

厚生労働省のドラッグラグ・ロス対策

令和6年 2月17日

第35回抗悪性腫瘍薬開発フォーラム

医薬局医薬品審査管理課 中井清人

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

本日の話題

1. ドラッグラグ・ロスへの対応

① オーフアンドラッグ指定

② 小児適用の開発

③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験

2. 国際的な情報発信と治験の効率化

3. 市販後を見据えた医薬品開発

4. 最後に

1. ドラッグラグ・ロスへの対応

- ① オーフアンドラッグ指定
- ② 小児適用の開発
- ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験

2. 国際的な情報発信と治験の効率化

3. 市販後を見据えた医薬品開発

4. 最後に

創薬力の強化・安定供給の確保等のための 薬事規制のあり方に関する検討会

- 昨年開始された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」においては、医薬品の早期上市や安定供給を図る観点から、幅広い観点で議論がなされており、薬事規制のあり方等関係についても課題が指摘されている。
- 具体的には、いわゆるドラッグロス問題の解消や、安定供給の確保、小児医薬品開発の促進等を図るため、薬事規制のあり方を検討する必要がある。
- このため、本検討会を立ち上げ、これらの論点について検討を進めていく。

検討事項

開発促進

希少疾病用医薬品の指定のあり方について
小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について

臨床試験

我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理について
治験の更なる効率化（エコシステム）の導入について

市販後 安全対策

製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方について
薬事制度におけるリアルワールドデータの活用のあり方について

品質

医薬品の製造方法に係る薬事審査等のあり方について

情報発信

我が国の薬事制度に関する海外への情報発信について

その他

スケジュール（予定）

6月9日 有識者検討会とりまとめ

7月10日 **本検討会 第1回開催**

(月1回程度開催)

12月頃～年度内
(予定) とりまとめ

運用を開始
できるものは、
とりまとめを
待たず実施

1. ドラッグラグ・ロスへの対応

- ① オーフアンドラッグ指定
- ② 小児適用の開発
- ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験

2. 国際的な情報発信と治験の効率化

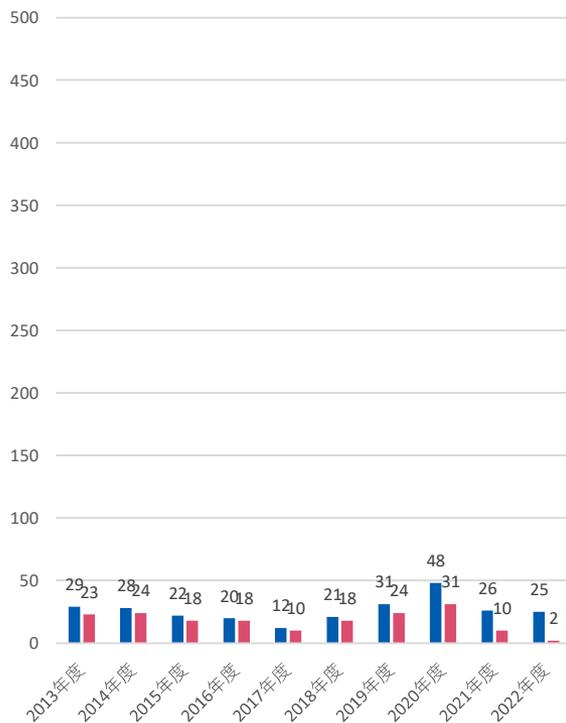
3. 市販後を見据えた医薬品開発

4. 最後に

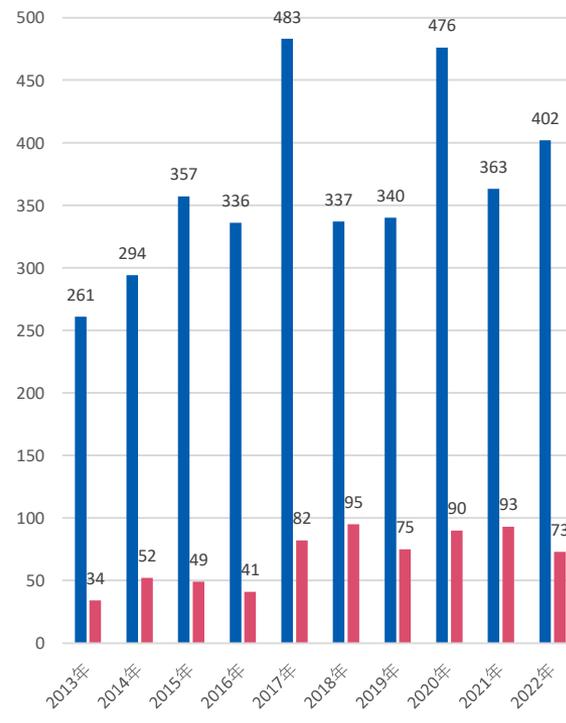
オーファンドラッグの指定・承認件数（日米欧）

日本は、欧米と比較してオーファンドラッグの指定数が少ない。

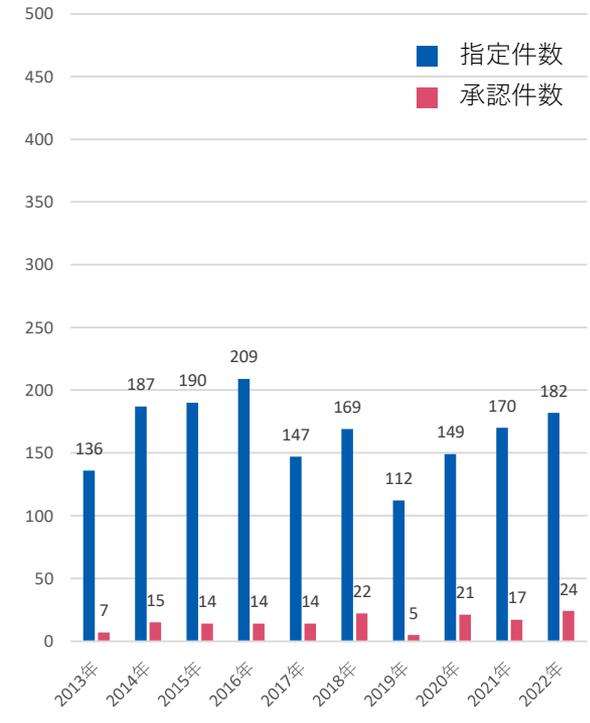
日本



米国



EU



■ 指定件数
■ 承認件数

※承認件数は、日本は、各年度において希少疾病用医薬品として指定された品目のうち、2023年4月時点で承認を受けている件数。
欧米は、各年度において承認されたオーファンドラッグの件数

出典：FDA Website (<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>)

出典：EMA Website (<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>)

希少疾病用医薬品の指定要件の見直しについて

■ ドラッグ・ロスの指摘やその原因

- 近年、海外で承認されている医薬品が日本では開発に着手すらされない、「ドラッグ・ロス」が拡大しているとの指摘がある。
- この原因としては、日本の医薬品市場の魅力低下や創薬環境・薬事制度等があると考えられ、複数の要因が複合的に関わっている。
- 製薬業界からは、日本の希少疾病用医薬品の指定範囲は欧米と比べて狭く、これが日本における開発促進を妨げる要因のひとつとなっていると指摘されている。

■ オープン指定が創薬に与える影響

- 希少疾病用医薬品の指定は、開発のインセンティブとなるものであるが、上記のような背景から、この指定を拡充することのみをもってドラッグ・ロスの問題が全て解決できるものではない。
- 他方、**製薬協のアンケート結果によると、希少疾病用医薬品に指定されなかったことにより開発計画に影響を与えた品目は、86品目中13品目あり、実際の開発に一定の影響を与えている**と考えられる。
- また、**特にベンチャー企業においては、投資の呼び込みに当たって希少疾病用医薬品の指定は大きな要素である**と言われている。
- このため、日本の創薬環境を改善し、多くの革新的な医薬品がより早期に医療現場に届けられることに資するよう、希少疾病用医薬品の指定要件について、必要な見直しを3つの観点から検討したい。
- なお、これらの方針に基づく具体的な取扱いについては、今後、通知やQAにより示していくことを想定している。

> 「輪切り」の要件の明確化

> 医療上の必要性の要件の明確化

> 指定の早期化と
取り消し要件の明確化

オーファン医薬品の指定の対象明確化・早期化

- 希少疾病用医薬品の指定は、特にベンチャー企業においては、投資の呼び込みに当たって大きな要素となるなど、医薬品開発のインセンティブになると考えられているが、日本での指定件数は海外と比べて少なく、製薬業界から要件の見直しが求められてきた。
- 令和5年7月10日の創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会において検討を行い、希少疾病用医薬品の指定の対象明確化及び早期化を図るため、「「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について」（令和6年1月16日医薬審発0116第1号、医薬機審発0116第1号）を発出した。

主な見直しの内容

「輪切り」の要件の明確化

- いわゆる「輪切り」申請について、例えば、**年齢層（小児を含む）、治療体系、治療ライン、リスク分類、投薬の必要性等を含め、医学薬学上の適切な根拠に基づき限定するのであれば、「輪切り」には該当しない**ことを明確化。

※「輪切り」とは、医学薬学上の明確な理由なしに「重篤な」等の接頭語、ただし書き等を追加することによって、患者数を5万人未満として計算すること。これまでは、例えば、対象疾患の患者数は5万人以上であるものの、医薬品による治療が必要となる患者数は5万人未満であると推定される場合などに、「輪切り」と判断される場合があった。

医療上の必要性の要件の明確化

- 既承認薬が全くない場合のみではなく、既承認薬による**治療法がいずれも予後不良の場合など、充足性に応じて複数の治療選択肢が必要とされている場合も、要件に該当することを明確化。**
- **国際的に認められているガイドラインで治療選択肢の優先順位が高く位置づけられている場合には、要件に該当する場合があることを明確化。**

指定の早期化

- 開発段階としては、これまでは第3相試験の結果が出た後の指定となっていたケースもあったが、少なくとも**第1相試験を実施するために必要な非臨床試験については概ね完了している程度の段階であれば、要件を満たす場合**があるとした。
- あわせて、指定取り消しとなる取扱いについても明確化した。

その他の取扱い

- **優先審査の対象が増加する場合、PMDAの体制強化が必要となることから、体制強化については並行して検討することとし、それが実現するまでの間は優先審査の対象品目については、従前の希少疾病用医薬品の指定の基準を満たすものに限る**とした。
- この取扱いについては、本通知の適用後1年後を目処に、希少疾病用医薬品の指定件数等を踏まえ、見直しを検討するものとした。
- なお、この通知では明記されていないが、検討会での議論を踏まえ、従来、**通常年4回行ってきた新薬の承認の頻度を増加することにより、審議会開催後、速やかに承認し、審議会から承認までの期間の短縮を図る**こととする。

1. ドラッグラグ・ロスへの対応
 - ① オーフアンドラッグ指定
 - ② 小児適用の開発
 - ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験
2. 国際的な情報発信と治験の効率化
3. 市販後を見据えた医薬品開発
4. 最後に

小児用医薬品の開発を促進する仕組みについて

主な課題

■ 小児用医薬品の開発を促す方策

- 欧米同様に小児用の開発を義務付けるべきではないかという意見がある一方、義務化することで成人を含めて我が国での医薬品開発が滞る可能性も考えられる。
- もともと少ない小児患者に対して、義務づけにより、治験参加者の募集や上市後において、競合による非効率が生じるのではないか。
- 義務化されている欧米においても、実際には、**免除や猶予の規定**があり、その適用を求めて企業と審査当局との間で多くの折衝が行われており、また、小児剤形について同時開発は必ずしも達成できていない、という意見もある。

対応の方向性（案）

■ 成人と同時に小児用の開発計画策定を促す仕組みの導入

- **新有効成分、新効能の医薬品**については、成人用の開発時に、**企業判断で小児用の開発計画を策定し、PMDAが確認する仕組みを設けて**はどうか。
- 確認された計画について、必要な準備を進めた上で、**治験届を提出すること**としてはどうか。
 - ※ 必ずしも成人と小児において適応症が同一とは限らない。例えば、がんを対象とした分子標的薬の場合、成人と小児でがんの種類が異なっているとしても、その分子標的または作用機序に共通性があれば対象となり得るのではないか。
 - ※ 企業による開発計画策定を促すインセンティブについても別途検討
- 既承認医薬品については、特定用途医薬品指定制度を引き続き活用しつつ、更なる活用に向けた制度のあり方を検討することとしてはどうか。

■ 開発優先度の明確化

- 小児用の開発の優先度については、企業の判断によるほか、専門学会等の要望や評価を踏まえ、**優先度に関する検討を行い、結果を公表**してはどうか。
- これにより、企業の開発計画に示唆を与えたり、優先度の高い品目の開発に関して産官学で協力がしやすくなるのではないか。

1. ドラッグラグ・ロスへの対応

- ① オーフアンドラッグ指定
- ② 小児適用の開発
- ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験（検証的試験等における日本人データの必要性の整理及び迅速な承認制度のあり方）

2. 国際的な情報発信と治験の効率化

3. 市販後を見据えた医薬品開発

4. 最後に

海外開発先行品の国際共同治験前の日本人第1相試験は原則不要へ

- 海外で先行して早期の臨床開発が進められ、その後の**国際共同治験が実施される段階において日本の参加の検討が始まった医薬品では、国際共同治験への日本人の参加の可否がその後の日本での当該医薬品の導入の成否に大きく影響する**可能性がある。

- 国際共同治験に**参加する日本人の安全性を確保するとともに、当該医薬品の導入が日本で遅れることによる患者の不利益を最小化する観点から、国際共同治験の開始前における日本人での第1相試験の実施に関する基本的な考え方**をとりまとめ、通知※を発出した。

※「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第1相試験の実施に関する基本的考え方について」（令和5年12月25日医薬業審発1225第2号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）

- なお、**本通知の内容は英訳を作成・公表しており、海外ベンチャー企業に向けて情報発信**していく。

基本的考え方

- **国際共同治験開始前の第1相試験については、人種・民族や国・地域ごとに実施することが必須となるものではない。利用可能なデータから日本人治験参加者の安全性等を検討し、必要な場合を除いて原則として不要。**
- 一方、医療機関への情報提供等の観点から、第1相試験を国際共同として実施する場合にはそれに日本が参加するなど、**可能な限り日本人における薬物動態等に関する情報を収集することが望ましい。**

個別品目における判断の考え方

- 希少疾患、難治性かつ重篤な疾患又は小児（成人開発の有無を問わない。）に用いる医薬品などの**アンメットメディカルニーズが高いものについては、適切なインフォームドコンセントを得た上で、日本人第1相試験を実施せずとも国際共同治験に参加できる。**
- それ以外の品目についても、非臨床データや複数の人種での海外試験の結果等から、**日本人治験参加者の安全性が許容可能である場合には、実施不要。**一方、**患者数が多く、第1相試験を実施する時間が十分にある場合は、実施を検討すべき。**ただし、日本人におけるリスクが外国人におけるリスクを大きく上回らないと判断できる場合などは、この限りではない。
- 例えば抗がん剤などでみられるような、重篤な有害事象が高頻度に発現する医薬品であり、かつ、日本人での投与経験が少ないなど**安全性情報が限られている医薬品については、日本人第1相試験の要否についてより慎重に判断**する必要がある。

その他

- 日本人第1相試験の実施の有無にかかわらず、**承認申請までの間に、薬物動態・薬力学の国内外差の検討を行うことが重要**である。
- 治験依頼者が必要と判断した場合には、国際共同治験において、日本人に対する追加の安全確保策を設定する。
- 最終的には、PMDAは治験相談等において必要な指示又は助言を行う場合がある。

1. ドラッグラグ・ロスへの対応
 - ① オーフアンドラッグ指定
 - ② 小児適用の開発
 - ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験
2. 国際的な情報発信と治験の効率化
3. 市販後を見据えた医薬品開発
4. 最後に

これまでの海外への情報発信について

- 厚生労働省及びPMDAは、ホームページを通じ、英語で、業務の概要、主要な行政通知、審査報告書、市販後安全性情報等の情報発信を行っているほか、ICH等の主要な国際会議でとりまとめられたガイドライン等の情報については体系的に英語で発信を行っている。
- 他方、海外ベンチャー等による日本での薬事開発・申請を促す観点から薬事手続き等に関して系統立てた継続的な情報発信は行われておらず、部分的に英語の資料が作成・公表されているにとどまる。
- 近時、ドラッグ・ロス等の課題に対応する観点から、海外ベンチャー等に対する情報発信の重要性が指摘され、今年度、新たに以下の資料を作成して情報発信を行っている。

厚労省：医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集について（HP）

You can get various supports from Japanese government if you have the willingness to develop drugs in Japan.

Unapproved drugs are the ones which are approved in some European countries or US, etc. but not in Japan. In February 2020, we began accepting requests from patients including patient groups and academic societies etc. and those that have filed the committee to evaluate the medical needs of such drugs.

We are looking for the companies which can develop those suggested drugs that were considered as "high medical needs" in this committee but no companies in Japan which can develop them have been found. We would appreciate your cooperation so that these unapproved drugs can be developed in Japan as soon as possible and used in the medical field as well.

What kinds of support can we provide?

We will provide various supports such as subsidy, management supports, etc. when certain requirements are met for each support.

R & D	Application for approval	Drug price
<ul style="list-style-type: none">Subsidy (Maximum up to 50% of R&D cost, with a cap)Tax deduction (30% of R&D cost - subsidy amount)R&D support (Support medical and pharmaceutical business companies to joint development and cooperation with regulatory authorities)Priority consultation and Priority review	<ul style="list-style-type: none">Subsidy (Maximum 50 million JPY grant for each application)Management support (Provide comprehensive support for each stage from R&D to clinical use, and the other aspects in the whole process for Startup companies)	<ul style="list-style-type: none">Incentives for drug prices

For more detailed information on the unapproved drugs, we are recommending to [Pharmaceutical Development Support Center \(PDSC\)](http://www.pmda.go.jp/about/information/medicine/index.html)
<http://www.pmda.go.jp/about/information/medicine/index.html>

MHLW For inquiries, please contact Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan (MHLW), Official E-mail Information Office, Intellectual and Development Policy Division, Health Policy Bureau, Mail: Shougoukan-Med@mhlnw.go.jp

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12946.html

PMDA：海外ベンチャー向けの国内開発紹介資料（HP）

PMDA's support to Venture companies

pmda Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

Review
Safety
Japanese citizens
Relief

<https://www.pmda.go.jp/english/index.html>
July, 2023

<https://www.pmda.go.jp/files/000252851.pdf>

医薬品国内開発伴走事業（バイオテック・コンシェルジュ事業の拡充）

厚生労働省 令和6年度概算要求

令和6年度概算要求額 66百万円（9百万円）※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 近年、欧米では承認されている医薬品が日本で開発が行われない、いわゆる「**ドラッグ・ロス**」の**拡大**が指摘されている。この背景には、日本の創薬力や市場性の低下のほか、**革新的新薬のシーズを海外ベンチャーに依存するビジネスモデルへの転換**等の創薬環境の構造変化がある。
- このため、国内での中小企業への支援に留まらず、新たに、**海外の中小バイオ企業による日本での開発・薬事申請を促すため、米国等において、英語で、日本の薬事制度の情報発信、薬事の相談対応を無料**で行う。特に、「**未承認薬・適応外薬検討会議**」で**開発公募された品目**を重点的に対象とし、**日本での治験実施を含めた薬事相談**に応じる
- また、相談・支援の窓口となる拠点として**PMDA米国事務所を設置**する（国際共同治験等で米国FDAとも連携）。

日本国内未着手の86品目内訳（2023年3月）

ベンチャー発	オーファン	小児
56% (48品目)	47% (40品目)	37% (32品目)

※86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

2 事業の概要・スキーム

「未承認薬・適応外薬検討会議」で開発公募された品目等

現地（商談会、学会等）にて
 ✓ 日本の薬事制度の発信
 ✓ 日本での開発について無料相談

英語資料のまま相談可能
 （日本語への翻訳不要）



日本で開発・薬事申請

日本で開発・承認
 を目指したい

3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

（運営費交付金）

- ・人件費（伴走支援・広報）：補助率100/100
- ・旅費・滞在費（米国、欧州）
- ・翻訳・通訳費、相談ブース借料、広報費等（補助金）
- ・PMDA米国事務所経費（家賃、人件費（現地採用職員）等）：補助率50/100

アジア医薬品・医療機器薬事トレーニングセンター事業

厚生労働省 令和6年度概算要求

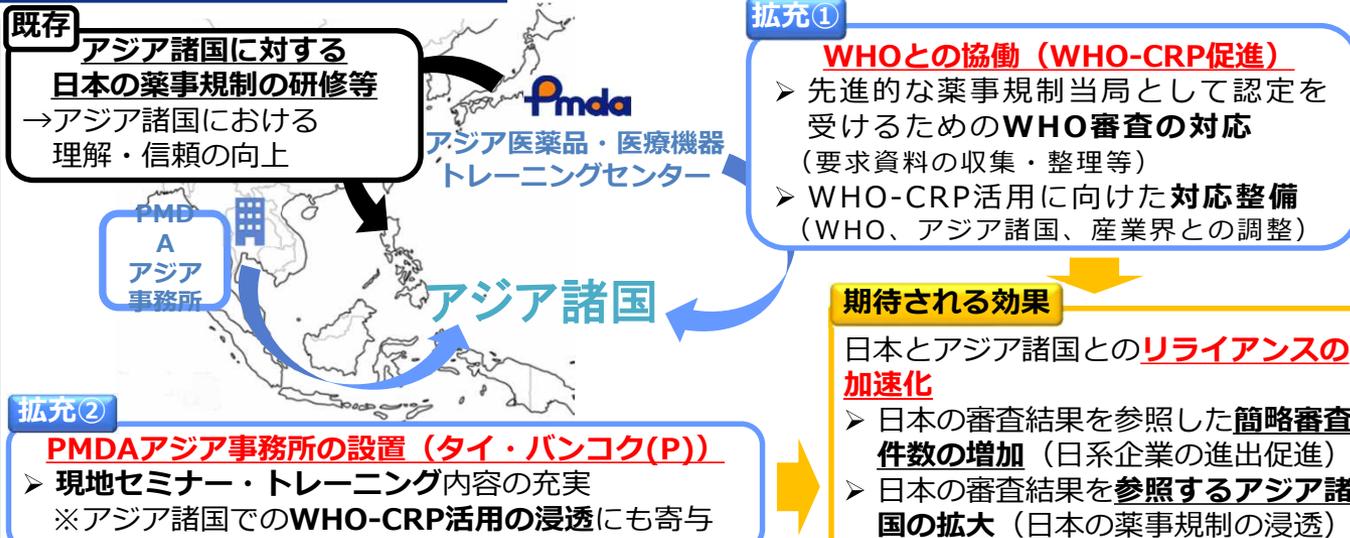
令和6年度概算要求額 2.5億円 (2.2億円) ※ ()内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 「『アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン』実行戦略」(令和2年7月14日健康・医療戦略推進本部決定)等に基づき、**アジア諸国との間で、薬事規制の調和、及びリライアンス(日本の審査結果を参照した相手国での簡略審査)の推進**が求められている。これまで、PMDAアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターにおいて、アジア規制当局担当者に対する薬事規制制度に関するセミナー・研修を積極的に実施してきた(2016~2022年度に合計85回のセミナーを開催、67の国/地域及びWHOからのべ2,570人(うちアジア諸国から2,210人)の規制当局担当者が参加)。これにより日本の薬事規制に対する理解・信頼が向上し、日本の審査結果を参照する制度(簡略審査制度)を導入するアジア諸国が年毎に拡大している。
- WHOでは、世界的にリライアンスを推進するため、**途上国が先進国の審査結果を参照して簡略審査を行えるよう、個別製品毎にWHOがコーディネートするプログラム(WHO-CRP)**を実施中。日本の医薬品・医療機器へのアクセス推進により、アジア諸国におけるUHC達成に貢献するため、WHOと協働し、我が国がWHO-CRPの利活用を推進することを進める。
- WHO-CRPで日本の審査結果を活用するためには、**WHOより、我が国が先進的な薬事規制当局であると認定されていることが必要**。WHOは、令和4年(2022年)から、世界の全規制当局に対して、新たな認定を進めることを決定しており、日米欧を含む先進国の規制当局にあっても早期にWHOの審査を通じ認定を受けることが必要。(アジア地域では、シンガポール当局・韓国当局が既に「最高の規制当局水準」として認定済み)

- 目的**
- WHO-CRPの活用を**アジア諸国に普及**させることにより、**アジア諸国とのリライアンスの加速化**を目指す。
 - WHO-CRPで日本の審査結果を活用させるため、WHOから「**先進的な薬事規制当局**」の認定を受ける。

2 事業の概要・スキーム



3 実施主体等

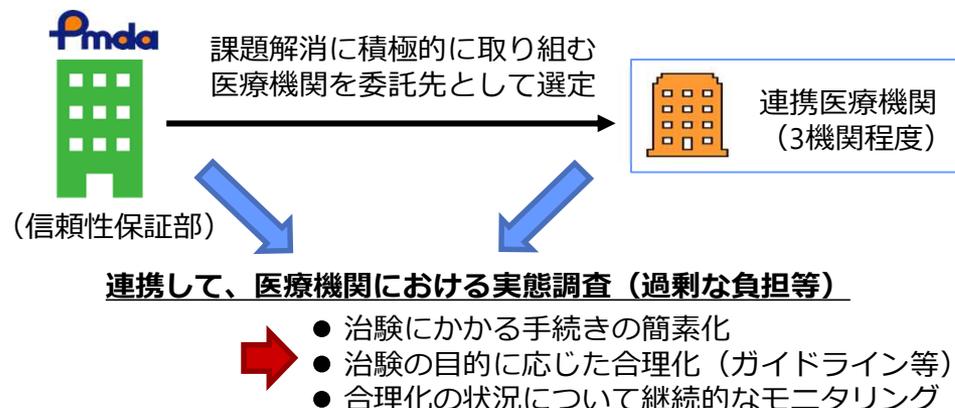
- PMDA
 - ・ WHO-CRPを通じた簡略審査を進めるための旅費、会議費、翻訳費等 (100%国が補助)
 - ・ PMDAアジア事務所の設置のための所要経費(事務所家賃、人件費(常勤・現地採用職員)、出張費、会議費等) (国:PMDA=1:1で負担)

令和6年度概算要求額 27百万円 (-) ※ ()内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 近年、欧米では承認されている医薬品が日本で開発が行われない、いわゆる「ドラッグ・ロス」の拡大が指摘されており、その要因の一つとして、**国際共同治験において、日本人症例の組入れが遅い等の理由で日本を避ける傾向**が指摘されている。
- 本事業では、国内で治験を実施しやすい環境作りのため、**国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消（治験エコシステム）を進める**観点から、
 - ① **医療機関における負担の実態調査**
GCP規制（臨床試験の実施基準）への対応において医療機関の負担となっている課題を明らかにするため、医療機関と連携し、治験依頼者（企業）から医療機関への過剰な又は重複した要求等の負担の実態を調査するとともに、海外の状況との比較を行う。
 - ② **治験エコシステムの導入**
①で確認された過剰や重複による負担を軽減するため、治験にかかる手続きの簡素化、治験の目的に応じた合理化（GCP対応の程度、データの品質等の求められる水準をガイドライン等で明確化）を進める、また、ガイドライン対応を含めた合理化の状況について、PMDAによる継続的なモニタリングを行い、必要な改善を図る。

2 事業の概要・スキーム



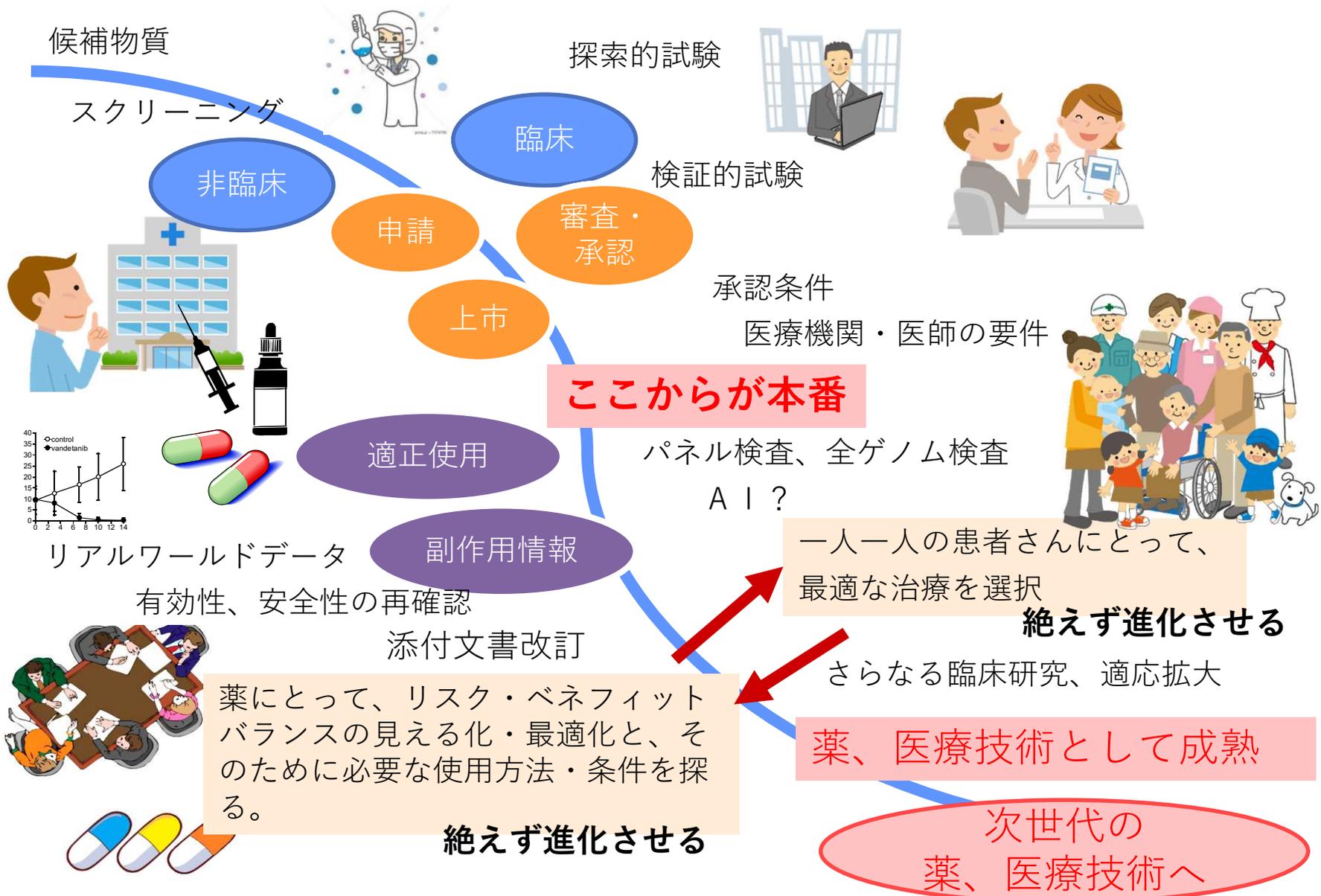
3 実施主体等

実施主体：PMDA（運営費交付金）

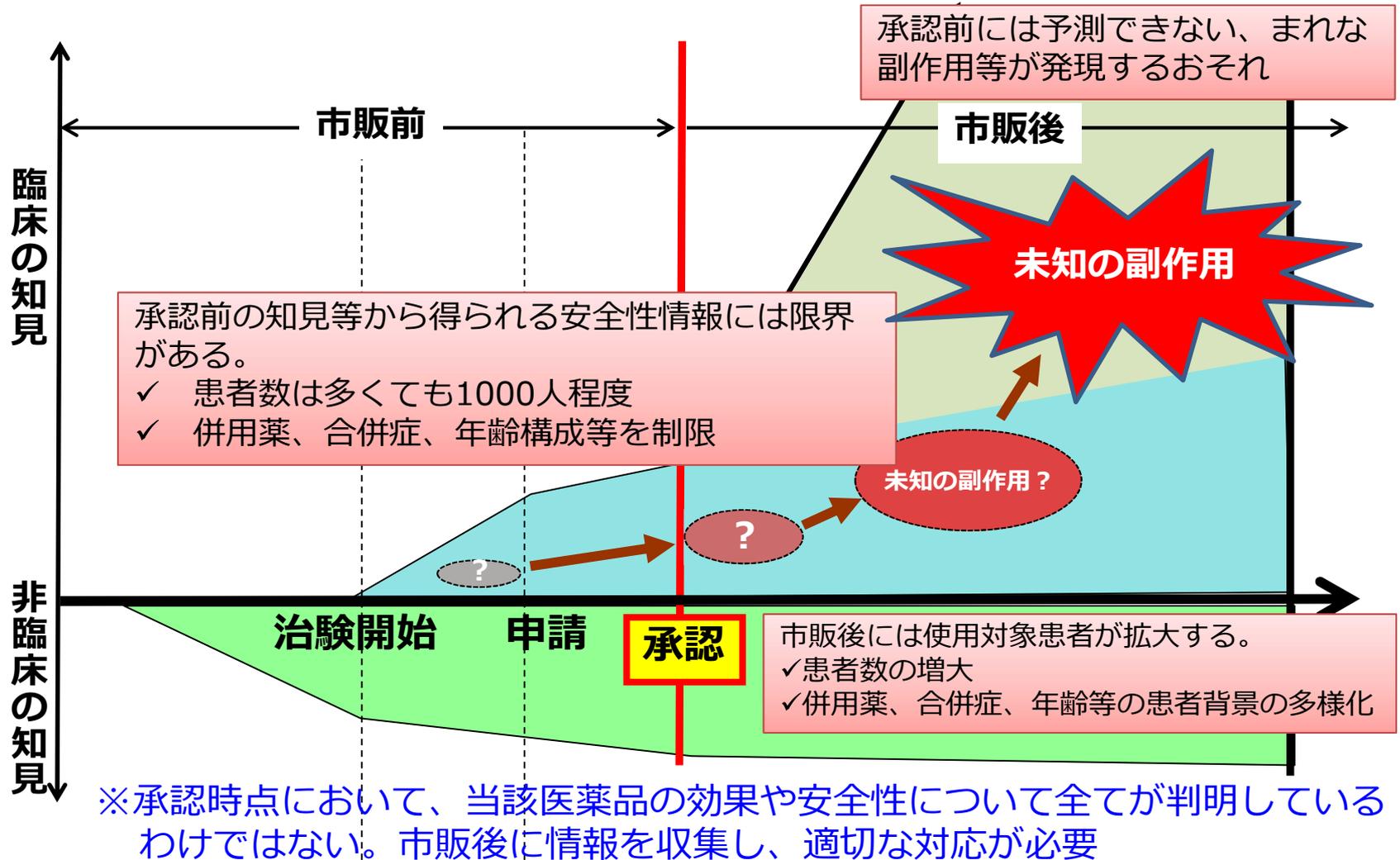
費用内訳：

- ・ 人件費：補助率50/100
- ・ 旅費
- ・ 研修会開催費等
- ・ 連携医療機関への委託費（実態調査等）

1. ドラッグラグ・ロスへの対応
 - ① オーフアンドラッグ指定
 - ② 小児適用の開発
 - ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験
2. 国際的な情報発信と治験の効率化
3. 市販後を見据えた医薬品開発
(RWDの利活用も忘れなく)
4. 最後に



医薬品の市販後安全対策の重要性

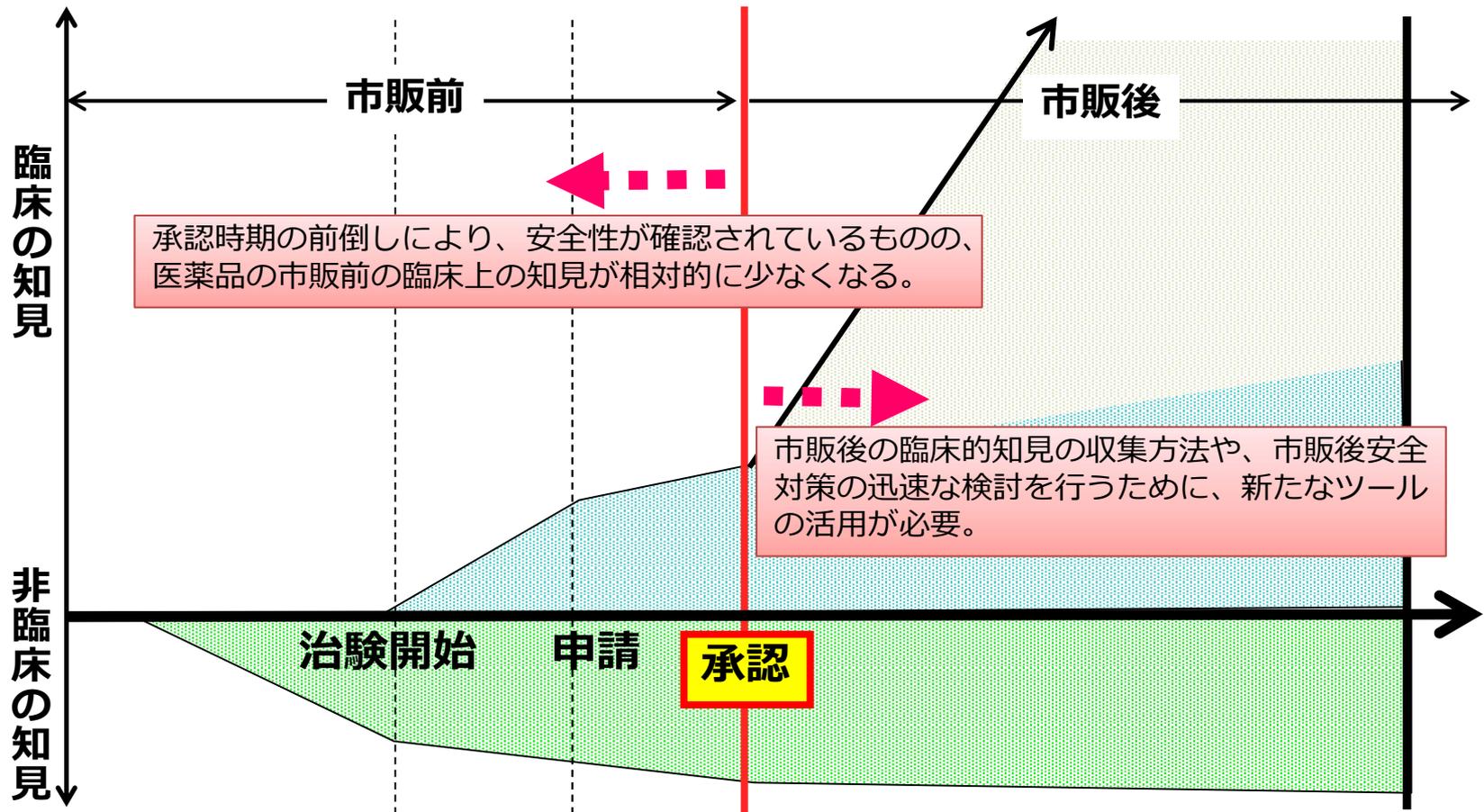


薬事承認制度の比較

	通常承認	医薬品の性質に応じた平時の承認		緊急時の迅速な承認	
		条件付き承認	再生医療等製品 条件・期限付き承認	特例承認	緊急承認
対象	全ての医薬品等	希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるもの	均質でない再生医療等製品	外国（日本の薬事制度と同等の水準の制度を有する国）で流通している医薬品等	全ての医薬品等
制度趣旨	科学的なエビデンスに基づき、医薬品等の有効性・安全性が確認された医薬品等に承認を与えるもの。	医療上特にその必要性が高い医薬品等だが、有効性・安全性を検証するための十分な人数を対象とする臨床試験の実施が困難であるものに承認を与えるもの。	再生医療等製品の特性（製品の品質や薬理作用物の発現量が不均一）に鑑み、少数例による安全性が確認された上で有効性が推定されるものに承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、外国において販売等が認められている医薬品等に承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、安全性が確認された上で有効性が推定される医薬品等に承認を与えるもの。
有効性・安全性	有効性 確認 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認
各種特例	—	第Ⅲ相試験無しで企業からの申請が可能	—	GMP調査 国家検定 容器包装 等	GMP調査 国家検定 容器包装 等

※ 米国においては、緊急時の制度として、緊急使用許可（EUA = Emergency Use Authorization）が存在。

医薬品の市販後安全対策の重要性（2）



※患者の早期アクセスを図るための「条件付き承認」「先駆け審査」などが充実。
医療情報DBの活用も含め、市販後の安全対策もより高次元に

レジストリの薬事申請等への利活用方法に関するガイドライン

- ① 「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」について(令和3年3月23日付け医薬品審査管理課長・医療機器審査管理課長連名知)

主に以下の観点について、基本的な考えや留意点などを整理したもの

- 患者集団
- 評価期間
- 自然歴の観察研究のタイプ(前向き、後向き)
- 評価項目
- 統計手法
- など

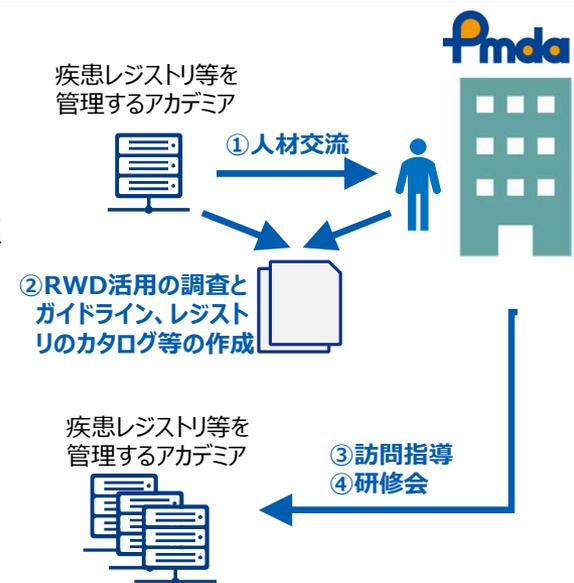
- ② 「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」について(令和3年3月23日付け医薬品審査管理課長・医療機器審査管理課長連名通知)

- ③ 「レジストリ又は医療情報データベースのデータを医薬品の承認申請、再審査等申請に利用する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集(Q&A)について」(令和4年9月14日付け医薬品審査管理課長通知)

令和5年度予算 33百万円（新規） ※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 疾患レジストリなどの医療データ（RWD; Real World Data）を薬事申請で活用するには、それに依拠して安全性・有効性の評価ができるよう、**高い水準でのデータの品質管理・信頼性保証が求められる。**
 - しかしながら、現状、**知識の普及や経験の蓄積が十分とは言い難い。**薬事申請に使用できるようなRWDを国内で整備していくためには、**疾患レジストリ等の管理者側が、承認審査において求められる品質管理や信頼性保証について十分に理解した上で疾患レジストリ等を構築・運営する必要がある。**
 - また、一方で、PMDAの調査員が、**疾患レジストリ等の管理の現状を理解し、実態に則した指導・助言を行うことも必要。**
- 
- **大学等の疾患レジストリ管理者やデータサイエンティストとPMDAの調査員が一体になって、RWD活用**に際しての**課題解決を図るとともに、RWDの活用に係る調査及びガイドライン等の整備を行うこと等により、RWDの品質管理・信頼性保証に関する知識の普及を図る。**



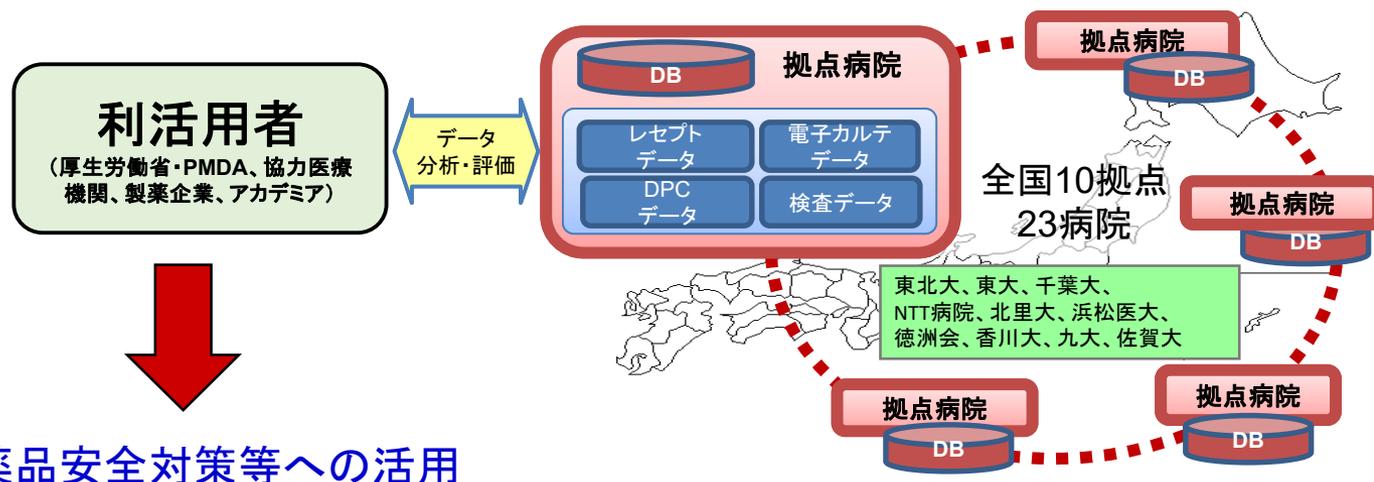
2 事業の概要・スキーム

- 大学等の疾患レジストリ管理者やデータサイエンティストが、PMDAと人材交流を行い、薬事水準の**信頼性確保の方策等**について学ぶ（PMDA職員が指導等に当たる。）
- 併せて、所属する大学等において、**RWDの活用に係る調査及びガイドライン等の作成**を行う。
- PMDA職員が疾患レジストリ等への**訪問指導及び研修会**を実施。

3 実施主体等

- 大学・大学院、国立高度専門医療研究センター
 - ・人材交流
 - ・ガイドライン等の作成費用
- PMDA（信頼性調査部門）
 - ・訪問指導（人材交流対象機関を想定）及び研修会（その他機関も参加可能）の開催費用
 - ・人材交流対象者の指導等に当たる職員の人件費

MID-NET[®] : 信頼性が担保された医療情報データベース



医薬品安全対策等への活用

< 特徴 >

多様な
データが
活用可能

信頼性が確保
(GPSP対応)

リアル
タイム性
(最短週時更新)

公的データベースとして、
医薬品評価への活用等
を主導的に検討

- ・ 平成30年4月1日より運用開始
- ・ 専用ホームページにおいて、特徴、利活用手順等の各種情報を掲載
<https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0001.html>

- 605万人超のリアルワールドデータが集積
(2022年12月末現在)
- 2024年には、MID-NET協力医療機関の追加
や国立病院機構との連携により、1000万人
超の規模*となる見込み

* : 0.1-0.01%の頻度で発現する副作用も検討可能な規模

製造販売後DB調査を利用した調査結果に係る 電子化された添付文書への記載要領の改正等

1. 対象患者群と情報提供の内容

“特定の背景を有する患者(小児、妊婦、授乳婦、腎・肝機能障害患者、合併症・既往歴等のある患者等)”のうち、データがない患者群

• 2. DBの信頼性について

① 再審査申請資料の位置づけとなるものについては、GPSP省令及び施行規則に基づく信頼性基準順守の対象であり、再審査申請時に適合性調査の対象。

② ①以外のものについては、企業によるGPSP自主担保(適合性調査の対象外)とする。ただし、企業による自主担保の状況等について、添付文書改訂の過程において必要に応じて聴取する。

• 3. 調査計画の妥当性等について

原則、①査読付き学術雑誌に公表されたもの、又は②DB調査計画に関して調査開始前にPMDAと相談している場合を対象。

また、DB調査の特徴が生かせるように対照群との比較を基本とし、希少疾病については単群でも可とする。

• 4. 情報提供の方法について

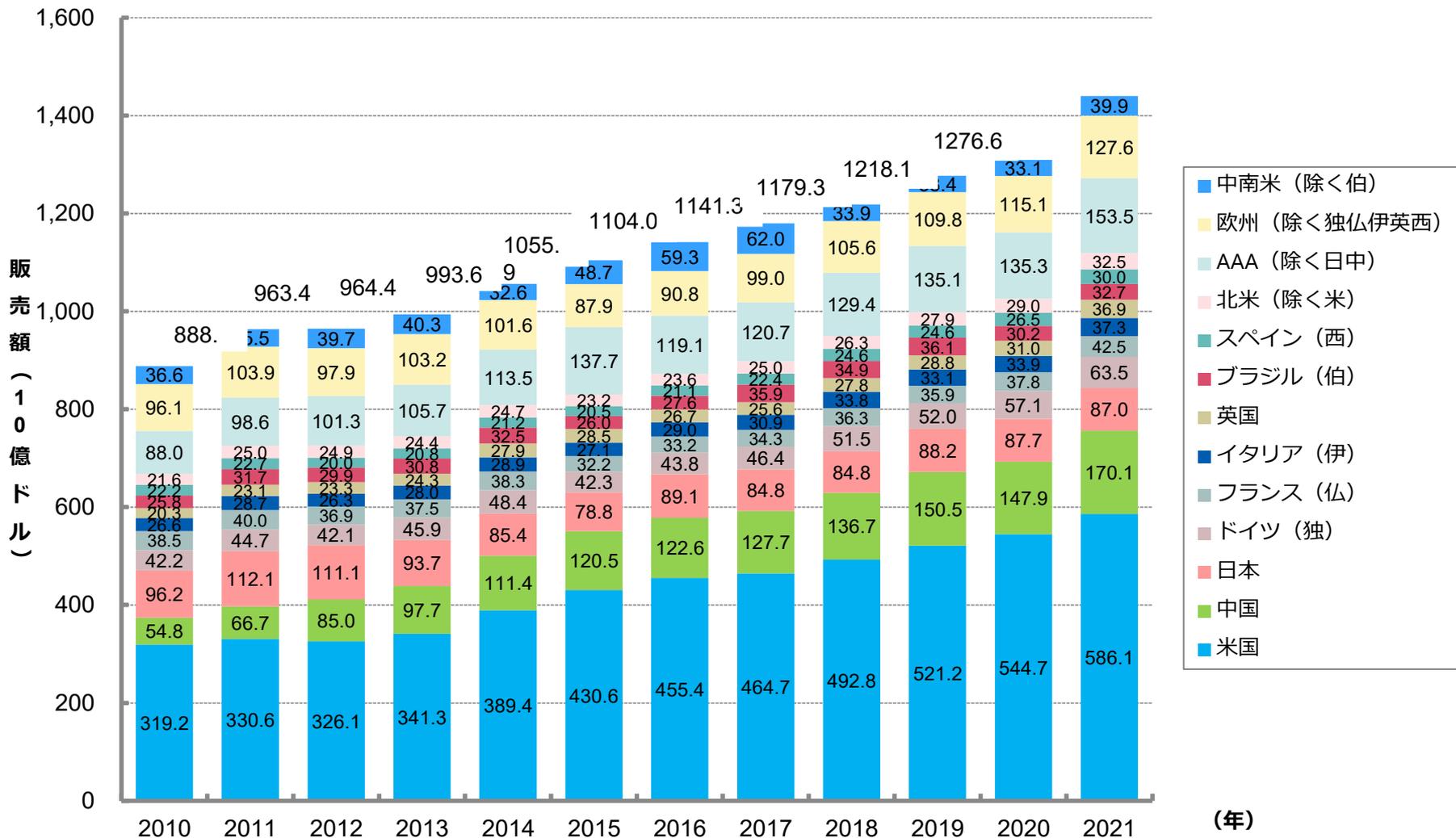
添付文書での記載場所としては、新添付文書記載要領第17.2項への記載を基本とし、更に具体的注意喚起が必要な場合には、内容に応じ第15.1項又は第9項等へ追加的記載を行う。また、添付文書では簡易な記載とし、詳細な調査方法・結果等は公表の上、添付文書に主要文献として引用する。

• 5. 個別案件の相談の枠組みについて

当面、既存の「その他の安全対策計画に関する相談」及び「添付文書改訂等相談」を活用。

1. ドラッグラグ・ロスへの対応
 - ① オーフアンドラッグ指定
 - ② 小児適用の開発
 - ③ 国際共同治験に参加するための日本人P1試験
2. 国際的な情報発信と治験の効率化
3. 市販後を見据えた医薬品開発
4. **最後に**

世界の医療用医薬品の販売額推移(地域・国別)



※AAAは、アジア・アフリカ・オーストラレーシアの略

※出典：Copyright© 2023 IQVIA. IQVIA World Review, Data Period - Year 2010-2021をもとに医薬産業政策研究所にて作成 (無断転載禁止)



**Therapeutic Goods (医薬品等) を通じた国民
保健の向上を目指します！
ドラッグ・ロス対策やっていきます！**

ご清聴ありがとうございました。

Kiyohito Nakai, Ph.D.

Director

Pharmaceutical Evaluation Division
Pharmaceutical Safety Bureau, Ministry of
Health, Labor and Welfare, Japan