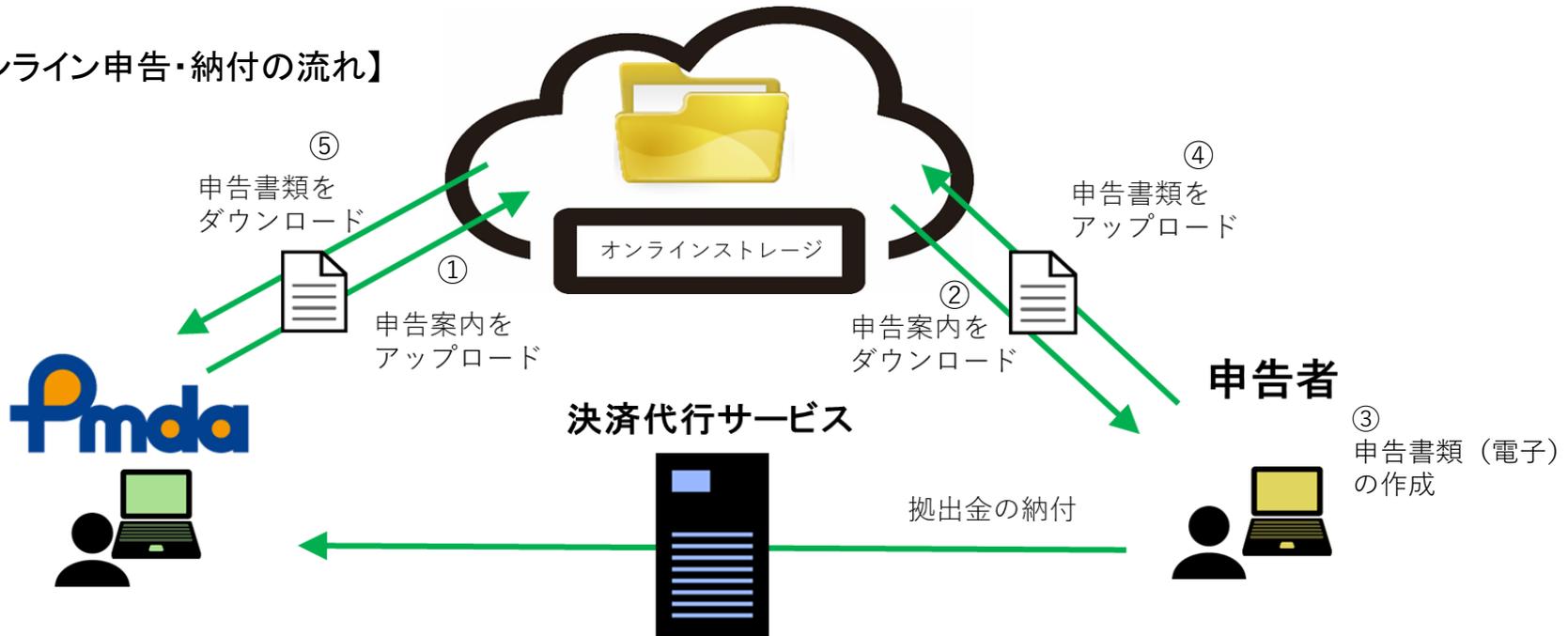
・申告書類の電子フォーマット化により、これまで申告者が行っていた記入・計算作業が縮減。  
・申告内容の一括取込によりPMDAの入力作業が効率化。

## オンライン決済代行サービスによる拠出金納付

<効果>

・従来の銀行窓口で納付書を用いて支払う方法に加え、納付手段を増やし、利便性が向上。

## 【オンライン申告・納付の流れ】



# 業務プロセスの見直しに関する主な取組内容（1 / 2）

## 1. 人事給与システム、勤怠管理システムの更改

### 【目的】

- ・業務フローの抜本的な見直しにより、少ないコスト（時間・手間・費用）で適切に人事給与・勤怠管理を行うことができる体制の実現。

### 【主な取組み内容】

- ・人事給与・勤怠管理の業務プロセスや運用について標準化・簡素化を実施。新プロセスに基づいた「人事給与・勤怠管理システム」を構築し、2024年2月から運用を開始。
- ・具体的には、勤怠申請等における承認階層の適正化、超過勤務時間実績の自動集計・資料の自動出力等を実現。
- ・年間業務量の削減効果（期待値）は、給与・厚生業務で約3%、勤務管理業務で約20%。

## 2. 機構主催の会議について、効率的な資料配布とリスクコントロールの実現

### 【目的】

- ・機構主催の各種会議や委員会の資料配布の効率化（原則ペーパーレスとし、ファイル共有システムを活用）。同時に、配布資料の効率的なリスクコントロールの実施。
- ・会議準備における職員の業務負荷の軽減、経費削減と環境に配慮した業務運営の実現。

### 【主な取組み内容】

- ・2022年3月よりファイル共有システムの効果的・効率的な利用を開始。2024年10月時点で91の会議を対象に利用中。
- ・利便性の追求とリスクコントロールに配慮しつつ、順次利用機能の拡充と対象会議の範囲拡大を検討。

# 業務プロセスの見直しに関する主な取組内容（2 / 2）

## 3. 来訪者自動受付システムの導入

### 【目的】

- ・ 機構の総合受付業務の効率化（呼び出し業務の自動化、来訪者台帳の自動作成等）と経費削減。併せて来訪者の入退室管理厳格化によるより一層のセキュリティの強化。

### 【主な取組み内容】

- ・ 6F総合受付及び19Fエレベーターホールに、受付タブレットを設置。来訪者は、機構側担当者から予め送付されたQRコードをかざし、自動チェックインを行う。
- ・ 年間経費の削減効果は、約459万円（導入前から約58%減）。

## 4. 電話対応体制の整備と品質改善

### 【目的】

- ・ 国民の健康・安全の向上に積極的に貢献するとしたPMDAの理念の具現化に向けて、電話相談者が抱える課題の円滑な解決に資する仕組みや職員が気持ちよく働けるための体制・ルール・スキルの整理を図ることで、CX（国民体験価値）とEX（職員体験価値）向上を実現。

### 【主な取組み内容】

#### （1）高品質な電話対応・人材育成

- ・ 対応マニュアルの整備及び定期的な更新を通じて、相談者に寄り添った対応による満足度の高い電話対応を実施。
- ・ 担当職員の研修及び上席との連携体制を整備。

#### （2）システムの有効活用と効率的な電話対応

- ・ IVR（電話自動振分け録音システム）導入…相談者が適切な窓口を選ぶことができる体制を構築。
- ・ より効率的・効果的な電話対応の実現に向け、IVR対象窓口の拡大等を検討。

# 経営管理高度化に向けた主な取組内容（R6. 8～）

## 1. 的確且つ合理的な経営判断の実現に向けた課題の整理と方針等の検討

### 【目的】

- ・ 長期に亘り安定的な財政運営を実現するため、各種経営指標や客観的データに基づいた経営判断が行えるガバナンス体制の構築。

### 【主な取組み内容】

#### （1）財務管理の高度化

- ・ 財務分析の深化、予算実績管理の強化
- ・ ベンチマーク分析（他独立行政法人、FDA/EMA）
- ・ 財政推計の作成
- ・ 組織運営に資する経営指標の定義、検討等

#### （2）非財務分野の管理体制強化

- ・ 非財務分野の管理対象業務の洗い出し
- ・ 戦略目標に紐づく経営指標導入に向けた検討等

## 2. 内部統制の強化に向けた標準業務手順書の整備及び定着

### 【目的】

- ・ 内部統制が取れた組織運営を実現するためには、標準業務手順書（SOP）の構築、SOPに沿った業務運営が必須。一方、機構全体を俯瞰すれば対応は未だ道半ばであることから、統一感のあるSOP整備の加速と運営管理の強化。

### 【主な取組み内容】

- ・ 各部署への業務内容に係るヒアリングの実施
- ・ 部署横断業務、各部共通業務のSOP作成
- ・ 作成したSOPの浸透、定着を企図した施策の検討
- ・ SOPを管理、運用する体制の構築