

医療機器開発の支援と審査

-薬事戦略相談を何故活用して欲しいか-

The Japanese Regulatory Agency—

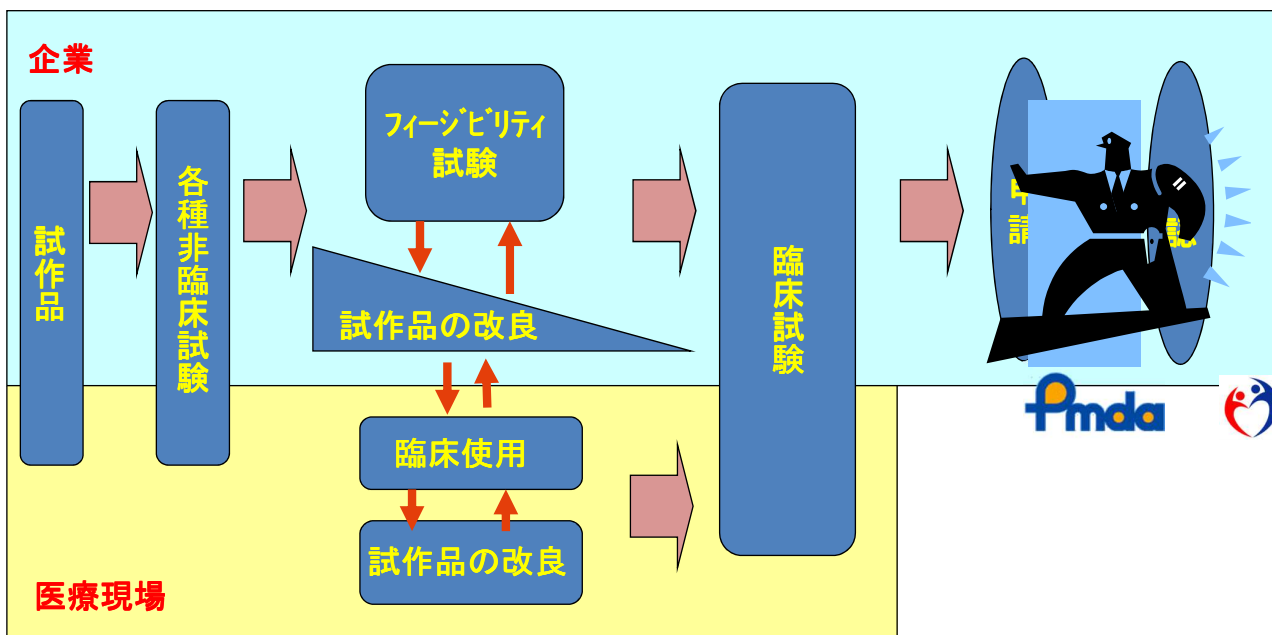
Excellence in protecting public health

Advanced regulatory science

Global partnership and harmonization

(独)医薬品医療機器総合機構
関西支部長 田村 敦史

医療機器の開発プロセスにおけるPMDAの役割



PMDAの理念

わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の**審査**及び**安全対策**、並びに**健康被害救済**の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点での確かな判断を行います。
- 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

3

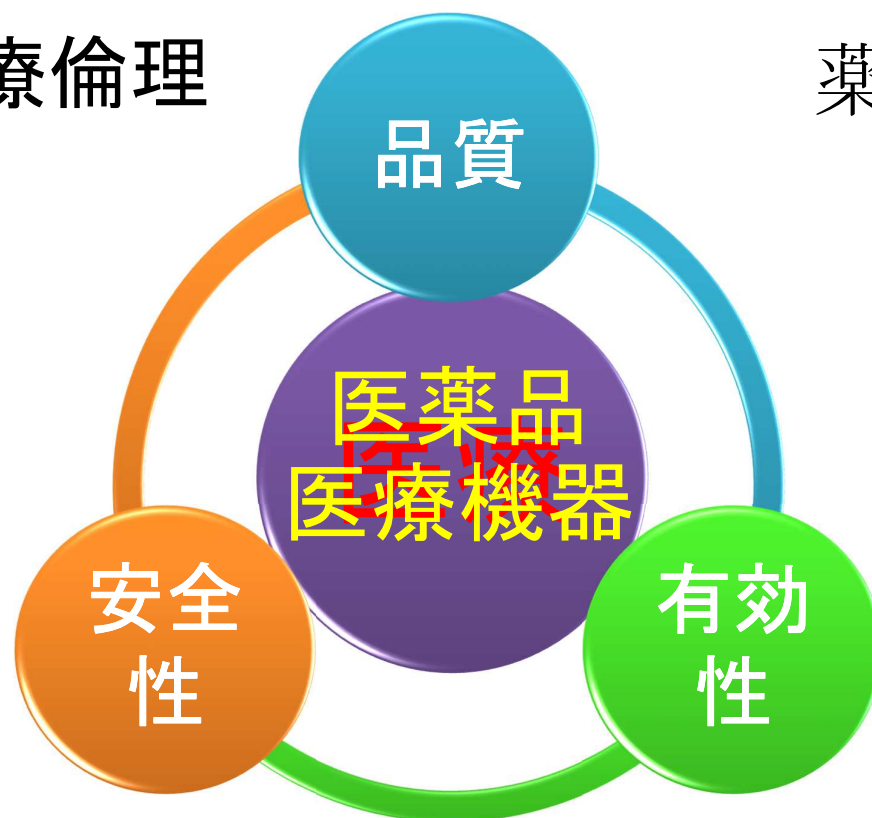
薬事とは

- 医療等に提供される医薬品・医療機器等の**品質、有効性、安全性の確保**の為の規制や、**新薬、医療機器の研究開発を促進**の為の必要な措置を講ずることにより保健衛生の向上を図ることにある。ここでは、常に**信頼性確保**が求められる。
- 医療: Individual Medicine (Health)
- 薬事: Public Medicine (Health)

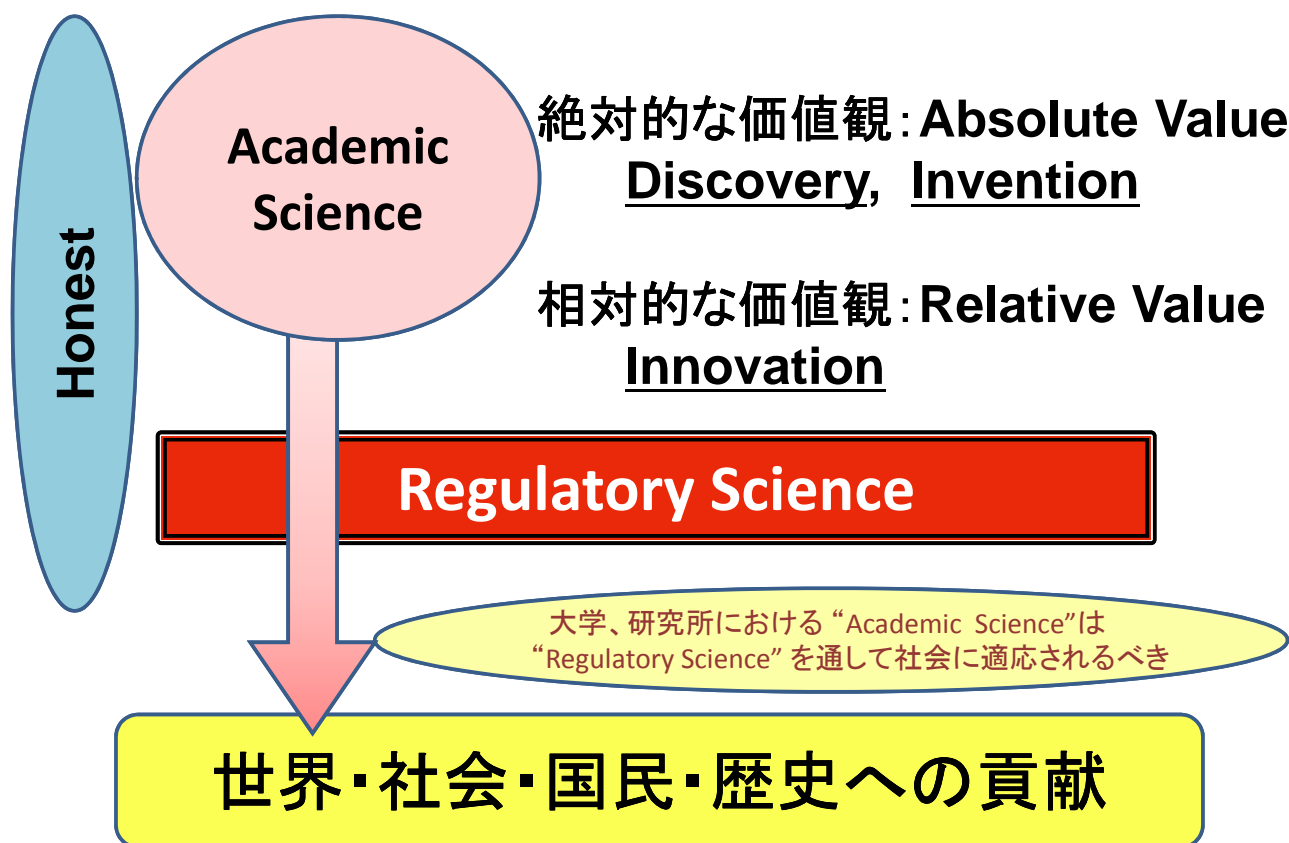
4

医療倫理

薬事



科学の良心



PMDA関西支部

7

関西イノベーション 国際戦略総合特区

「関西イノベーション国際戦略総合特区」の要望として、京都府、大阪府、兵庫県、京都市、大阪市及び神戸市より提案された「**PMDA-WEST機能の整備等**」について、国と地方の協議会において提案の実現に向けた協議を行った結果、平成25年10月に実現したもの

PMDA薬事戦略 相談連携センター
医薬品医療機器総合機構関西支部

PMDA-WEST機能の整備

医薬品医療機器 総合機構

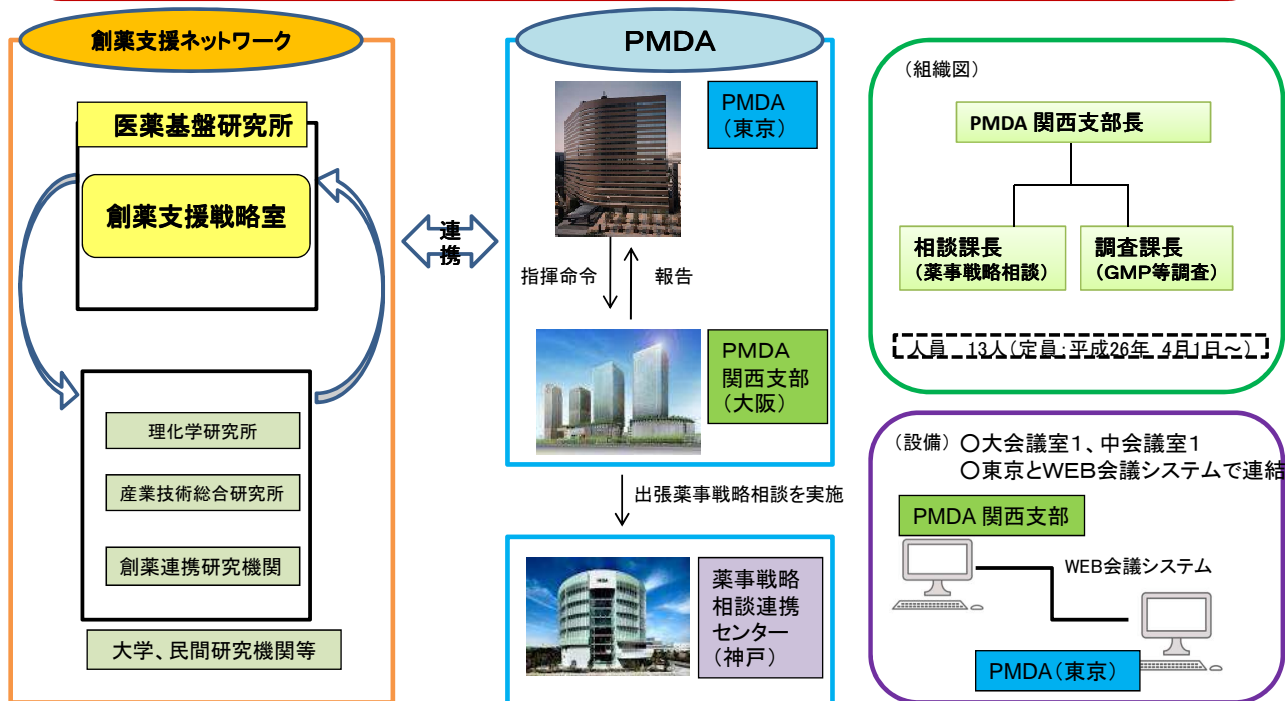
日本発の革新的医薬品・医療機器の創出！！

和歌山県

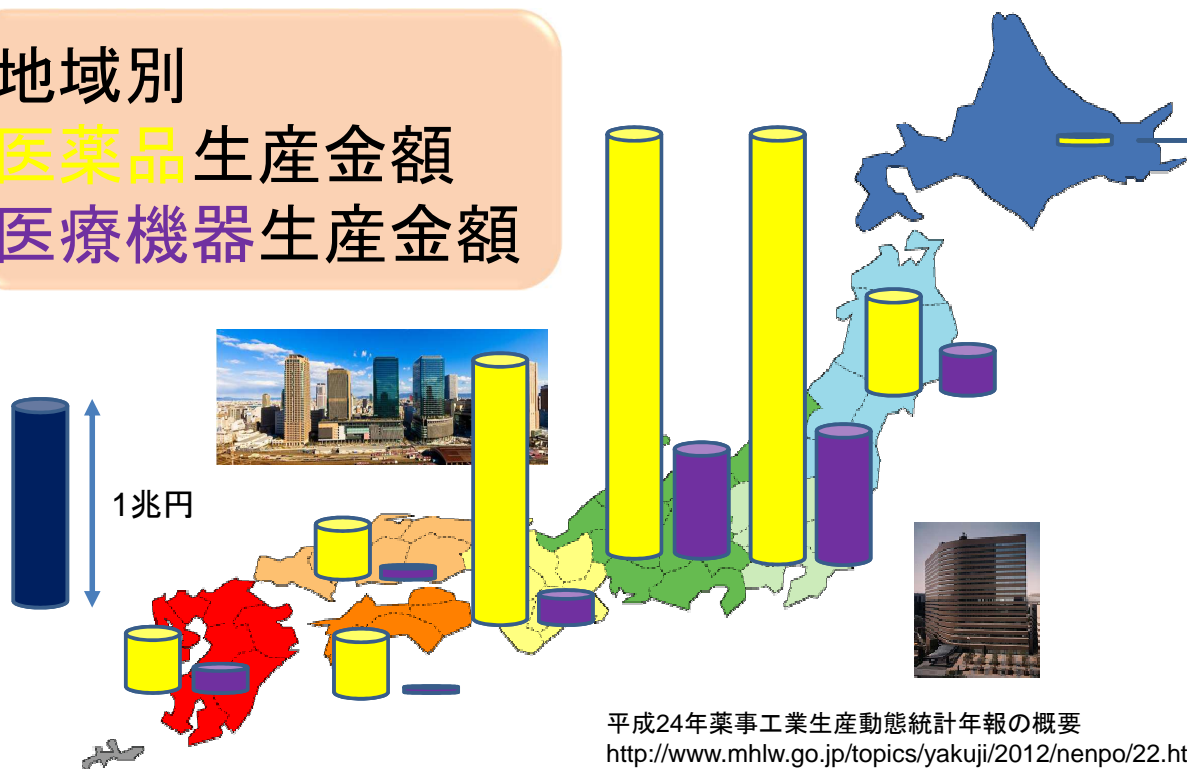
8

PMDA関西支部について

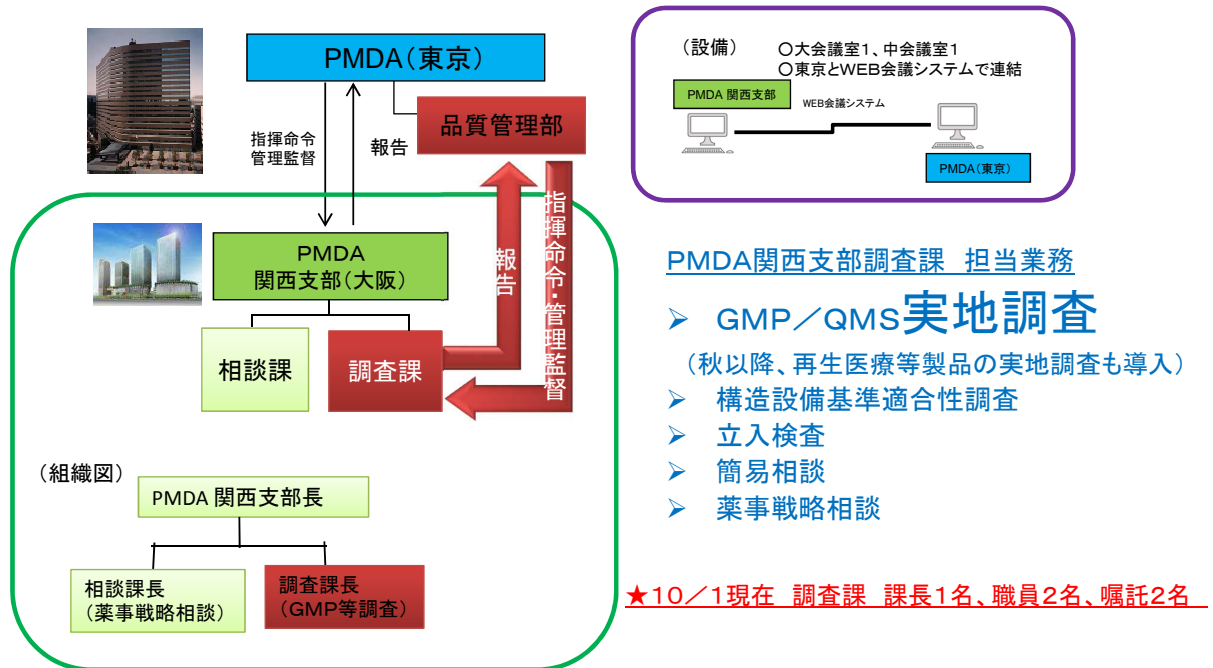
- 【設置場所】 **うめきた・グランフロント大阪ナレッジキャピタル 9F** (大阪市北区大深町3-1)
「薬事戦略相談連携センター」(神戸市内のIMDA:国際医療開発センター内)においても出張薬事戦略相談を実施。
- 【設置時期】 平成25年10月1日
- 【実施業務】 ①**薬事戦略相談**(個別面談・事前面談。平成25年10月1日開始)
②**GMP等実地調査**(平成26年4月1日開始)



地域別 医薬品生産金額 医療機器生産金額



関西支部調査課の設置(平成26年4月1日～)



4

関西支部 調査課の業務

PMDAの調査組織として ◆調査レベルの平準化 ◆情報の共有化

➤ GMP/QMS実地調査

東京の品質管理部の職員とチームを組んで実施

(秋以降、再生医療等製品の実地調査も導入)

➤ 簡易相談

東京の品質管理部の指示に基づきチームを組んで実施

大阪での面談を希望される場合は、関西支部で面談も考慮

➤ 薬事戦略相談




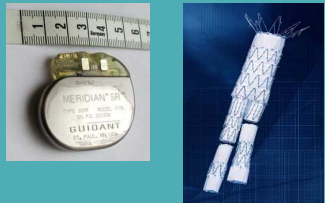
東京の品質管理部の指示に基づきチームを組んで実施

対面助言は、東京で実施。

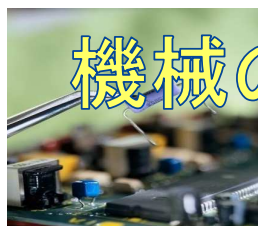
医療機器を開発する

医療機器の分類と規制

小 ← リスク → 大

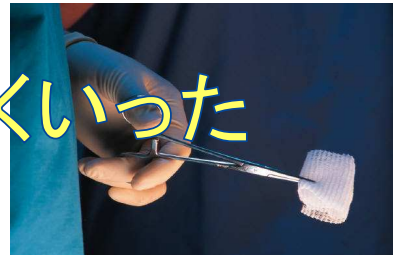
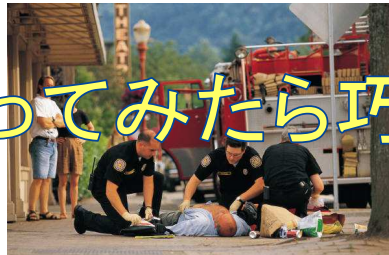
国際分類 (注1)	クラス I	クラス II	クラス III	クラス IV
具 体 例	<p>不具合が生じた場合でも、<u>人体へのリスクが極めて低い</u>と考えられるもの</p> <p>(例) 体外診断用機器、鋼製小物 (ス・ピンセット等) X線フィルム、歯科技工用用品</p> 	<p>不具合が生じた場合でも、<u>人体へのリスクが比較的低い</u>と考えられるもの</p> <p>(例) MRI装置、電子内視鏡、消化器用カテーテル、超音波診断装置、歯科用合金</p> 	<p>不具合が生じた場合、<u>人体へのリスクが比較的高い</u>と考えられるもの</p> <p>(例) 透析器、人工骨、人工呼吸器</p> 	<p>患者への侵襲性が高く、不具合が生じた場合、<u>生命の危険に直結する恐れ</u>があるもの</p> <p>(例) ペースメカ、人工心臓弁、ステントグラフト</p> 
	業事法の分類	一般医療機器	管理医療機器	高度管理医療機器
規制	届出	第三者認証(注2)	法改正で拡充 大臣承認(PMDAで審査)	

医療機器の開発



機械の開発には自信がある

直ぐに医療機器になるだろう



実際に使ってみたら巧くいった

↳ 医工連携

「魔の川」、「死の谷」、「ダーウィンの海」

基礎研究

技術開発

事業化

産業化



革新的研究

規制への適応



財源の確保

効率的な開発戦略

特許取得



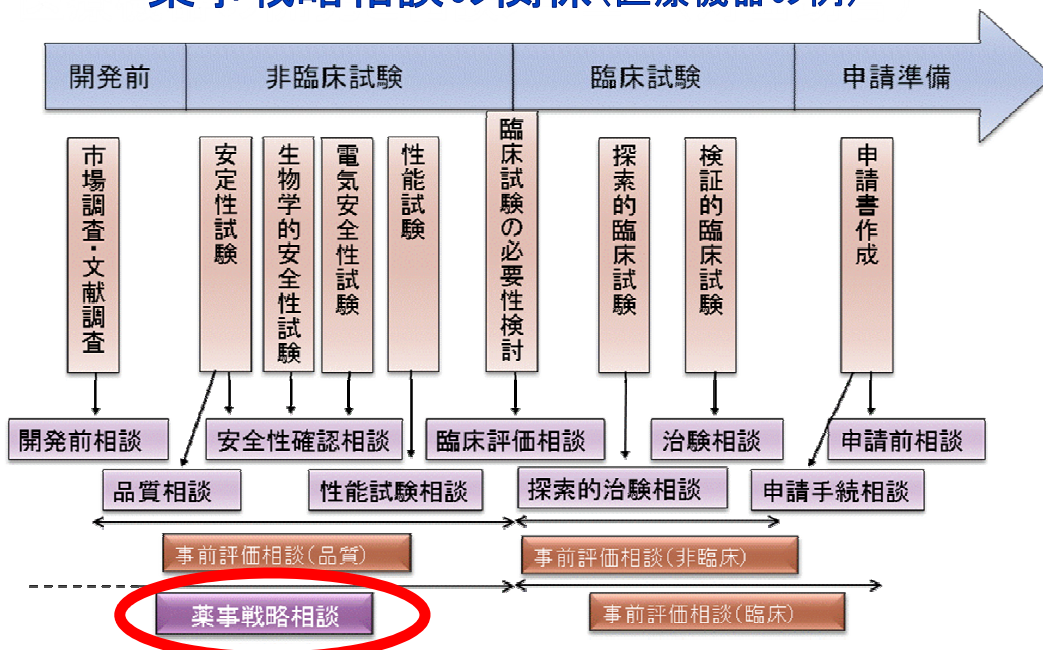
医療上の必要性

医療機器の開発プロセス

相談業務

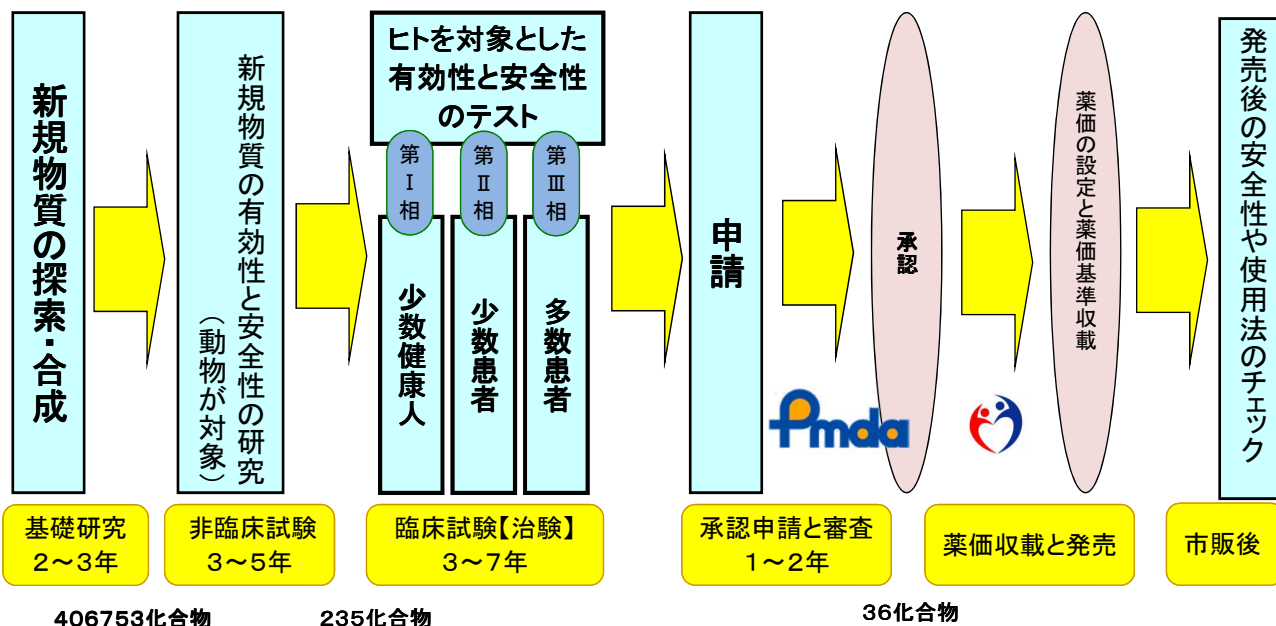


PMDAで実施する開発関連の各種の相談と薬事戦略相談の関係(医療機器の例)



※相談区分、相談手数料は改正薬事法及び相談事業充実のため、9/25からパブリックコメントを行い、11/25改正施行予定のため、直近情報はPMDAホームページをご確認ください！

医薬品の基礎研究から市販後までのプロセス



製薬協によれば、上市した1医薬品あたり、研究開発費は500億円、販売促進費等を含めた総費用は1,200~1,900億円

【出典】日本製薬工業協会

(国内企業18社の例: 1995~1999年)

慶応大学医学部クリニカルリサーチセンター三宅真二 一部改変¹⁹

ICHガイドライン

参考 http://www.pmda.go.jp/ich/ich_index.html

品質 (Q)

- 安定性
- 分析バリデーション
- 不純物
- 生物薬品の品質
- 規格及び試験方法
- GMP
- 製剤開発
- 品質リスクマネジメント

安全性 (S)

- がん原性試験
- 遺伝毒性試験
- トキシコキネティクスと薬物動態
- 毒性試験
- 生殖発生毒性試験
- バイオテクノロジー
- 応用医薬品
- 薬理試験
- 免疫毒性試験

有効性 (E)

- 臨床上的安全性
- 治験報告書
- 用量-反応試験
- 民族的要因
- GCP
- 臨床試験
- ゲノム薬理学
- 臨床評価

複合領域 (M)

- ICH国際医薬用語集
- 医薬品規制情報の伝送に関する電子的標準
- 臨床試験のための非臨床試験の実施時期
- CTD**

Q5A: ヒト又は動物細胞株を用いて製造されるバイオテクノロジー応用医薬品のウイルス安全性評価

Q5D: 生物薬品 (バイオテクノロジー応用医薬品/生物起源由来医薬品) 製造用細胞基剤の由来、調整及び特性解析

など

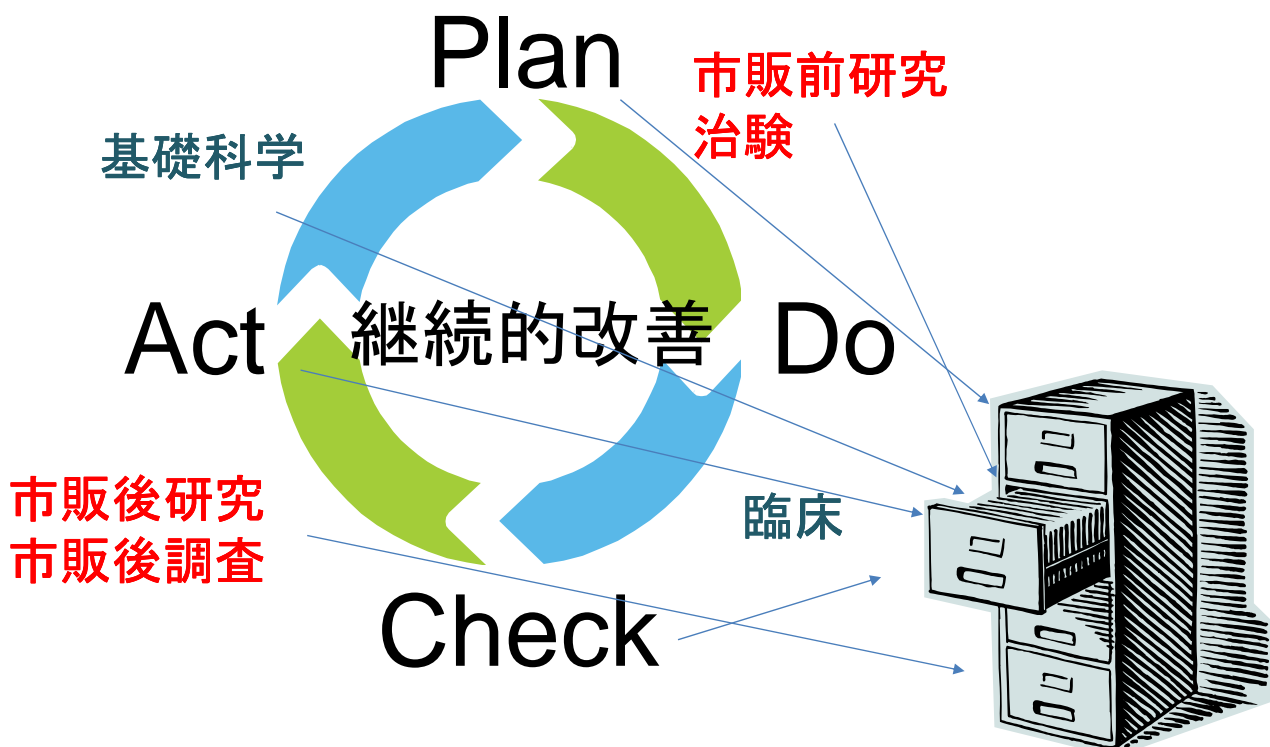
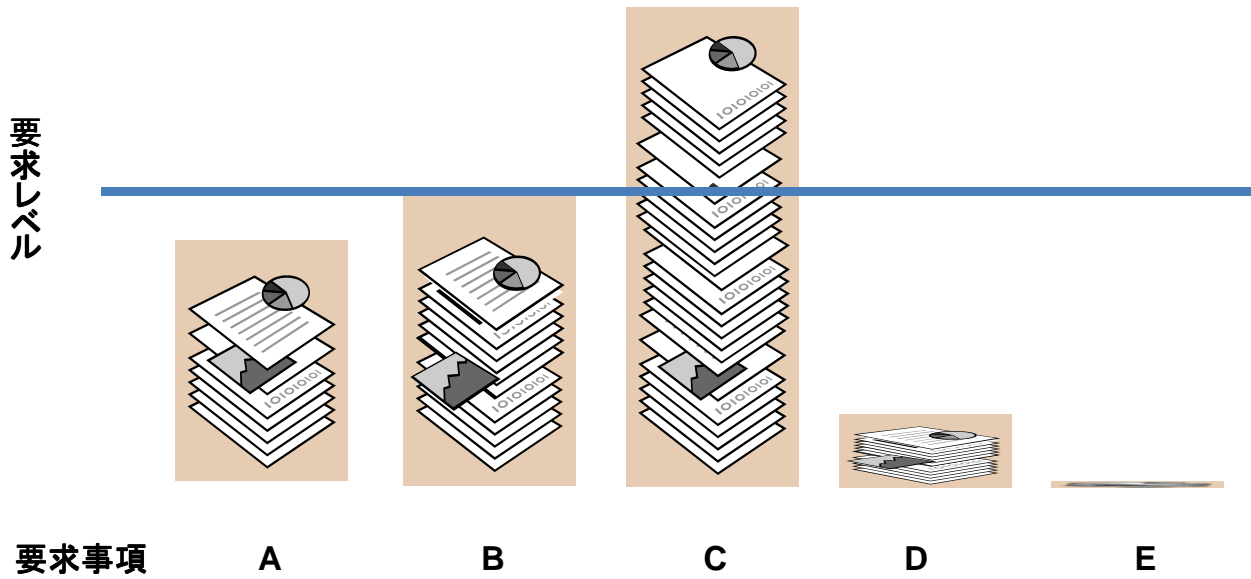
E8: 臨床試験の一般指針

E9: 臨床試験のための統計的原則

E10: 臨床試験における対照群の選択とそれに関連する諸問題

など

医療機器の申請資料



健康・医療戦略

(平成25年6月14日内閣官房長官・厚生労働大臣・関係大臣申合せ)

基本理念(3つの理念)

- 健康長寿社会の実現
- 経済成長への寄与
- 世界への貢献

そのための
戦略

— 研究開発推進体制の整備～オールジャパンで支援体制を整備～

- 日本版NIHの創設
 - 創薬支援ネットワークと緊密に連携するPMDA相談事業の整備・強化
- PMDAの強化
- 薬事戦略相談事業の拡充・強化～開発に見通しを与え、迅速な実用化へ～
 - PMDA自らが臨床データ等を活用した解析や研究を推進 等

創薬・創医療機器をどう支えていくか

- 研究を担う人材の確保
- ニーズとシーズの橋渡し
- ガイダンス・ガイドラインの整備
- 新しい評価手法等の開発・適用

世界に先駆けた革新的技術の実用化へ

iPS細胞等の再生医療製品

革新的な医薬品

最先端の医療機器

開発

承認審査

製造販売後



有望なシーズ

薬事戦略相談(平成23年度～)

有望なシーズを開発の次段階に結びつける支援

科学委員会(平成24年度～)

国内トップクラスのアカデミアとの連携を強化し、最先端技術への対応を検討

革新的医薬品等実用化促進事業(平成24年度～)

アカデミアとの人材交流→最先端技術の評価方法の確立を支援・人材を育成

最先端技術
製品



**医療情報
データベース
基盤整備事業
(平成23年度～)**

安全対策の充実

レギュラトリーサイエンス研究を推進するために
増員等による体制強化が必要

- 審査・相談等の高度化
- 開発から承認までの期間短縮
- 革新的技術の実用化支援

世界に先駆けた
最先端医療の実用化

レギュラトリーサイエンスの推進

連携大学院制度

PMDAの職員が社会人入学の形で大学院生となる又は大学院生が修学職員となり、PMDAの業務に従事しつつ、PMDA業務に関連した研究を行うことにより、学位取得を目指す制度

PMDA

連携

大学院

連携大学院協定等の締結

- 連携教授等(PMDA部長等)の配置

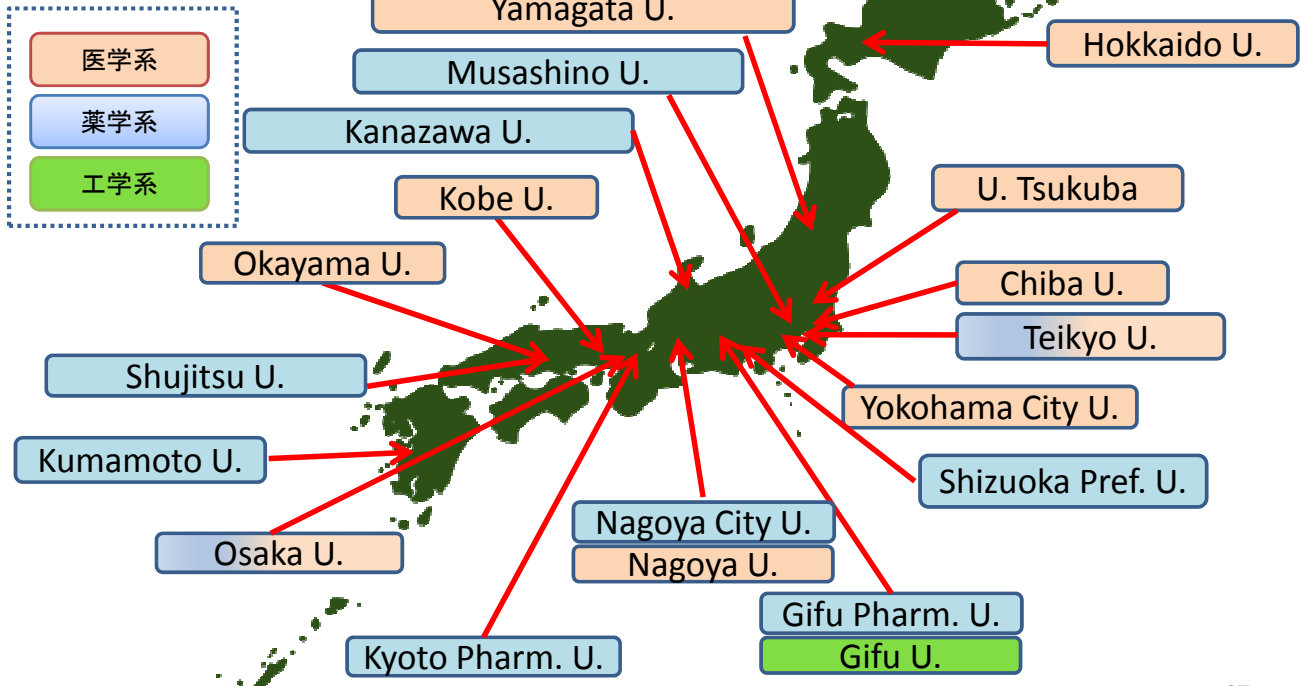
職員(社会人入学)
又は修学職員

PMDA業務に
関連した研究

学位取得

PMDA と連携大学院協定を締結した大学 Agreement with 19 Universities

(as of March, 2014)



http://www.pmda.go.jp/regulatory/graduate_school.html

日本の創薬・医療機器能力

創薬能力

- 創薬の歴史が深い
- 品質管理の歴史も深い
- シーズが多い
- バイオマーカーの基礎研究

創医療機器能力

- 物造りの伝統
- 製造業の歴史が深い
- これからの軸足に医療機器産業が産学官で推進されている

医薬品の創出

開発した起源国籍別分類
(世界の売上高上位100位)

その他：4品

デンマーク：2品

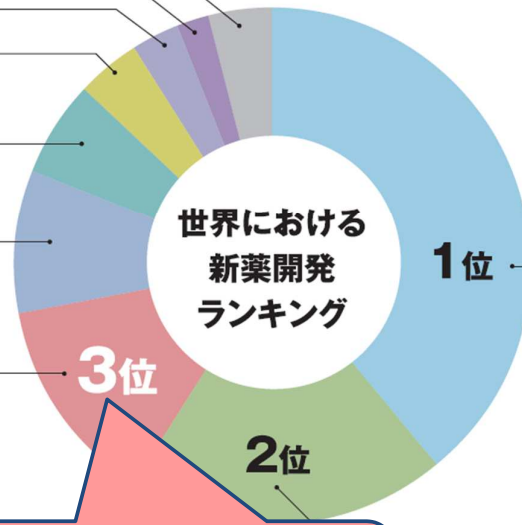
ベルギー：3品

ドイツ：4品

フランス：6品

スイス：9品

日本：13品



米国：39品

イギリス：20品

日本から創出された医薬品の
品目数は世界第3位

出典「製薬協ガイド2010」

薬事戦略相談について

世界に先駆けたイノベーションの実用化へ

iPS細胞等の再生医療製品

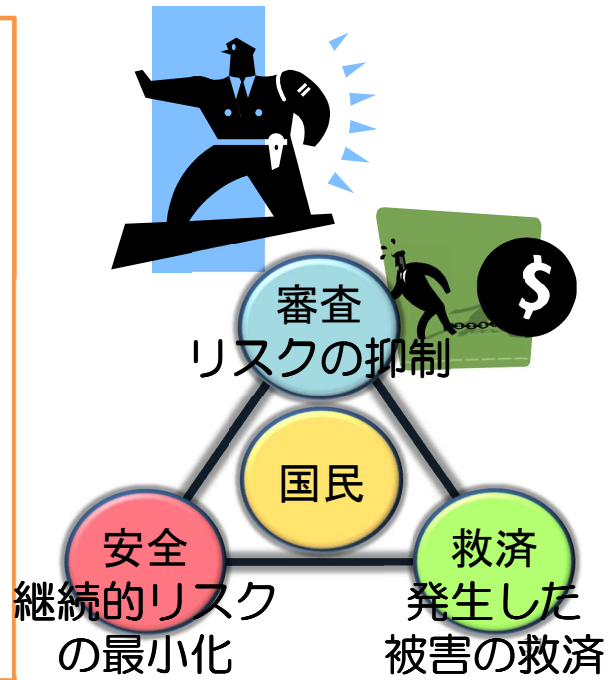
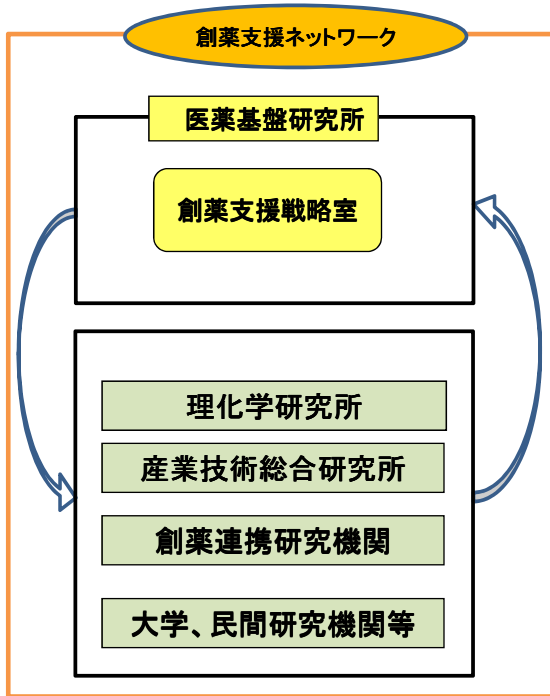
革新的な医薬品

最先端の医療機器

開発

承認審査

製造販売後



世界に先駆けたイノベーションの実用化へ

iPS細胞等の再生医療製品

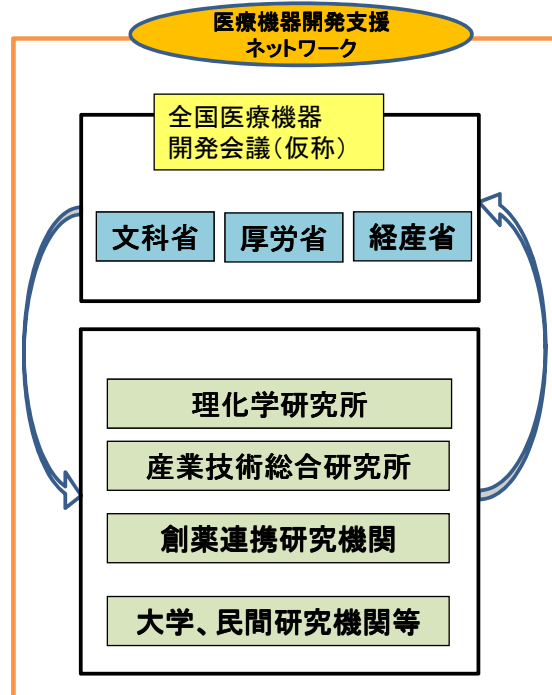
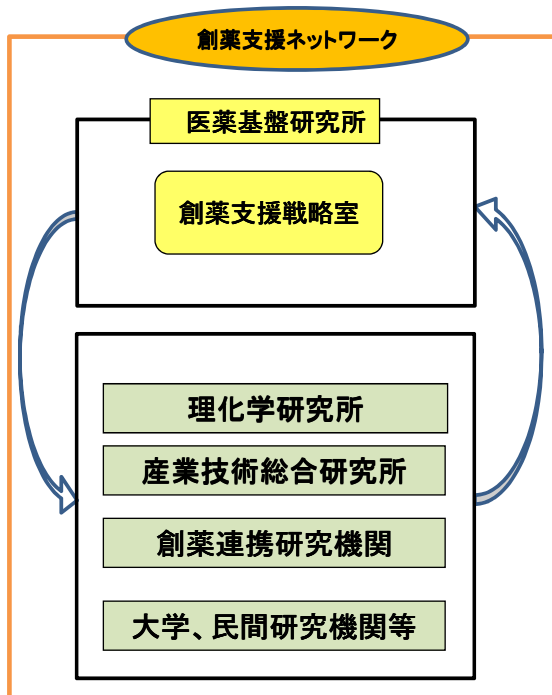
革新的な医薬品

最先端の医療機器

開発

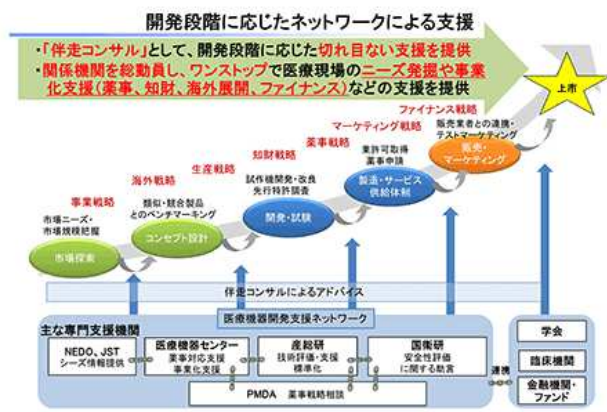
承認審査

製造販売後

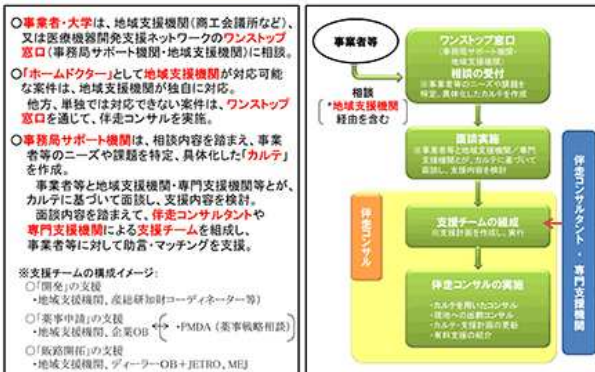


医療機器開発支援ネットワークのねらい

- ▶ 中小企業・ベンチャー・大学等による医療機器の開発・事業化については、医療現場のニーズ把握、薬事法対応、販路開拓等において、ハードルの高い多数の課題があります。
- ▶ このため、関係各省（内閣官房、経産省、厚労省、文科省等）や関連機関、企業、地域支援機関が連携し、開発初期段階から事業化に至るまで、切れ目なく支援する「医療機器開発支援ネットワーク」（以下、「ネットワーク」）を構築。
- ▶ これにより、技術力のある中小企業・ベンチャー・大学等による医療機器の開発・事業化を促進します。

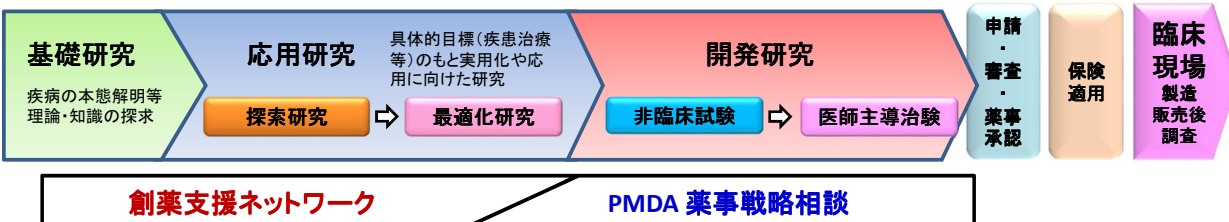
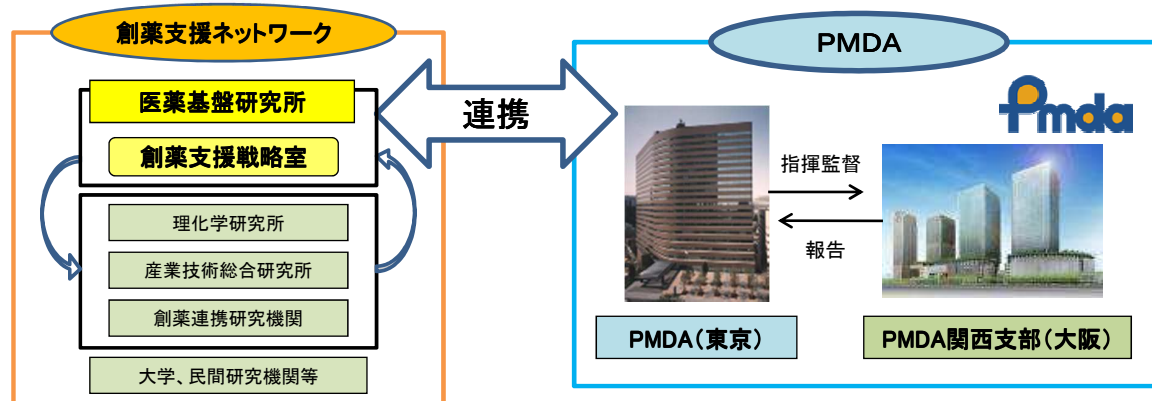


伴走コンサルを通じた支援



医療機器開発支援ネットワーク
<https://www.med-device.jp/net/>

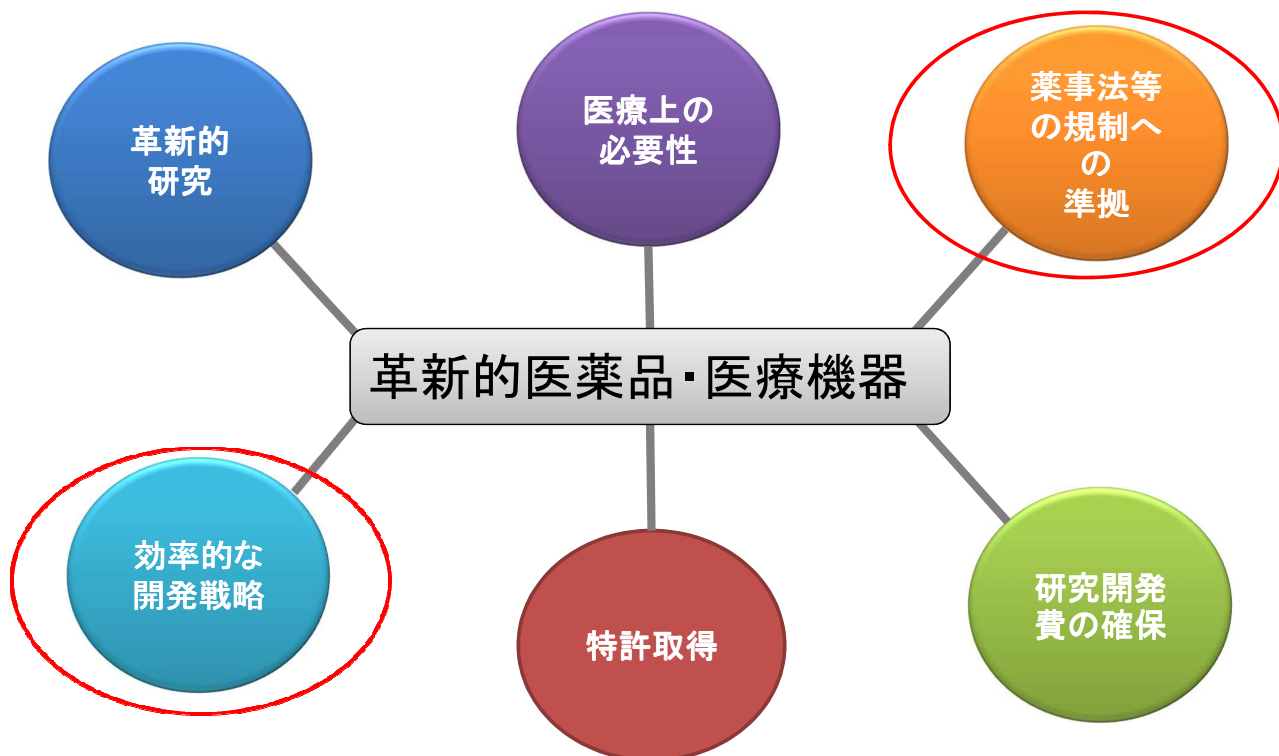
PMDAと創薬支援ネットワークとの連携



1. 基礎・応用研究戦略の策定・助言
2. 有望シーズの収集・評価・選定
3. 共同研究機関・試験実施機関の紹介
4. 応用研究・開発研究の支援
5. 企業（製薬企業）への導出・提携・ライセンスアウト支援

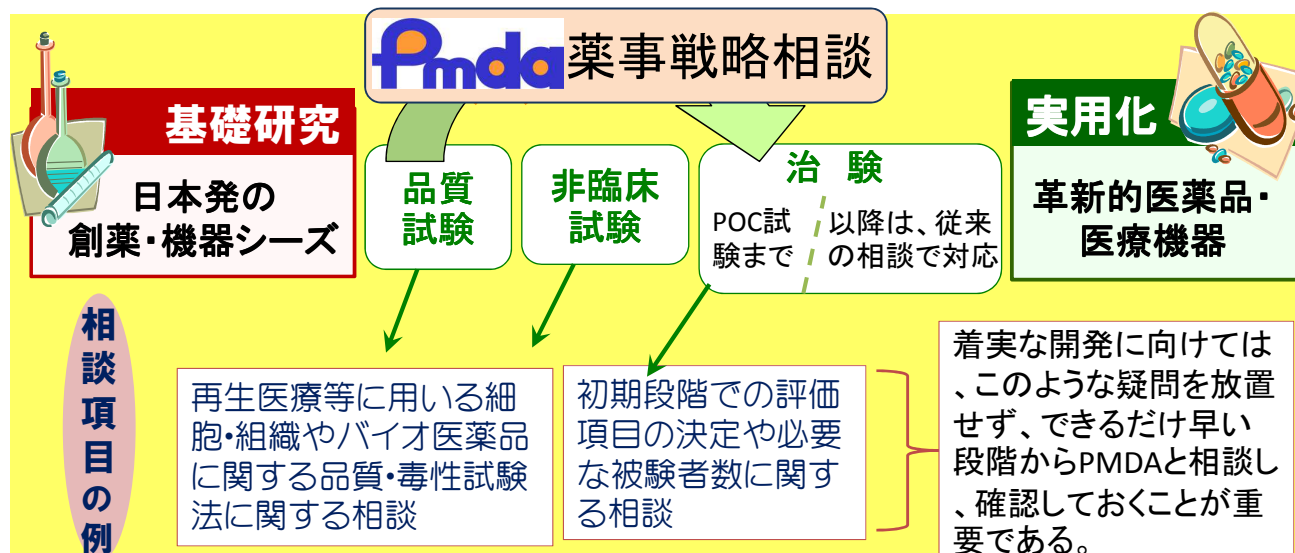
1. 開発ロードマップの作成
2. 品質に関する助言
3. 非臨床試験に関する助言
4. 臨床試験に関する助言

革新的医薬品等の実用化に必要な要素

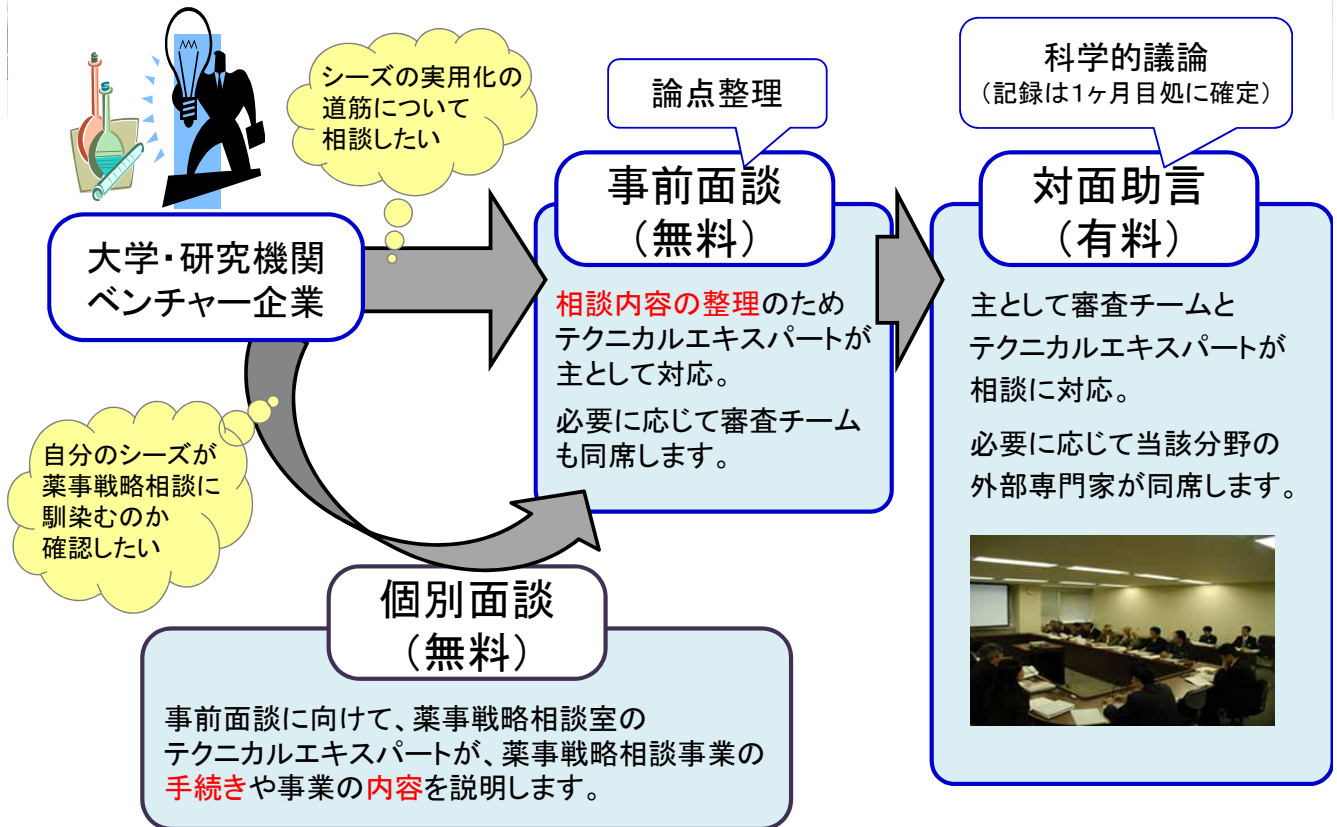


薬事戦略相談について(事業の概要等)

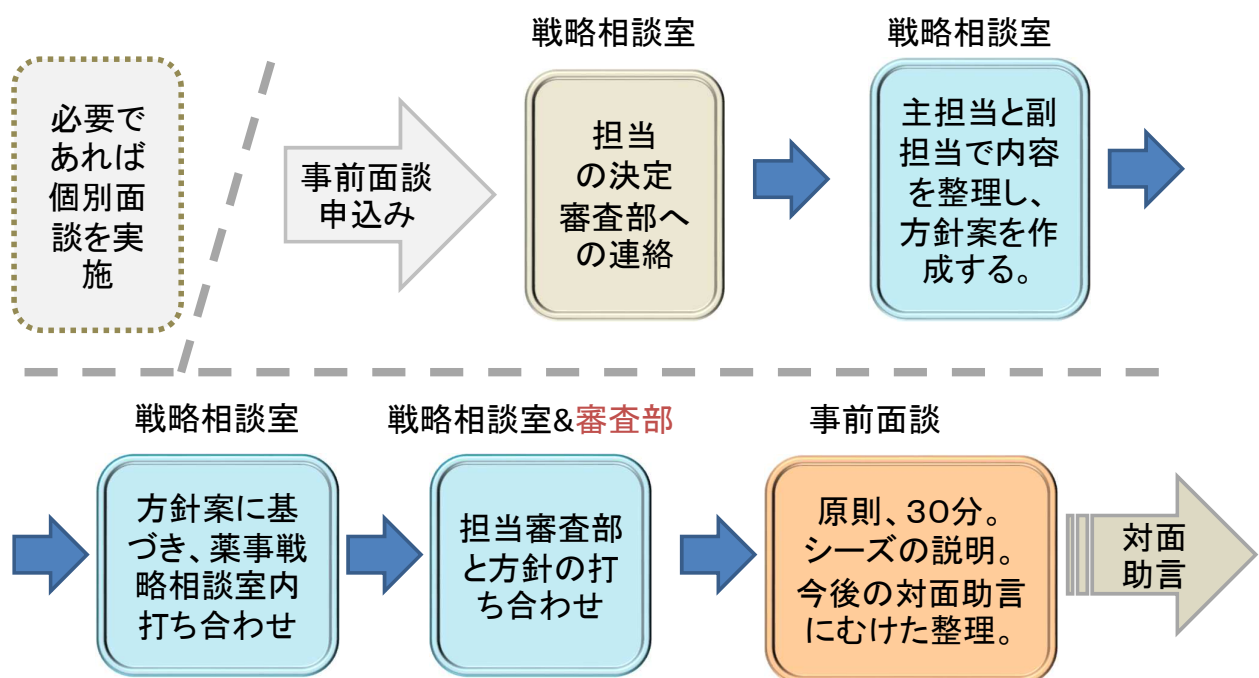
日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象として、開発初期から必要な品質・非臨床試験及び治験に関する指導・助言を実施するものとして、平成23年7月1日より開始した。



薬事戦略のプロセスとその関係

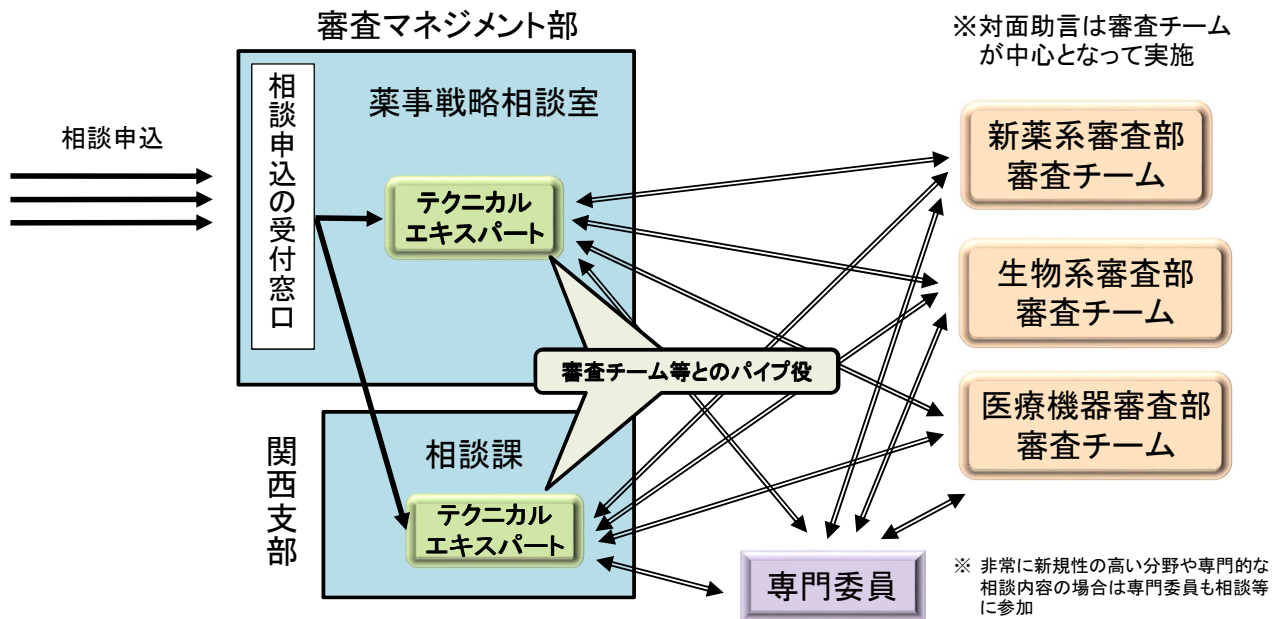


事前面談の流れ

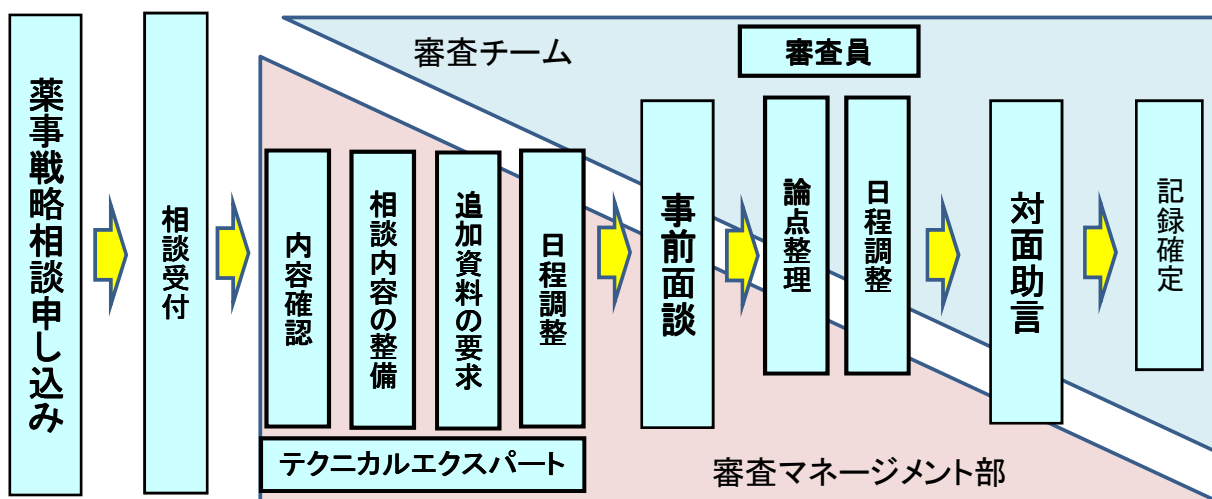


※30分の面談に3~4時間の内部打合せ・意見統一

【相談体制】



最初の申し込みから対面助言までのプロセス



東京でも大阪でも同じ流れ



第32回日本神経治療学会総会

The 32nd Annual Meeting of Japanese Society of Neurological Therapeutics

- > ホーム
- > 会長挨拶
- > 開催概要
- > プログラム
- > 演題募集
- > 治療活動賞募集
- > 利益相反 (COI) の開示
- > 参加者へのご案内
- > 発表者へのお知らせ
- > 会場案内
- > リンク

医薬品医療機器総合機構 (PMDA) より 薬事戦略相談のご案内



I 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) について

医薬品医療機器総合機構 (PMDA) は、平成16年4月1日に設立された独立行政法人で、その主な業務は、薬事法に基づく承認審査、安全対策、副作用被害救済です。承認審査に関しては、医薬品や医療機器などの品質、有効性および安全性を確保するため、治験前から承認までを一貫した体制で、科学的な観点から審査、指導及び助言を行っております。

薬事戦略相談とは？

薬事戦略相談では、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、有望なシーズをお持ちの大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象としています。実用化に向けて必要となる試験・治験計画に関して、薬事承認審査当局 (PMDA) が助言等を行います。

薬事戦略相談は、通常、PMDAオフィスにおいて面談形式により実施しております。今回

薬事戦略相談の対象及び内容について

- ・ シーズ発見後の大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とし、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から承認申請に向けて、POC試験程度までを目処に必要な試験・治験計画策定等に関する相談への指導・助言
- ・ 対面助言の対象については、原則として、以下の優先分野に該当し、かつ、有望性が期待できる品目

(例えば、医薬品では物質特許を出願中又は取得している品目、医療機器では機器の仕様、デザイン、設計に係る試案又はプロトタイプがある品目、若しくは将来的に画期的医薬品若しくは医療機器として実用化される可能性が高い品目など)

- ・ 従来、確認申請制度で対応してきたヒト又は動物由来の細胞・組織を加工した医薬品・医療機器の開発初期段階からの品質及び安全性に係る相談への指導・助言

優先分野
<ul style="list-style-type: none"> ・ 再生医療(細胞・組織加工製品)分野の製品 ・ がん分野の製品 ・ 難病、希少疾病分野の製品 ・ 小児分野の製品 ・ 上記以外でも特に革新的な技術を利用した製品
(注)分野間の順位は問わない

薬事戦略相談2012年3月【公表資料】

43

参考：対面助言（イメージ）

- ①早期探索的臨床試験(POC)を目的とした非臨床データパッケージの妥当性

・ 提示されている毒性試験が適切に実施されればPOC実施は可能。
⇒トキシコキネティクス定量法バリデーション、毒性試験の試験計画書を薬事戦略相談で議論することが前提。

- ② POC試験に組み入れた患者(患者数が非常に少ない)を次相試験でも組み入れることの妥当性

⇒患者数が非常に少ない点は理解するが、次相の治験計画については、薬事戦略相談や通常の相談等で議論することとなった。

- ③原薬製造技術及び品質技術を踏まえた品質(不純物)に関する懸念

・ 不純物が●%の被験物質を毒性試験で用いることは可能。
⇒承認申請には不純物の規格及び試験法は不十分、不純物含量がより少なくなる製造工程等の改善が望ましい。

→ 相談者は対面助言記録を基に第 I / II 相試験を企業主導で実施できるよう交渉開始

参考

研究開発を最短のコースで進めて、患者のために、より有効でより安全な医薬品・医療機器を医療の現場に早く届けたい思いはPMDAも同じであるが、その『最短』について、『目線の違い』も踏まえ、お互いに確認することが重要。

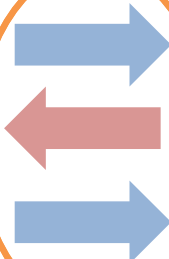
相談者

PMDA

データ取得が少ないほど、開発費用と時間が少なくて済み、患者に早く届けられる。

新たにデータ取得するか、既にデータがある場合はそれを説明する。

レギュラトリーサイエンス(RS)とは、『科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。』(H23科学技術基本計画 より)

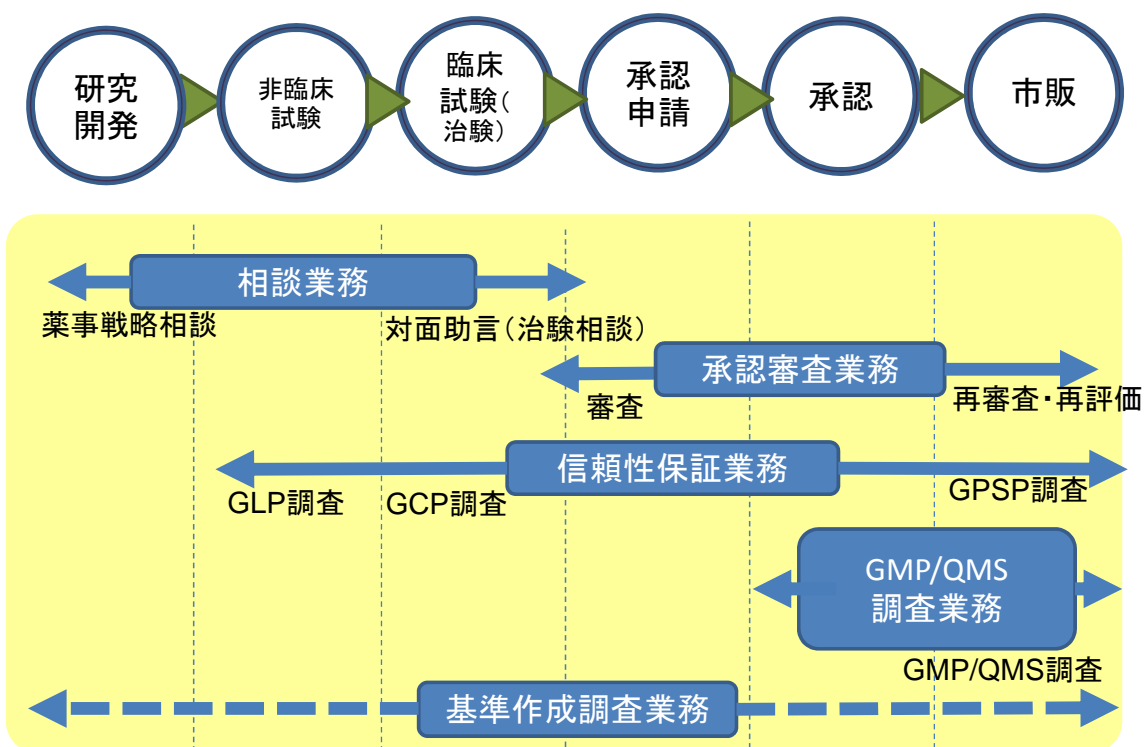


一般に使用するためには、まずは最低限の品質、安全性、有効性のデータの収集は不可欠。

足りないデータについては説明を求める。

このやりとりこそ、レギュラトリーサイエンス(RS)の実践の場であることを理解してもらうことも重要である。

医薬品・医療機器の開発ステージとPMDA審査関連業務



薬事戦略相談 年度別 相談実施件数

個別面談	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度	平成26年度 (9月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	45	83	78	16	222
医療機器関係(再生医療関係を除く)	70	200	134	56	460
再生医療関係	3	19	25	15	62
合計	118	302	237	87	744

事前面談	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度	平成26年度 (9月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	71	89	147	60	367
医療機器関係(再生医療関係を除く)	39	93	91	36	259
再生医療関係	43	72	108	51	274
合計	153	254	346	147	900

対面助言	平成23年度 (7月から事業開始)	平成24年度	平成25年度	平成26年度 (9月末まで)	合計
医薬品関係(再生医療関係を除く)	19	26	58	18	121
医療機器関係(再生医療関係を除く)	3	5	33	7	48
再生医療関係	9 (11)	9 (15)	32 (45)	8 (18)	58 (89)
合計	31 (33)	40 (46)	123 (136)	33 (43)	227 (258)

注: ()内の数値は、細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品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。

個別面談／事前面談／対面助言 総数内訳表

※ 2011/7/1～2014/9/30までの実施ベース

個別面談	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	109	124	26	259	35%
企業・ベンチャー	84	298	29	411	55%
研究機関・その他	29	38	7	74	10%
計	222	460	62	744	
%	30%	62%	8%		100%

事前面談	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	244	130	97	471	52%
企業・ベンチャー	49	104	122	275	31%
研究機関・その他	74	25	55	154	17%
計	367	259	274	900	
%	41%	29%	30%		100%

対面助言	医薬品関係 (再生医療関係を除く)	医療機器関係 (再生医療関係を除く)	再生医療関係	計	%
大学	76	27	21 (30)	124 (133)	55% (52%)
企業・ベンチャー	13	16	26 (40)	55 (69)	24% (27%)
研究機関・その他	32	5	11 (19)	48 (56)	21% (22%)
計	121	48	58 (89)	227 (258)	
%	53%	21%	26% (34%)		100%

注: ()内の数値は、細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品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及び割合。

- ◎敷居が高い
- ◎申込み書や資料作成が煩雑
- ◎相談に出向いていくとたくさんダメだしを受ける
- ◎金も出さない、実施先も紹介しないのにやることだけは沢山指示される
- ◎山のような通知やQAを読めと言われる
- ◎原則論だけ言われて、現場の状況を踏まえた議論ができず、具体的回答が得られない。

相談を進めるに当たって、視点の違いがあることを理解して頂いて、前向きに相談を進めていけるように努めます。

49

薬事戦略相談のよい活用・悪い活用

- ・なにから相談してよいか**わからない場合は、まず個別相談へ**
- ・個別・事前面談では**資料は既存のものでも構いませんが、相談したい事項を具体的にし、開発シーズの概要、現状や今後の予定がわかる資料があるとありがたいです**
- ・個別面談、事前面談は**無料で回数制限はありませんが、書面の記録作成は有料相談のみ。早めに有料相談を受けることをお勧めします。**

50

- ・ 薬事戦略相談では、**例えば品質と安全性をまとめて相談することも可能**です

ただし、相談内容を詰め込むために相談が遅れたり、対面助言が消化不良になるより、適切なタイミングで何度か相談いただくほうがよい場合が多く、相談内容が多岐にわたる場合、複数回に分けた相談をお勧めすることもあります

薬事戦略相談は何度も受けることができます

薬事戦略相談のポイントを例えて言えば・・・

「新しい船ができるので、この船で出港可能か？」
と訊かれても・・・、

- ・ 目的地(だたいの方向性)は？ 航路は？ 期間は？
- ・ そのうえで、耐久性は？ 安全性は？

・・・状況が不明なままでは適切なアドバイスは困難。
過剰な耐久性や安全性を求めることになる可能性もある。

相談者



PMDA



薬事戦略相談対面助言の実施とプロジェクトの進捗－1 (医薬品関係)



相談申込者	被験物の名称及び識別記号	予定投与経路や剤型	予定される性能、使用目的、効能又は効果等	薬事戦略相談を初めて申込んだときの状況	現状 (2014年3月現在)
(独)国立精神・神経医療研究センター神経研究所遺伝子疾患研究部 武田伸一	モルフォリノ核酸(NS-065/ NCNP-01)	筋肉内投与および点滴静注/注射剤	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)疾患の治療	2011年9月 (最初の事前面談) 品質規格及び治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに2回の対面助言を実施(2011年12月及び2013年3月) ・2013年5月 第I相試験の治験届提出 ・2014年1月 コホート1(1.25mg/kg)について全例の投与が終了。 ・2014年1月 コホート2(5mg/kg)について1例目の投与開始。継続中
東北大学大学院医学系研究科附属創生応用医学研究センター 宮田敏男	PAI-1阻害薬 (TM5509)	経口投与/錠剤	臍帯血移植時における造血促進	2011年11月 (最初の事前面談) 治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに2回の対面助言を実施(2012年3月及び2013年1月) ・2013年5月 第I相試験(低用量)の治験届提出、10月に低用量終了。 ・2014年1月 第I相試験(高用量)の治験届提出、継続中

53

薬事戦略相談対面助言の実施とプロジェクトの進捗－2 (再生医療及び医療機器関係)



相談申込者	被験物の名称及び識別記号	予定投与経路や剤型	予定される性能、使用目的、効能又は効果等	薬事戦略相談を初めて申込んだときの状況	現状 (2014年3月現在)
国立大学法人京都大学iPS細胞研究所 山中伸弥	iPS細胞	他家由来臨床用iPS細胞	様々な移植適合型提供者より「再生医療用iPS細胞ストック」を構築し、品質の保証されたiPS細胞及びiPS細胞から作成した移植用細胞を準備しておくことにより樹立に要する時間短縮・コスト削減の課題を解決し、より多くの難治性疾患に対する再生医療を可能とすることを目的とする。	薬事戦略相談制度開始前に審査部との面談を実施済 2011年9月 (最初の対面助言) iPS細胞の製造工程及び品質規格について検討開始	対面助言は1回 対面助言を踏まえて、現在、他家iPS細胞ストック作成のプロセスを構築中(健常者より細胞採取を開始) 培養に使用する培地成分に含まれる生物由来原料基準への適合性を検討中、2014年6月には製造開始予定
北海道公立大学法人札幌医科大学 本望 修	自家骨髄間葉系幹細胞	点滴静注/注射剤	脳梗塞に伴う神経症候、日常生活動作障害、機能障害の改善	2011年10月 (最初の事前面談) 品質規格及び治験開始に必要な非臨床試験について検討開始	これまでに5回の対面助言を実施(2011年12月～2012年11月):うち1回はGMPの観点から施設の現地調査を実施 2013年3月 第I/II相の治験を開始、近く1例目の経過観察終了、継続中。 2013年10月 別効能(脊髄損傷)に対する治験届を提出、継続中
CYBERDYNE(株)	ロボットスーツHAL医療用(仮称)、および、その機能の一部を用いた運動訓練装置	未定	患者に装着させて運動を行う機器であり、使用目的や効能又は効果が異なる複数のモデルを予定。	2011年9月 (最初の事前面談) 非臨床試験データパッケージ及び開発戦略について検討開始	これまでに2回の対面助言(2012年3月及び2013年5月)を実施 2013年2月オーファン用の装置については、通常の対面助言でプロトコル相談を実施後、現在、新潟病院にて治験中。 単関節等の他の装置については、今後、治験を実施予定

54

薬事戦略相談のよい活用・悪い活用



悪い活用例

- ・ 研究費の応募要項で相談受けろと書いてあるので相談事項はないが申し込んだ／日程調整依頼をした

→希望がないと相談しにくいです

事前面談での論点整理が双方満足度の高い薬事戦略相談を行うための鍵

事前面談での相談可否の見極めの上で日程調整依頼を

55

薬事戦略相談のよい活用・悪い活用



悪い活用例

- ・ これから非臨床、探索治験を行う段階で、検証デザインの是非を問う

→可能性の議論はできなくはないですが、ただの意見交換に終わってしまう可能性が高い

相談もStep by Stepで、議論できるタイミングに応じた相談を

56

その他、薬事戦略相談で応じられない例

- ・薬事と異なる法令・制度に関する相談
- ・薬事対象とならないための手段の相談
- ・医療機器の該当性や認証、業許可手続きに関する相談
- ・薬事戦略相談以外の治験相談に向けた事前面談の関西支部薬事戦略相談事前面談としての実施

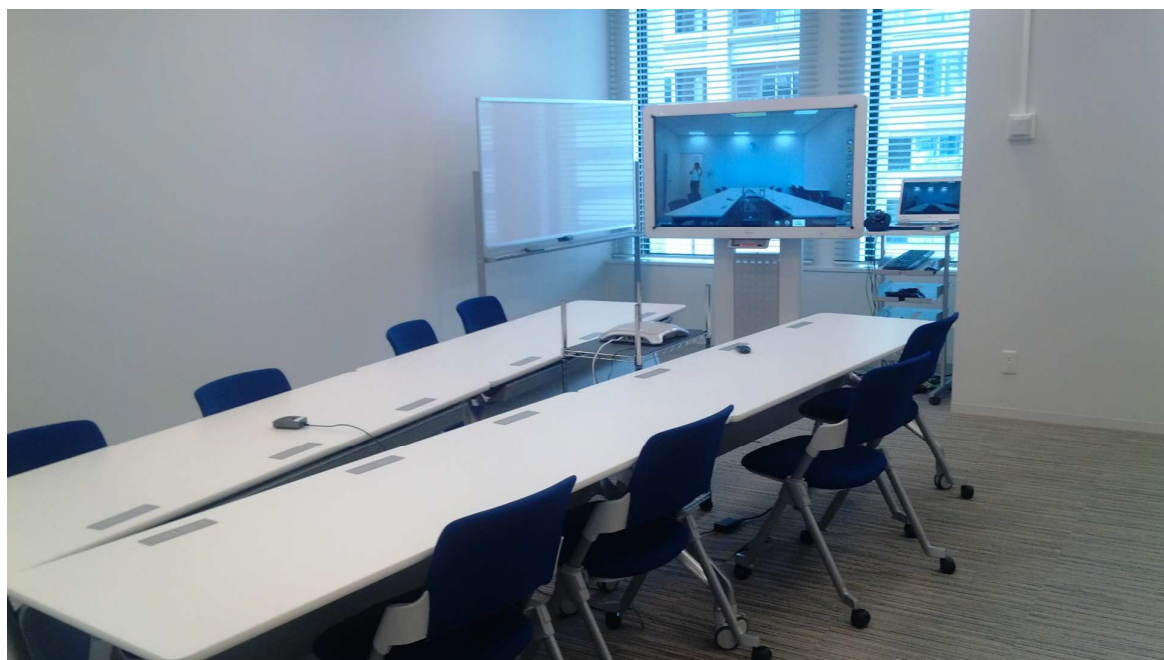
57

薬事戦略相談のよい活用・悪い活用

早期の面談が不安な場合などは、PMDA以外の共同研究先、医薬品・医療機器提供企業や公的支援機関などとの相談・協議を挟んでみることも有用

58

関西支部の活用について



59



60

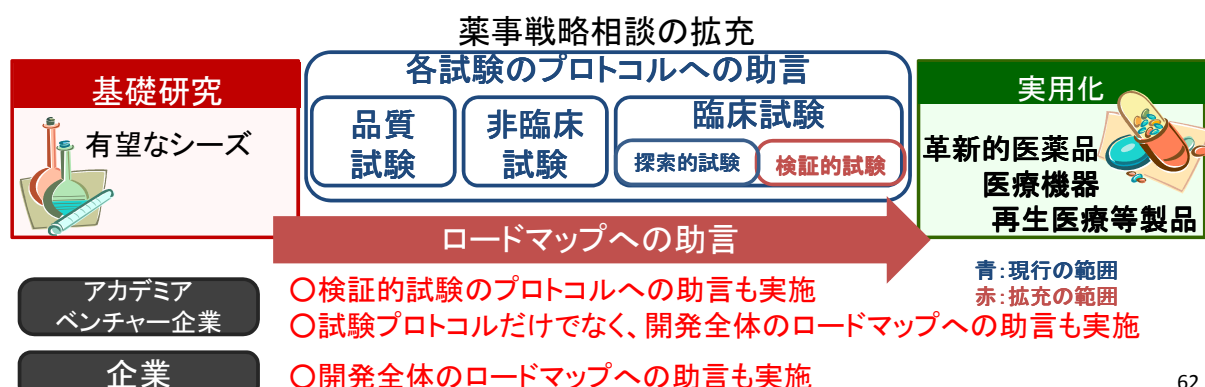
関西支部活用のメリットデメリット

メリット	デメリット
<ul style="list-style-type: none"> ・時間・交通費の節約 ・時間・交通費の節約により、複数回の面談が可能 また、日程調整の幅が広がる <p>→例えば、東京出張に合わせた東京希望日、それだけでは調整難しそうな場合、<u>第二希望以下で大阪希望日を提示いただくことも可</u></p>	<ul style="list-style-type: none"> ・東京側職員とはモニターを通してとなるため、表情が読みとりにくかったり、医療機器など実物・サンプルをその場で扱っての議論は対面には及ばない（事前にサンプルを東京にも送付いただく、取り扱い動画ファイルを事前に提供いただくなどすれば、かなりの対応は可能）

61

薬事戦略相談の拡充の方向性

- 平成26年3月25日(火) 第4回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会
今後の薬事戦略相談の拡充策として、
 - 検証的試験プロトコルへの助言としては、一定の要件を満たす医療上の必要性の高い品目の場合には、アカデミアが主導する後期第Ⅱ相以降の検証的試験も、試行的に薬事戦略相談の対象とする取り組みを開始すること
 - ロードマップへの助言としては、モノの特性に応じた開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関する助言のみを対象とする「薬事開発計画等戦略相談(仮称)」を試行的に創設することにつき議論し、概ね了承された。
- 現在、薬事戦略相談の拡充策の実施に向け作業を進め、関係業界との調整をほぼ終えたところ。



62

(薬事戦略相談の充実策)

① アカデミア主導の検証的試験プロトコルへの助言の考え方(案)

- アンメットメディカルニーズへの対応として、企業等による開発が進まない領域では、アカデミアが主導する治験(後期第Ⅱ相以降も含む)に対する支援は重要。
- 一方、薬事戦略相談は、財政的制約等から早期の探索的なステージにおける開発支援を対象とすることが原則。
- 上記を勘案し、一定の要件を満たす医療上の必要性の高い品目の場合には、アカデミア(大学、研究所)が主導する後期第Ⅱ相以降の検証的試験についても、試行的に薬事戦略相談の対象として取り込むことを開始してはどうか。

※ 「一定の要件」として、未承認薬検討会議等において検討されたものや、公的資金に基づき実施されていることなどを考慮して検討する。

63

(薬事戦略相談の充実策)

② ロードマップへの助言の考え方(案)

- 事前面談の中で、ロードマップ等の開発計画に関する相談は多く、さらに口頭での助言内容に関し公式な記録を求められるケースも多く、一定のニーズが見込まれている。
- そこで、以下の助言内容に対し簡易な記録を渡せるような新たな相談枠として、「薬事開発計画等戦略相談(仮称)」を試行的に創設してはどうか。
 - ・モノの特性に応じた開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関する助言のみを対象とする。
 - ・データの評価は伴わない。
- アカデミア、ベンチャーを主な対象と想定しているが、十分な開発経験の少ない製薬企業、医療機器企業等も対象として想定。
- 相談手数料については、その作業量を考慮しながら、アカデミアやベンチャー等に大きな負担とならない額で実施できるよう検討する。

64

事前面談と薬事開発計画等戦略相談

事前面談(手数料不要)

- 薬事戦略相談については、あらかじめ、相談範囲・論点の整理、データ等の確認、承認申請等に係る一般的なアドバイス等に関して事前に面談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録は作成しない。

薬事開発計画等戦略相談(手数料必要)

- 開発計画のロードマップ等、試験計画の一般的な考え方や進め方に関して、個別品目に対する事前調査を必須としない案件の相談を行う。
- 相談1回当たり、30分程度とする。
- 相談記録は作成する。

薬事戦略相談対面助言 相談区分と対象

対面助言(手数料必要)

- 事前面談に引き続き、一定の要件を満たすものについては、提出された資料に基づき、現在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・助言を行う。
- 相談1回当たり2時間程度とする。
- 相談記録は作成する。

○医薬品、医療機器・体外診断薬、再生医療等製品に係る戦略相談

- 開発初期段階から、今後の承認に向けて、事前の面談を踏まえ、必要な試験等について、データの評価を伴う案件の相談を行う。

○再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談

- 細胞や遺伝子を加工した製品について、治験開始にあたり必要な品質及び安全性の充足性に関するデータの評価を伴う案件の相談を行う。

相談対象と相談区分の関係

相談区分	相談対象		
	医薬品	医療機器・ 体外診断薬	再生医療等製品
医薬品 戦略相談	○	—	—
医療機器 戦略相談	—	○	—
再生医療等製品 戦略相談	—	—	○
再生医療等製品等の 品質及び安全性に 係る相談	○	—	○
薬事開発計画等 戦略相談	○	○	○

対面助言の際の相談手数料等

相談区分	1申込当たりの 相談手数料
医薬品戦略相談※1	1,541,600円 (154,100円)※2
医療機器戦略相談※1、3	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品戦略相談※1	874,000円 (87,400円)※2
再生医療等製品等の品質及び 安全性に係る相談※1、4	1,541,600円 (154,100円)※2
薬事開発計画等戦略相談※5	73,600円

※1: 1回当たりの相談時間は2時間程度

※2: 別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業の場合。

※3: 体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談にて対応。

※4: 1申込で複数回の対面助言が可能。

※5: 1回当たりの相談時間は30分程度。

(相談手数料)

手数料の区分	手数料(1相談当たり ※2)
医薬品戦略相談 ※1	1,541,600円
医薬品戦略相談(別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業 ※1)	154,100円
医療機器戦略相談 ※3	874,000円
医療機器戦略相談(別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業)※3	87,400円

※1:細胞・組織加工製品又は遺伝子治療用医薬品に関する相談のうち、品質及び安全性に係る相談は医薬品戦略相談の手数料を適用。

※2:対面助言の1相談当たりの相談時間は2時間程度。

→個別面談は20分、事前面談は30分

※3:体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談の手数料を適用。

低額要件、提出書類、提出時期については、薬事戦略相談パンフレット17、18ページ又は、薬事戦略相談に関する実施要項を参照してください

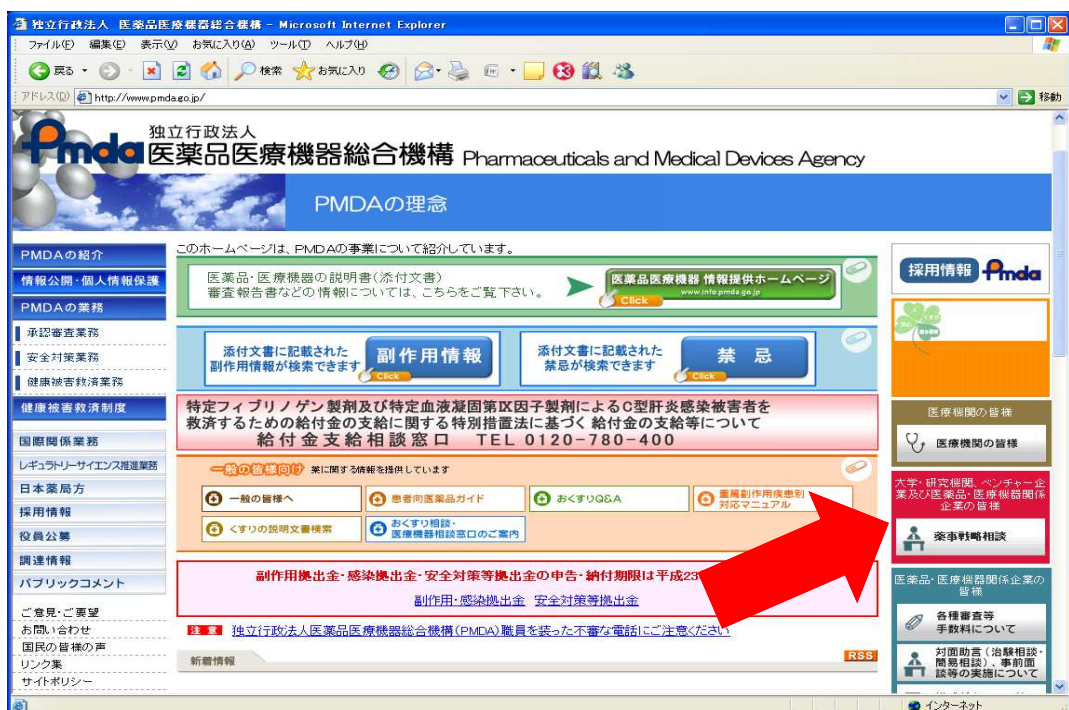
<http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/consult/yakujisenryaku/file/yakujisenryaku-youkou.pdf>

※相談区分、相談手数料は改正薬事法及び相談事業充実のため、9/25からパブリックコメントを行い、11/25改正施行予定のため、直近情報はPMDAホームページをご確認ください!

69

【詳しい内容はPMDAホームページでご確認ください】

<http://www.pmda.go.jp>



ご清聴ありがとうございました。

70