

## 第12回抗悪性腫瘍薬開発フォーラム

# ～PMDAの薬事戦略相談による支援～

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency  
新薬審査第五部 鎌田修二

**本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご留意ください。**



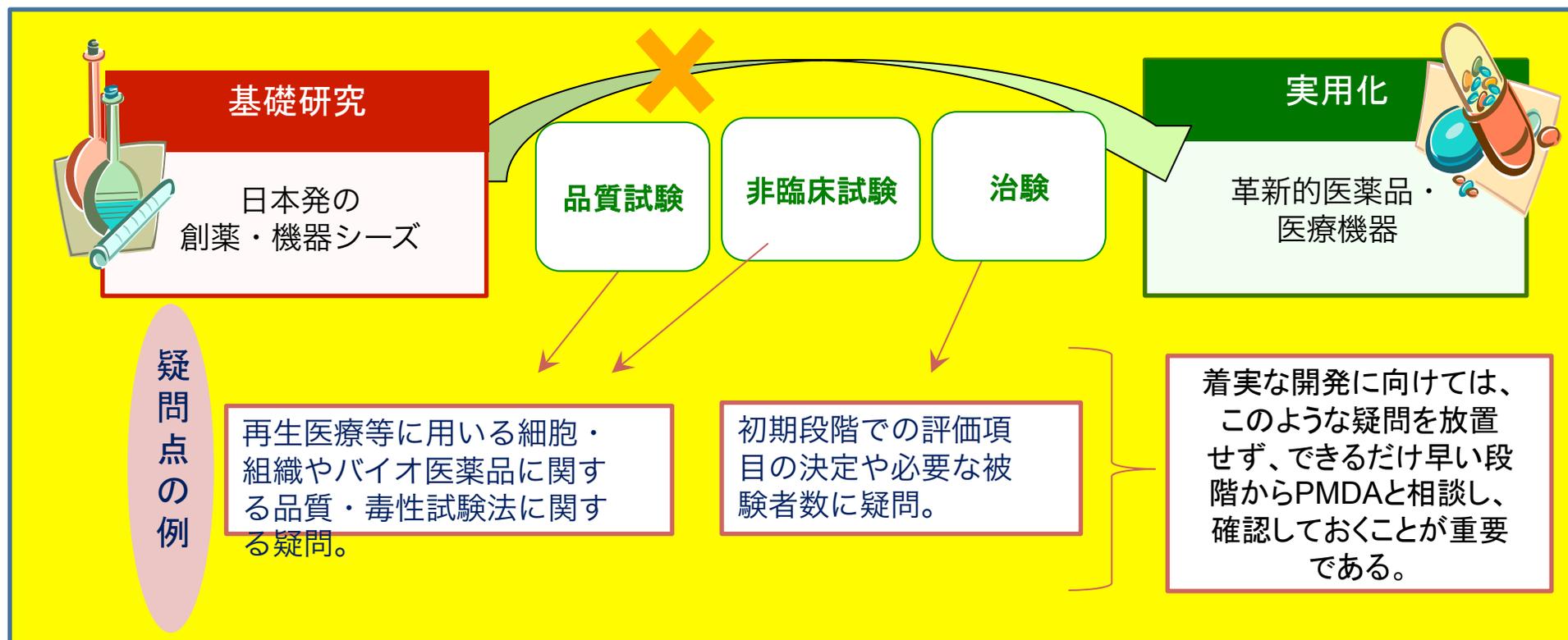
- 薬事戦略相談の概要
  1. 事業の概要等について
  2. 対象及び内容について
  3. 細胞・組織加工製品について
  4. 遺伝子治療用医薬品について
  5. 相談体制について
- 薬事戦略相談の現状
  1. 対面助言及び事前面談の件数
  2. 薬事戦略相談が目指すもの
  3. 薬事戦略相談に対するPMDAの取り組み方
- 薬事戦略相談に際してのお願い
- まとめ

# 薬事戦略相談の概要

# 1. 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。



## 2. 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

- 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

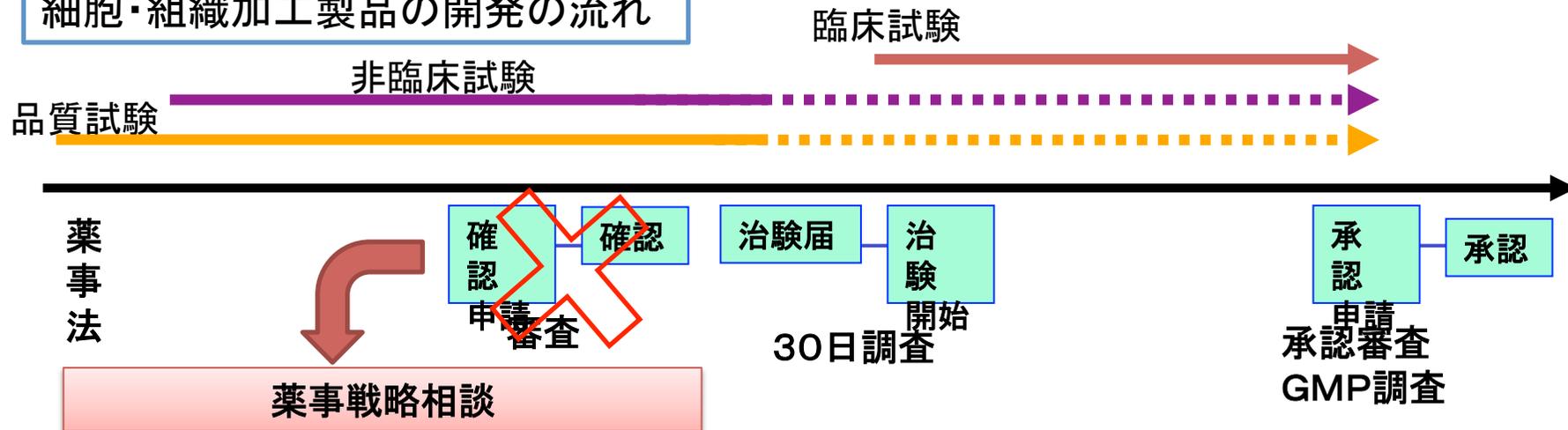
### 3. 細胞・組織加工製品について



#### 細胞・組織加工製品に係る通知

- ・ 「細胞・組織利用医薬品等の取り扱い及び使用に関する考え方」平成12年12月26日付け医薬発第1314号(別添1)
- ・ 「ヒト(自己)由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」平成20年2月8日付け薬食発第0208003号
- ・ 「ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針に係るQ&Aについて」平成20年3月12日付け事務連絡
- ・ 「ヒト(同種)由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」平成20年9月12日付け薬食発第0912006号
- ・ 「ヒト(同種)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針に係るQ&Aについて」平成20年10月3日付け事務連絡

#### 細胞・組織加工製品の開発の流れ



細胞・組織加工製品に係る確認申請制度を廃止し、薬事戦略相談を新設

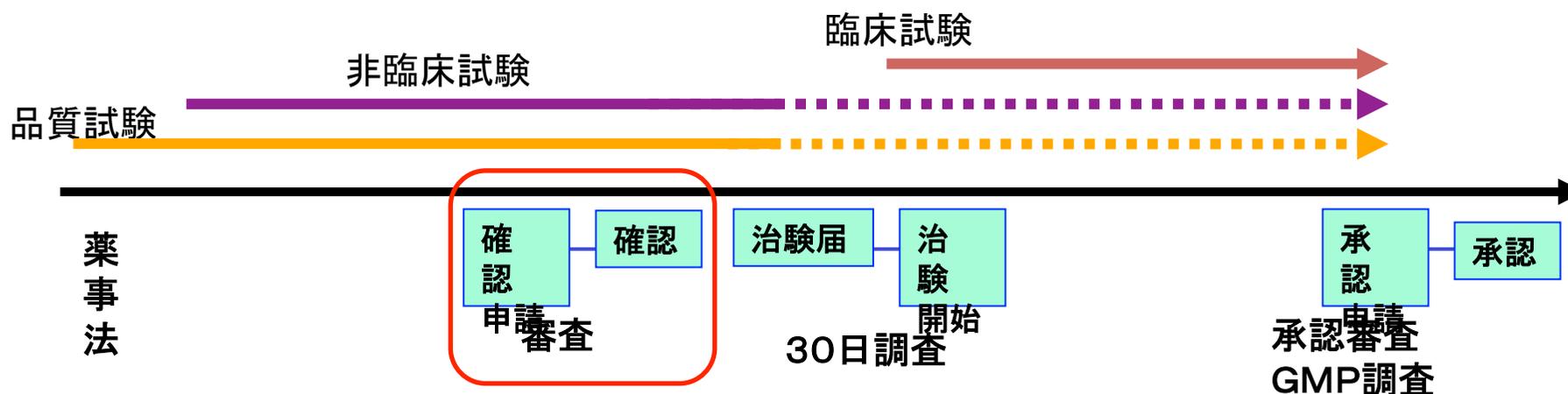
## 4. 遺伝子治療用医薬品について



### 遺伝子治療用医薬品に係る通知

- ・ 遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針について(平成7年11月15日 薬発第1062号)
- ・ 遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針の改正について(平成14年3月29日 医薬発第0329004号)
- ・ 遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針の一部改正について(平成16年12月28日 薬食発第1228004号)

### 遺伝子治療用医薬品の開発の流れ



治験届提出までに、遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針への適合性を確認

# 5. 相談体制について

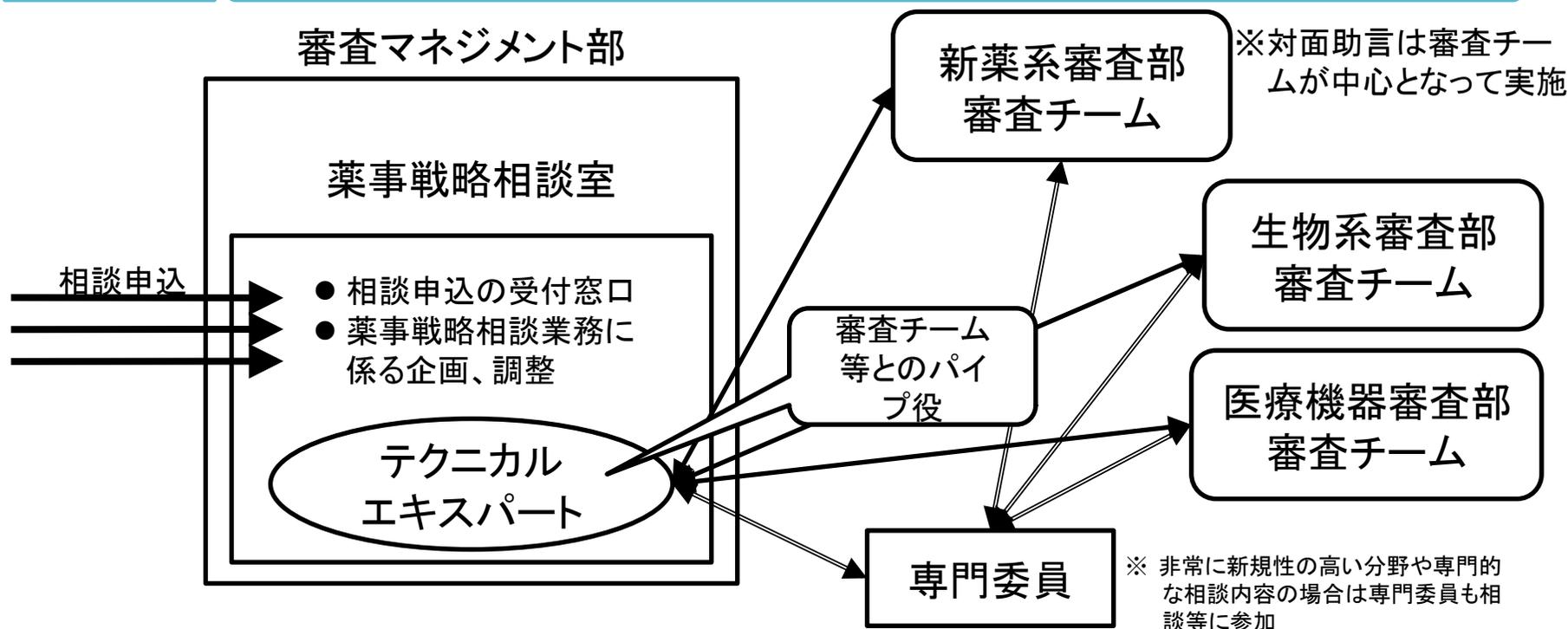


## 【実施体制】

- 新たに医薬品や医療機器に関連する研究・開発・薬事等に精通した者をテクニカルエキスパートとして採用
- 事前面談に対しては、主として新たに採用したテクニカルエキスパートが対応し、必要に応じて審査チームも同席
- 対面助言に対しては、主として審査チームと新たに採用したテクニカルエキスパートが対応し、必要に応じて当該分野の専門委員も同席

## 相談体制

薬事戦略相談業務を円滑に行うため、審査マネジメント部に新たに薬事戦略相談室を設置。



# 薬事戦略相談の現状

# 1. 対面助言及び事前面談の件数



薬事戦略相談では、対面助言を実施する前に、質問事項等に関する事前の打ち合わせ(事前面談)を実施することとなっており、相談者は、まず、事前面談を申し込むこととなる。

(平成23年7月1日～12月1日現在)

	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
対面助言(申込数)	16(大学11、研究機関5)	2(大学1、企業1)	8(大学2、企業2、研究機関4)	26

事前面談(申込数) <sup>注</sup>	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	33	8	8	49(50%)
企業・ベンチャー	4	8	15	27(28%)
研究機関・その他	8	6	8	22(22%)
計 (%)	45(46%)	22(22%)	31(32%)	98(100%)

注)事前面談は2回目以降の相談もそれぞれ1件としてカウントした延べ件数

これまでに実施した抗悪性腫瘍剤分野における主な相談  
 ・マイクロドーズ試験      ・がんワクチン      など

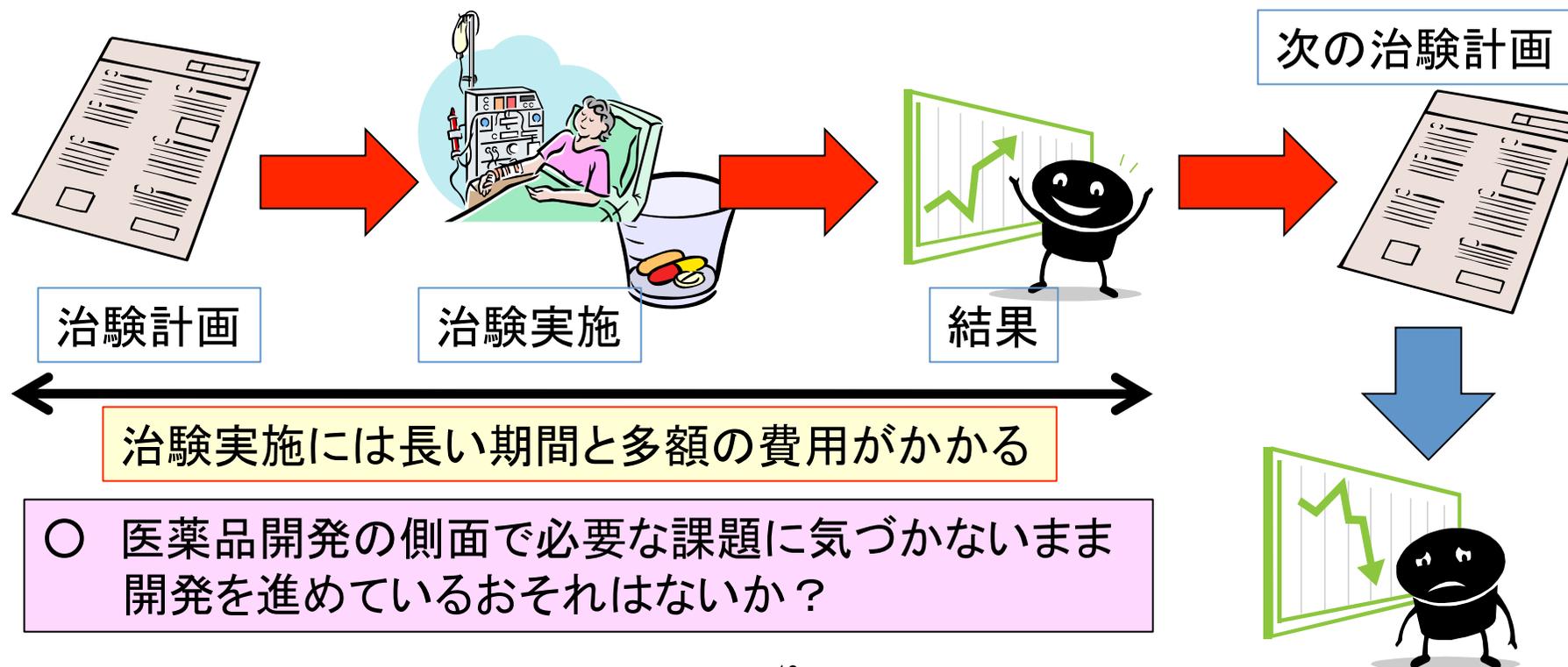
## 2. 薬事戦略相談が目指すもの

### (1) 薬事戦略相談創設の意義

#### 規制当局とアカデミアが個別案件で接する初めての枠組み

- 従来のPMDAの相談は、製薬企業が中心
- それに比べアカデミアとの接点は希薄

### (2) PMDAが考える薬事戦略相談のアカデミアにとってのメリット



## 2. 薬事戦略相談が目指すもの



- 医薬品開発の側面で必要な問題・課題に気づかないまま開発を進めているおそれはないか？
- 治験実施には長い期間と多額の費用がかかる。  
＝後からの「こうしておけばよかった・・・。」は致命傷！

- 実用化に向けて、現時点でどのような課題を克服しなければならないのか、明確にできる。
- アカデミアと規制当局が開発の初期段階から一緒に議論することで、今後の新たな方向性や課題解決の糸口が見つかる可能性も高まる。

研究者が気づけなかったリスクに気づくかもしれない＝リスクの軽減  
課題解決の糸口が見つかるかもしれない＝成功確率の向上

このほか、

- より早い段階から被験者の安全性確保等に資する議論ができること。  
(被験者さんのメリットにつながるということ。)
- PMDAにとっても最先端の研究を学ぶ機会であること。  
(審査に必要な知見の向上につながるということ。)



### 3. 薬事戦略相談に対するPMDAの取り組み方



科学的に妥当と考えられるプロトコルの治験は積極的に応援します！

○ 治験計画届の提出が初回となる相談品目に関しては、「30日調査」が円滑に進み、治験が早期に開始できるようにアドバイスします。

➤ 安全性に問題があるなど、このまま治験を行うべきではない場合には、その旨を明確にお伝えし、必要な改善方策を一緒に考えます。

○ 研究者としての学術的関心を損なわないように配慮しつつ、併せて今後の医薬品開発や将来の承認申請に欠かせないデータが収集できるよう、よりよいデザインを相談者と一緒に考えます。

➤ 特に研究者におかれては、治験実施の目的が効率的な薬剤開発に必要な「探索目的」に留まらず、学術的研究のための「探索目的」を併せもつ場合が多いことを再認識しているところです。

# 薬事戦略相談に際してのお願い

相談者が抱える課題を明確にして、対面助言での論点を整理するために、事前面談(無料)を十分に活用してください。

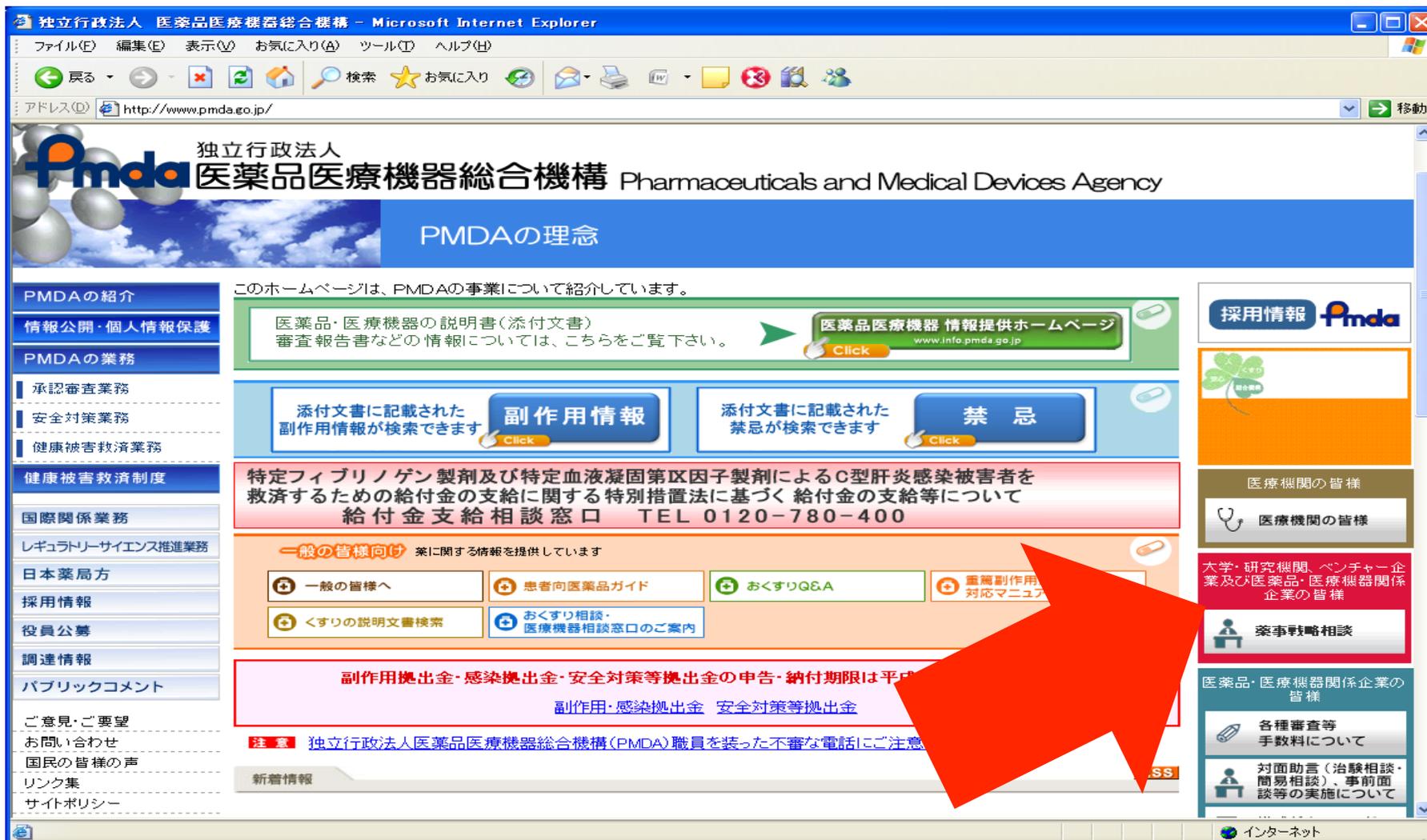
- 対面助言で提出をお願いする主な資料としては、以下のような内容が想定されますので参考にしてください。  
なお、必要な資料は、相談内容によって異なる場合がありますので、事前面談で確認してください。
  - ✓ 開発品目がターゲットとする疾患の現在の治療法
  - ✓ 既存の治療法の問題点と開発品目の予想されるメリット
  - ✓ 相談時点で描いている開発の将来像
  - ✓ 相談事項の具体的内容  
(実用化に向けて相談者が課題と考える内容)
  - ✓ 治験実施計画書(案)
  - ✓ 最新の治験薬概要書 など



# まとめ

- ・ 日本発の抗悪性腫瘍薬の誕生に向けて、PMDAは薬事戦略相談に積極的に取り組みます
- ・ 臨床現場で抱えている課題をよく理解し、相談者が薬事承認に向けて相談したい項目・内容に対して、懇切丁寧に対応します
- ・ 特に、最先端分野の専門家である相談者の知見を知り、議論することは極めて重要であり、有望なシーズの実用化に向けて、PMDAの職員も一緒にがんばっていきたいと考えています





【詳しい内容はPMDAホームページでご確認ください】