

平成 23 年 6 月 22 日（水）10 時から  
都市センターホテル オリオン

## 第 2 回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会

### 議 事 次 第

1. 医薬品・医療機器薬事戦略相談について
  - (1) 相談事業の対象となる分野の優先順位
  - (2) 薬事戦略相談の実施方法
2. その他

#### 【配付資料】

- 資料 1 医薬品・医療機器薬事戦略相談事業の実施にあたって  
資料 2 前回懇談会における主な議論

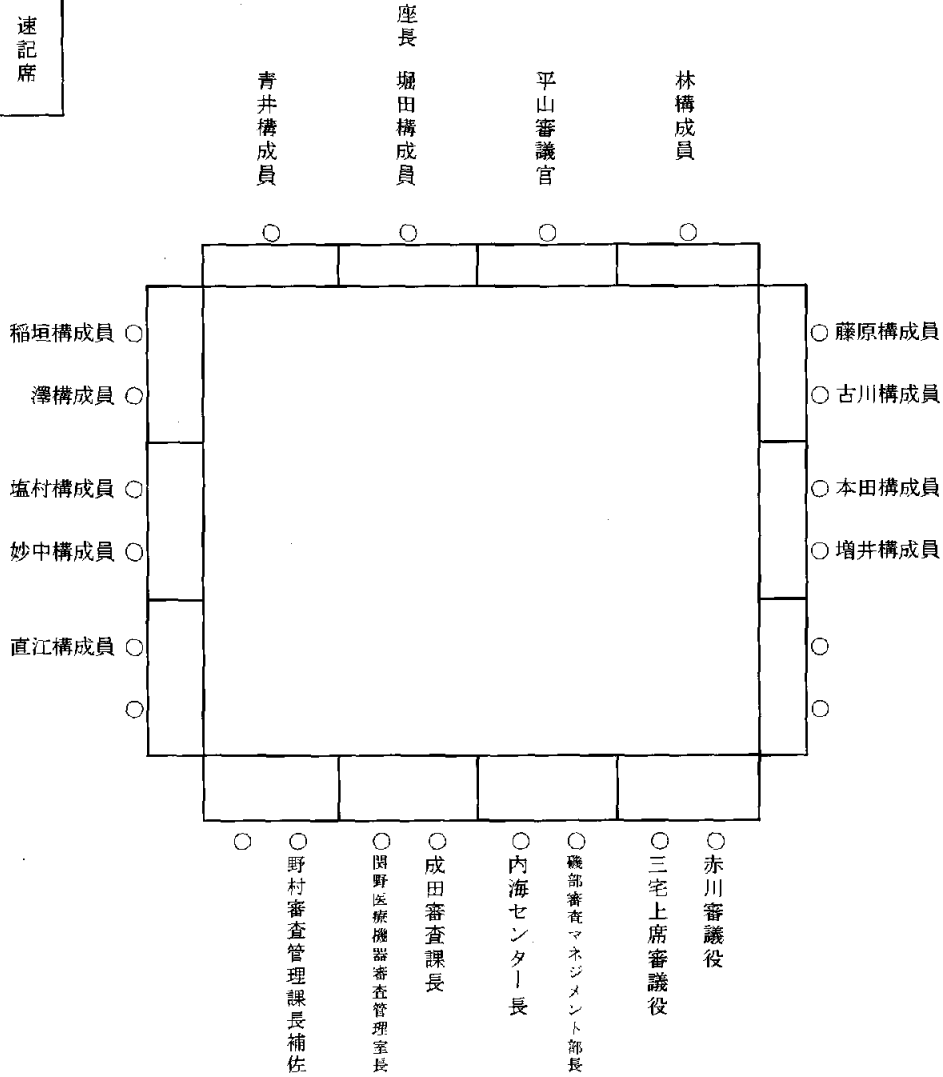
- 参考資料 1 「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」開催要項  
参考資料 2 「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」構成員名簿  
参考資料 3 医薬品・医療機器薬事戦略相談事業について（前回資料 3）  
参考資料 4 再生医療における制度的枠組みに関する検討会について（前回資料 4）  
参考資料 5 薬事戦略相談の実施に伴う細胞・組織加工医薬品・医療機器の取扱いの変更について（局長通知案）  
参考資料 6 医薬品・医療機器薬事戦略相談事業の実施について（理事長通知案）  
参考資料 7 2011 年 6 月 10 日 日本バイオテック協議会意見

第2回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会（座席表）

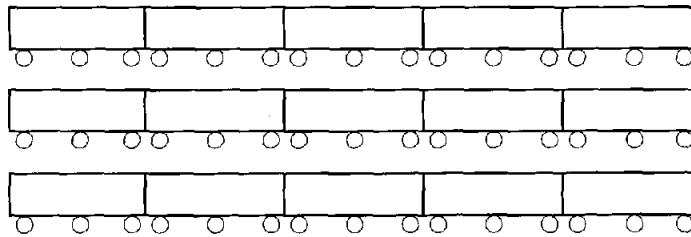
（場所）都市センターホテル オリオン

平成23年6月22日（水）10：00～12：00

速記席

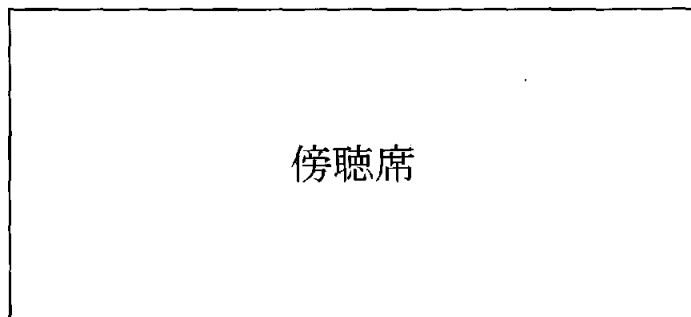


事務局席



入り口

傍聴席



# 医薬品・医療機器 薬事戦略相談の実施にあたって

平成23年6月22日

1. 相談事業の対象となる分野の優先順位
2. 薬事戦略相談の実施方法
3. その他

# 1. 相談事業の対象となる分野 の優先順位

# 1. 相談事業の対象となる分野の優先順位について

## <案>

相談の件数が多く、例えばデータの評価を伴う相談を絞らざるを得ない場合、以下の分野を優先してはどうか。また、分野間の順位は問わないこととしてはどうか。

- ① 再生医療(細胞・組織加工医薬品・医療機器)分野の製品
- ② がん分野の製品
- ③ 難病、希少疾病分野の製品
- ④ 小児分野の製品
- ⑤ 革新的技術を利用した製品

なお、必要に応じ、優先分野においても、シーズの特徴等に基づき、実用化の可能性なども考慮に入れて選定することとしてはどうか。

# (参考)医療イノベーションにおける個別重点分野の研究開発支援

## 日本発の革新的な医薬品・医療機器の研究開発の推進

基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況を解消するため、基礎研究から実用化の間の橋渡しに支援を重点化する。臨床研究中核病院等の創設をはじめ、基礎研究から非臨床試験・臨床試験につながる段階の支援体制を強化するとともに、臨床試験の推進体制・制度改革を検討する。

### これまでの課題

○ 新薬の開発には多大な費用と長い時間がかかり、リスクも高い。そのため、優れたシーズを広く学会などから吸い上げ、産業界の新薬開発につなげることが不可欠であるが、この橋渡しが円滑に進まない。

○ 日本は、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験体制(人材及び設備)が不十分であるため、基礎研究成果(シーズ)が日本発であっても、インフラの整った海外で先行して実用化された後、遅れて日本に導入される状況にある。

※ICH-GCP (International Conference on Harmonisation-Good Clinical Practice) 人を対象とする治験・臨床研究の倫理的、科学的な質を確保するための国際的な基準

### 具体的な政策

#### 【日本の臨床研究の質・量の向上】

- ①臨床研究中核病院等の創設  
ICH-GCP水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院等を創設し、ヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験等を推進し、臨床研究中核病院等においては、未承認等の医薬品・医療機器について、その特性に応じて先進医療制度の申請・審査手続きの効率化を図る。
- ②臨床研究に係る研究費の拡充・集中及び審査組織の創設  
臨床研究のプロトコル審査を一元的に行う組織を創設するとともに、その審査で見込みのある研究に対して研究費を集中的に投入する。
- ③革新的な医薬品・医療機器創出のための人材の育成
- ④臨床研究・治験活性化のためのIT基盤の整備
- ⑤臨床研究・治験の無過失補償制度の創設の検討 等

#### 【個別重点分野】

- ①がん  
日本発のがんワクチン療法による革新的がん治療の開発のほか、難治性がんや再発がんを中心に、バイオマーカーを用いた新規性の高い画像診断方法の開発や、がん幹細胞を標的とした革新的な治療技術の開発を推進する。
- ②再生医療  
切れ目ない基礎研究から臨床研究・実用化への移行を可能とする仕組みを構築するとともに、効率的で加速度的な臨床研究が実施できる臨床研究支援体制等の基盤構築を目的とした研究を実施する。
- ③医療機器  
世界標準の臨床試験実施体制を有する施設における試験研究が円滑に実施できるよう、薬事に係る諸手続の合理化等を行うとともに、改良・改善に伴うリスク評価を可能にする基準の策定や、ものづくり企業の技術が早期に実用化されるよう審査・相談体制を強化する。
- ④個別化医療  
病態の解明や日本発の診断・治療法の開発に必要な基盤整備を目指して、バイオバンクを構築する。また、難治性疾患患者の遺伝子の解析を推進するとともに、医薬品等の安全対策の向上に活用するための医療情報データベースを構築する。

## 2. 薬事戦略相談の実施方法



# 相談区分

## ○ 医薬品戦略相談

- ・ 開発初期段階から、今後の新有効成分含有医薬品の承認に向けて、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。

## ○ 医療機器戦略相談

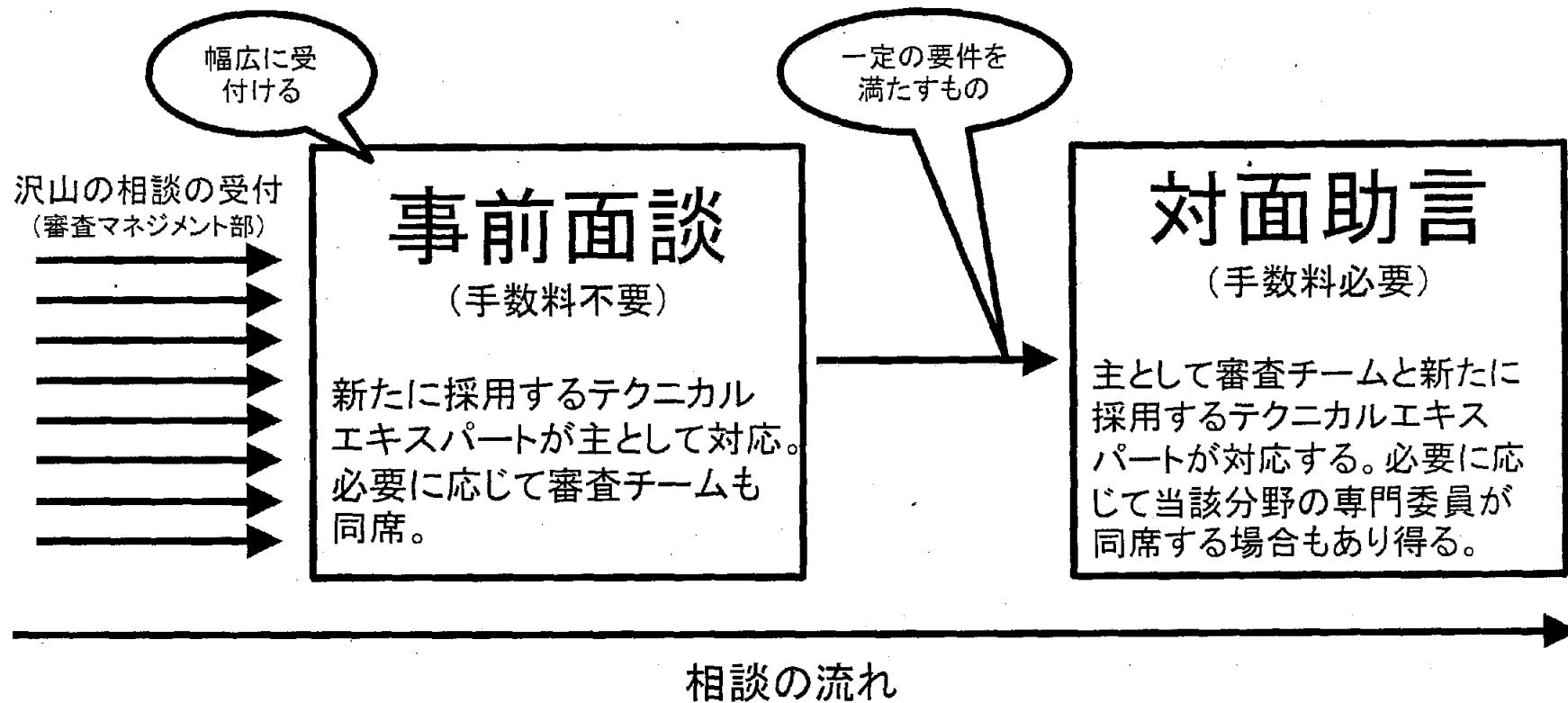
- ・ 開発初期段階から、今後の医療機器、体外診断薬の承認に向けて、事前の面談を踏まえ、必要な試験等について、データの評価を伴う案件の相談を行う。

# 相談対象

- 開発初期からPOC試験程度までの承認申請に向けて必要な試験について、有望なシーズを有する大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象とする。

# 相談の流れの概要

- 予め事前面談を行い、その結果を踏まえて対面助言を行う。
- 医薬品や医療機器に関連する研究・開発・薬事等の何れかに精通した者を新たにテクニカルエキスパートとして採用する。

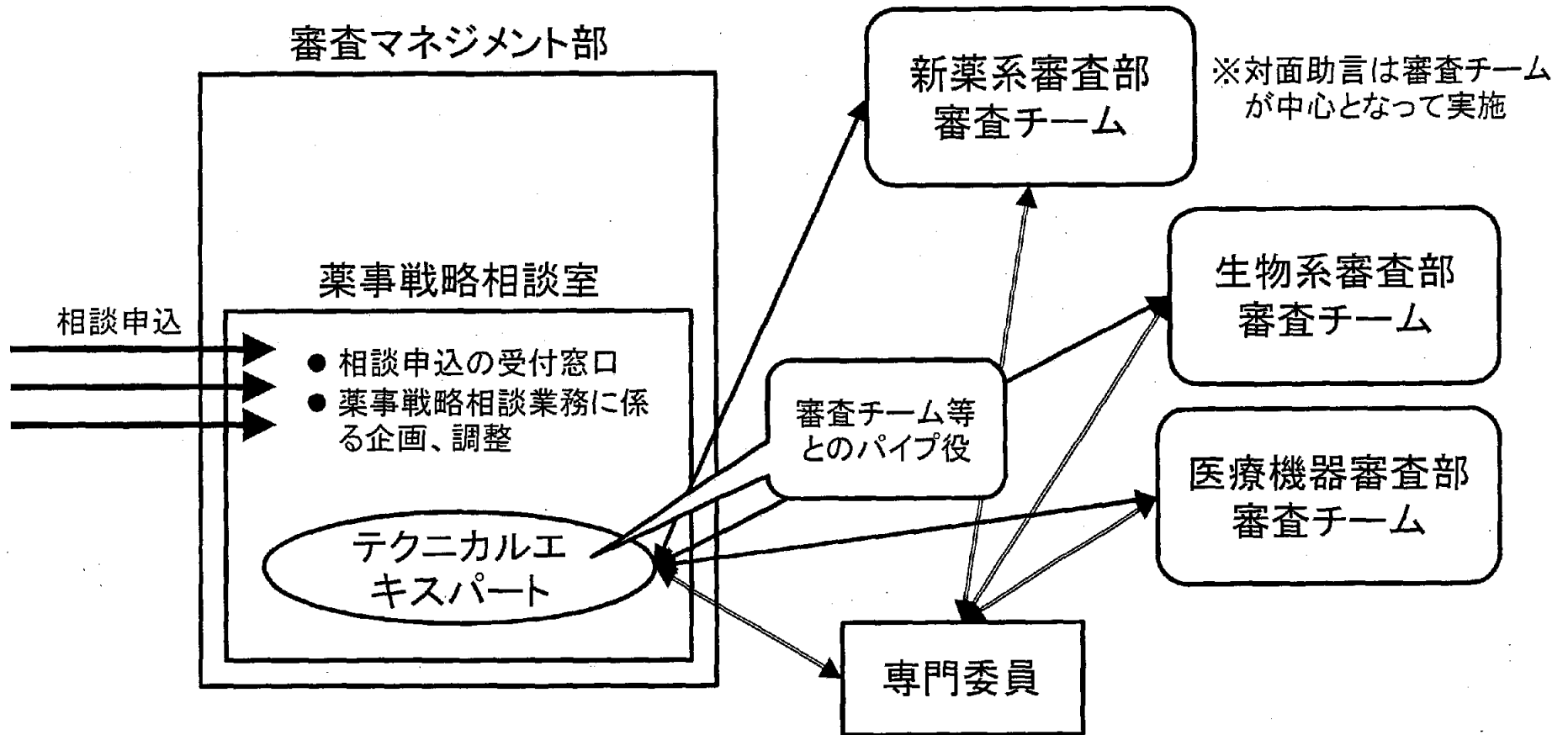


# 相談体制

- PMDAにおいては、新たに研究・開発・薬事等に精通したテクニカルエキスパートを雇用して、大学・研究機関、ベンチャー企業等との相談窓口とする。
- 相談は、テクニカルエキスパートに承認審査を担当する審査員も加えた対面で実施する。
- また、テクニカルエキスパートは、相談者毎に担当を決めるなどして、相談後のフォローアップも行えるようにする。
- 大学・研究機関、ベンチャー企業等に対し、薬事戦略相談に関する説明会を開催する。

# 相談体制

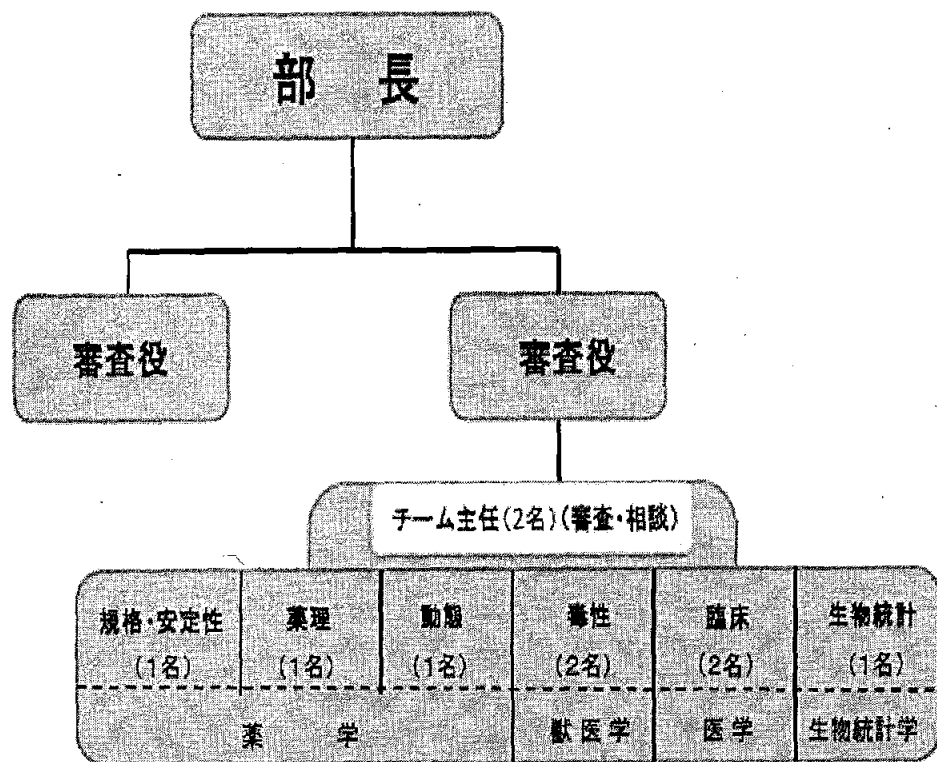
- 薬事戦略相談業務を円滑に行うため、審査マネジメント部に新たに薬事戦略相談室を設置予定。



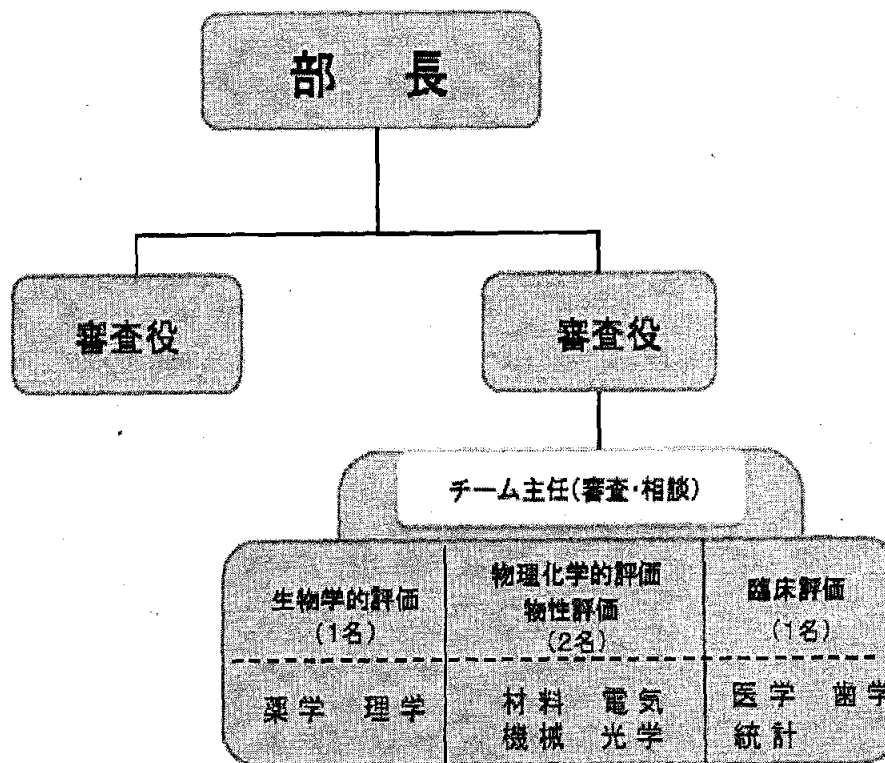
※ 非常に新規性の高い分野や専門的な相談内容の場合は専門委員も相談等に参加

# (参考) 審査チームの体制

【新医薬品の審査の場合】



【新医療機器の審査の場合】



# 対面助言を実施する要件

- PMDAの現状の審査体制や予算の観点から、相談を受けることができる件数には限りがあることから、事前面談を受けたものの中で、本懇談会におけるご意見等により、優先順位が高いとされた分野であって、なおかつ、その中でも、例えば、医薬品の場合は物質特許を出願中もしくは取得しているもの、医療機器の場合は機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの、又は将来的に画期的医薬品もしくは医療機器として実用化される可能性が高いもの等、有望性が期待できるものを優先的に対面助言の対象としてはどうか。ただし、機構における相談の受付け状況等によっては、それら以外のものについても、相談を受付ける場合もある。

注)なお、従来の確認申請に相当する相談案件で、対面助言を受ける状況にある場合には、治験に入る段階であることもあり、事前面談で対面助言の対象となるかどうかの判断をすることはないものと考えている。

医薬品戦略相談	医療機器戦略相談
<ul style="list-style-type: none"> <li>○「優先分野」 本懇談会の意見等を踏まえ決定。</li> <li>○「有望性」の例               <ul style="list-style-type: none"> <li>①医薬品シーズについての物質特許を出願中もしくは取得しているもの</li> <li>②将来的に画期的医薬品として実用化される可能性が高いもの</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○「優先分野」 本懇談会の意見等を踏まえ決定。</li> <li>○「有望性」の例               <ul style="list-style-type: none"> <li>①機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの</li> <li>②将来的に画期的医療機器として実用化される可能性が高いもの</li> </ul> </li> </ul>

# 事前面談と対面助言

## (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。

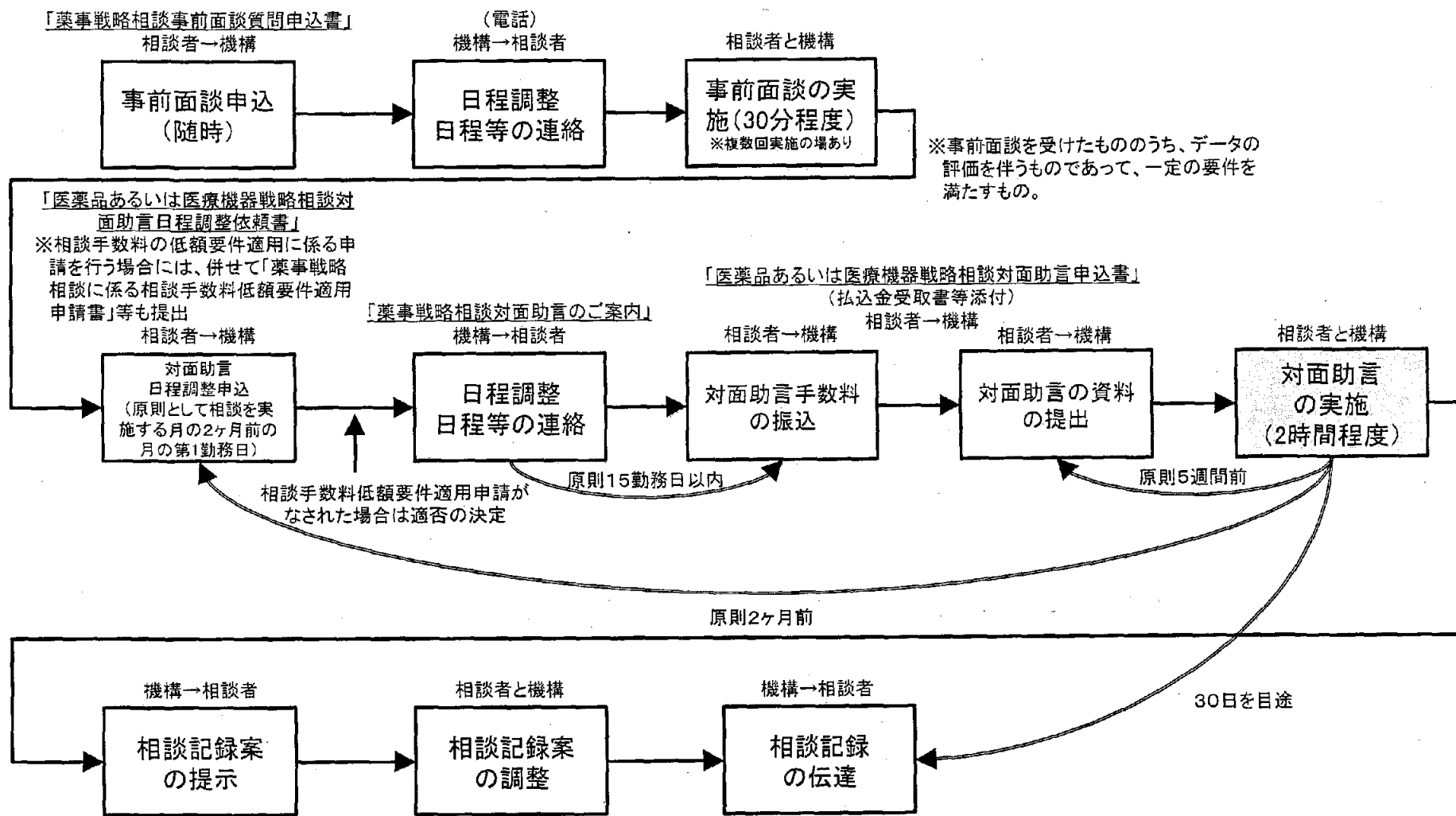
## (対面助言(手数料必要))

- 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。
- なお、細胞・組織加工製品(従来、承認申請制度で対応してきた人又は動物由来の細胞・組織を加工(薬剤処理、生物学的特性改変、遺伝子工学的改変等をいう)した治験薬又は治験機器)については、治験計画の届出を行う前の当該製品の品質及び安全性等に係る相談にも対応する。



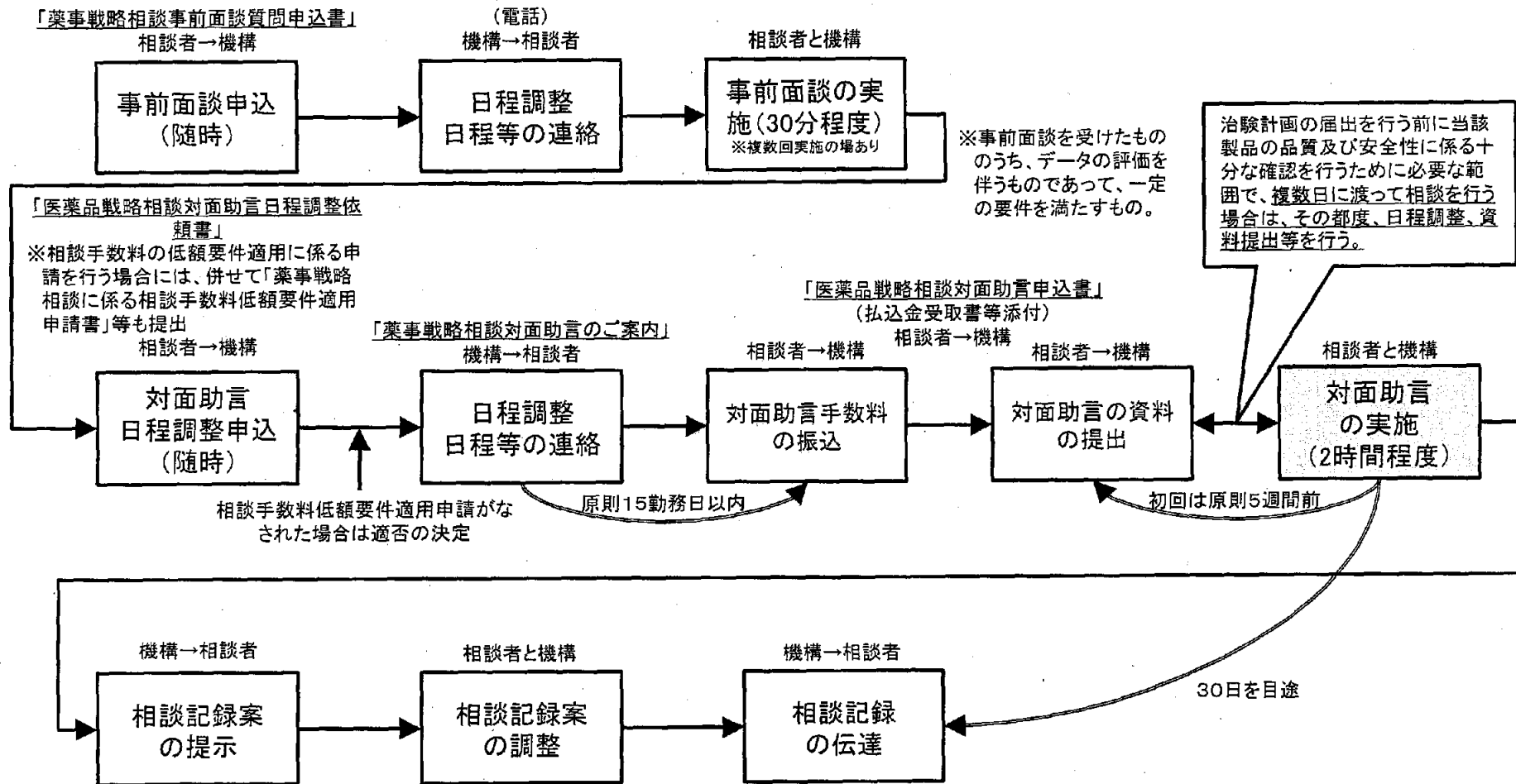
# 薬事戦略相談の流れの詳細(案)

(従来の確認申請相当分を除く薬事戦略相談の場合)



# 薬事戦略相談の流れの詳細(案)

(従来の確認申請相当分の薬事戦略相談の場合)



# 対面助言の際の相談手数料等

医薬品戦略相談※1	1相談当たり※2	1,498,800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	1相談当たり※2	149,800円
医療機器戦略相談※3	1相談当たり※2	849,700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	1相談当たり※2	84,900円

※1:細胞・組織加工製品は、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。

※3:体外診断薬は、医療機器戦略相談の手数料を適用。

(細胞・組織加工製品の手数料等に係る取り扱い)

- 品質及び安全性に係る相談については、治験薬、治験機器のいずれにおいても、当該手数料は、「医薬品戦略相談」区分の手数料(1,498,800円)とする。
- また、その場合は、同一の治験薬又は治験機器を対象とするものであって、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う場合であっても、「医薬品戦略相談」1相談分の手数料とする。
- ただし、治験プロトコル等品質及び安全性以外に係る相談を併せて希望する場合には、相談区分に応じた手数料を別途納付して頂くことになる。この場合、品質及び安全性に係る相談に引き続き併せて治験プロトコル等に係る相談を行うことは可能。

# 「別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業」(低額要件適用対象) (案)

原則として、下記の要件をすべて満たすこと。

(大学・研究機関)

- 国から当該シーズに係る研究費を医薬品については9,000万円、医療機器については5,000万円程度以上受けていないこと
- 当該シーズに係る製薬企業・医療機器開発企業との共同研究契約等により、当該シーズの実用化に向けた研究費を当該企業から受けていないこと

(ベンチャー企業)

- 中小企業であること(従業員数300人以下又は資本金3億円以下)
- 他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと
- 複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと
- 前事業年度において、当期利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと

# 相談手数料の低額要件適用 に係る申請書類

(大学・研究機関の場合)

- ① 薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書
- ② 当該研究の代表者が取得している当該シーズに係るすべての研究費について、当該内訳及び研究テーマが把握できる資料並びに交付決定通知書の写し(前事業年度を含む3事業年度分)。

(ベンチャー企業の場合)

- ① 薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書
- ② 前事業年度に係る事業報告、貸借対照表、損益計算書及び法人税確定申告書別表第二の写し(又は株主(出資者)名簿)。ただし、資本金が3億円を超える場合には、併せて、労働保険概算・増加概算確定保険料申告書の写し等従業員数が確認できる書類。

# 相談記録

- PMDA側と相談者側の出席者名、相談内容とそれに対するPMDAの意見等をまとめた記録を作成し、相談者に伝達する。
- ただし、薬事戦略相談については、治験相談より開発初期段階からの相談であるので、PMDAとしての意見を示しにくい場合もあると考えられる。この場合、PMDA審査員と相談者との意見交換した内容を中心に記録をまとめる場合もある。

### 3. その他

# PMDAの基本スタンス①

- 審査当局であるPMDAでは、有望なシーズを将来の承認申請に向けて、どのような試験が必要かについての的確なアドバイスをしていくことが求められていると認識。
- 開発初期段階ではアドバイスできることが限られたり、得られた試験結果によっては、追加の試験をお願いしたりすることもある。相談者と意見が対立することもあると思うが、医療イノベーションを進め国民・患者により有効で安全な医薬品・医療機器を迅速に提供するために、重要な仕事と認識しているので、積極的に取り組むものである。



## PMDAの基本スタンス②

- 審査当局である以上、国民の命と健康を守る観点から、厳しい指摘をせざる得ない場合もあるが、相談者が苦勞している内容をよく理解して親身いかえれば懇切丁寧に対応することは大事だと認識。
- 相談者が、相談したい項目、内容に対して、現在の科学技術や実行可能性を踏まえて、極力、的確に応えて行くことが重要と認識。
- なお、これまでの研究者等との相談では、PMDAに対して何でも相談に乗ってくれるとして質問されてこられる場合もあるが、PMDAからは品質、有効性及び安全性をどのように確保できるかという面からのアドバイスに限られる。

# 相談者に対するお願い

- 相談対象となる医薬品、医療機器の内容、これまでに得られているデータ、どのように使用し、どのような効果を目指しているかを明確にして、相談資料を作成していただきたい。
- 相談の際には、相談者として実用化に向けて、どのような課題があるのか、相談者としての考えを明確にしていただきたい。

# 従来、確認申請で対応してきた細胞・組織 加工製品に対する対応

## ①従来、確認申請で対応してきた細胞・組織加工製品に関する相談の基本スタンス

薬事戦略相談は、確認申請と異なり、事前審査報告書を作成するわけではなく、品質・安全性について、治験に入っているレベルにあるかどうかを評価し、必要な指導を行うことが基本である。

## ②細胞・組織加工製品の治験プロトコールに対する相談

細胞・組織加工製品について、従来の確認申請では行われていなかった治験プロトコールの相談についても対応する。ただし、原則として、確認申請に相当する品質・安全性に関する相談とは別相談扱いとする。

## ③開発初期段階での品質・安全性に関する相談

従来の確認申請では、治験に入れるレベルの品質・安全性のデータを揃えてから、確認申請を行うこととなっていたが、薬事戦略相談では、開発初期から必要な品質・安全性に関する試験の相談にも対応する。

# (参考) 薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組

PMDAのHPにて使用した資料等を紹介

<http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/report.html>

- 「新たに医療機器産業に参入する企業のためのセミナー」スライドについて(PDF形式)
- 「新たに医療機器産業に参入する企業のためのセミナー」開催のご案内について(PDF形式)
- 平成22年度医薬部外品承認申請実務担当者説明会資料
- 平成22年度 GCP研修会開催のご案内(募集は締め切りました)
- 第16回GLP研修会(平成22年度)開催のご案内(募集は締め切りました)
- 平成22年度初級臨床研究コーディネーター養成研修およびローカルデータマネージャー養成研修の開催について(募集は締め切りました)
- 医薬品承認申請実務担当者研修会講演資料
- 承認申請書記載要領・軽微変更等に関する説明会資料(PDF形式)
- 細胞・組織を利用した医療用具又は医薬品の確認申請について
- 「再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会」
- 「平成22年度 再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会」
- QMS調査について(PDF形式)
- 外国機関報告書の邦訳
  - 厚生労働省・医薬品医療機器総合機構と欧州委員会(EC)・欧州医薬品庁との間で、秘密保持契約を締結
  - 新しい医薬品・医療機器のためのクリティカル・パス上に存在する課題と機会(米FDA、2004年3月)(PDF形式)
  - クリティカル・パス計画報告書ー医薬品・医療機器の研究開発に関するヒントー(米FDA、2006年3月)(PDF形式)
  - 欧州医薬品庁2010年へ向けてのロードマップ: 将来に向けた基盤整備(欧州医薬品庁(EMEA)、2005年3月)(PDF形式)

# (参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組 (事例の一部をご紹介します)

## 再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会

### 1. 日時

平成22年6月28日(月)13:30~17:40 講習会は終了いたしました

### 2. 会場

医薬品医療機器総合機構会議室

### 3. 対象

再生医療/細胞・組織加工製品について、基礎的研究の段階を含め薬事法に基づく、開発、実用化に関心のある方。

### 4. 定員

140名 程度 (無料)  
(200名 を超えるご参加を頂きました。)

### 5. 内容

開会の辞 医薬品医療機器総合機構 理事長 近藤 達也

再生医療/細胞・組織加工製品に係る薬事法規制概論 資料①

再生医療/細胞・組織加工製品の審査/相談ケーススタディ(薬事法下での開発を見据えた基礎研究、品質評価、非臨床評価、臨床評価など)  
資料②、資料③

対面助言業務の実際 資料④

意見交換会

閉会の辞 医薬品医療機器総合機構 理事・審査センター長 内海 英雄

(参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組  
(事例の一部をご紹介します)

# 新たに医療機器産業に参入 する企業のためのセミナー

医療現場で使用する医療機器や医薬品について、その品質、安全性等の審査を行っている独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、社団法人電子情報技術産業協会(JEITA)と協力し、新たに医療機器産業に新規参入を検討されている電機、電子、電子部品・材料等企業の役員クラス、関係部門責任者を対象としたセミナーを開催することにいたしました。

近年、医療機器専業企業以外のエレクトロニクス企業などが医療機器産業に関心もち、新規市場として参入を目指す動きがあります。

このような背景から独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、薬事法の様々な制度、開発段階から審査、承認に至るスキームについて、わかりやすく解説いたします。

日時：平成23年4月7日(木) 10:00~17:20

於：独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA) 6階会議室

東京都千代田区霞が関3-2-2新霞が関ビル

受講料：無料定員：100名

※定員になり次第締め切らせて頂きます。その場合のみご連絡申し上げます。聴講申込期限：  
平成23年4月1日(金)

対象：新規参入を検討されている企業の役員クラス、関係部門責任者

# (参考)薬事制度等の周知に関するPMDAのこれまでの取組 (事例の一部をご紹介します)

## 平成22年度 GCP研修会のご案内

主催:独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
財団法人 日本薬剤師研修センター

今般、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、財団法人 日本薬剤師研修センターと共催で医薬品等に係るGCP及びGPMSP/GPSPに関する平成22年度の研修会を企画いたしました。本研修会では、例年、薬事法に定められた承認申請資料等の基準適合性調査の目的や調査の際の問題点に加え、適切な臨床試験を実施するための留意点等について最近の事例を紹介しております。

GCP及びGPMSP/GPSPを巡る状況をまとめて研修できる機会であります。治験依頼者及び治験実施医療機関等でご活躍の皆様にとって有意義な研修になるものと確信しており、実務における本研修会の活用を期待いたしております。職種を問わず積極的にご参加いただきますようご案内申し上げます。

## 前回懇談会における主な議論

## 1. 相談事業の対象となる分野の優先順位について

- ・ 治療法がなく、致命的なもの（がんや難病等）に力を入れるべき
- ・ 糖尿病や認知症等国民的に大きく影響を与えているものも考慮に入れるべき
- ・ ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグという観点も重視すべき
- ・ アンメットニーズに対する対応や希少疾病を考慮すべき
- ・ 産業化や、産業に対する貢献という観点も視野に入れて検討すべき

## 2. 実施上の留意点、円滑な実施に関する事項

## (1) PMDA の相談体制

- 審査員の質の確保が重要
- トランスレーショナルリサーチの知識のある人材の確保が望まれる。
- 相談の守備範囲として、生物統計や薬事法的な話だけではなく、シーズが本当に製薬に結びつくものかの相談が望まれる。
- 相談者と PMDA が厳しい緊張感の中で一体化して考えるべき
- 最初の相談から承認まで審査員を固定すべき
- 既存の医薬品・医療機器の適応拡大、併用療法、最適化についても PMDA の相談対象としてほしい

## (2) 各分野に特有の留意事項

- 「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」の検討結果（議論の透明性の確保、専門家の参画、期間を区切った実施、オーバースペックの排除）を反映すべき
- 医療機器特有の改良・変更に対する対応
- iPS 細胞/ES 細胞の臨床応用に向けた相談にあたっては、従来の医薬品/医療機器、組織加工医薬品/医療機器と異なる点が多いことに留意すべき

## (3) その他考慮すべき点

- 有望なシードの企業への円滑な受け渡しができるような社会環境が重要
- 臨床試験に至る前の段階からの研究の充実や企業の関与に対する理解が重要
- 相談の前段階として、研究者が薬事法にまつわる諸手続や考え方などについて容易に理解できるような仕組みが必要
- 個別相談のみならず、多くの人を対象としたセミナーを企画してもらいたい。
- あらかじめ評価方法や指標が定まっていない分野も対象となることから、PMDA が相談者とともに考えていく姿勢が大事
- 将来的にはレギュレーションコストに対する対応も行うべき
- 安定供給に対する対応も考慮すべき
- 医療機器に関しては既存メーカーだけではなく、多種多様なものづくり企業の新規参入も考慮することが必要



## 「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」開催要項

### 1. 目的

平成23年度より、シーズ発見後のアカデミア（大学）、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とし、医療イノベーションの一環として「薬事戦略相談」を導入することとしている。

「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」（以下「懇談会」という。）は、官民協力により事業を推進するため、2. に掲げる事項について検討を行うことにより、「薬事戦略相談」が有効に活用され、かつ効率的に実施できるようにすることを目的とする。

### 2. 主な検討事項

- (1) 相談事業の対象となる分野の優先順位付け
- (2) 実施に当たり留意すべき事項
- (3) 来年度以降の事業のあり方
- (4) その他薬事戦略相談の円滑な実施に資する事項

### 3. 懇談会の構成等

- (1) 懇談会は、医学、薬学、知財等の有識者のほか、医薬品、医療機器業界や、ベンチャー企業の関係者等により構成する。
- (2) 懇談会の座長は、必要に応じ、検討に必要な有識者等の参加を求めることができる。

### 4. 運営等

- (1) 懇談会は、知的財産・個人情報等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成し、公表する。
- (2) 懇談会の庶務は、医薬食品局（審査管理課／医療機器審査管理室）が（独）医薬品医療機器総合機構の協力を得て行う。

「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」構成員名簿

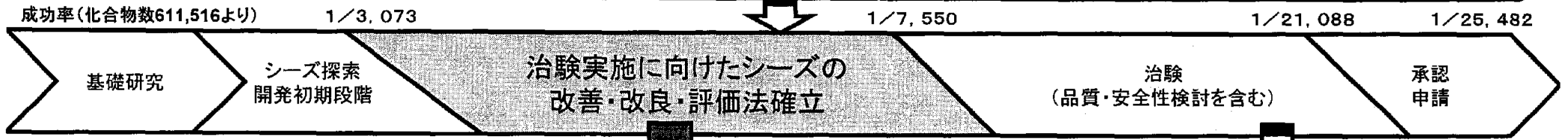
青井 貴之	京都大学 iPS細胞研究所教授
伊関 洋	東京女子医科大学先端生命医科学研究所教授
稲垣 治	日本製薬工業協会 医薬品評価委員会副委員長 (アステラス製薬(株) 開発本部専任理事)
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科教授
塩村 仁	日本バイオテック協議会 理事 (ノーベルファーマ(株) 代表取締役社長)
妙中 義之	国立循環器病研究センター研究所副所長
直江 知樹	名古屋大学大学院医学系血液腫瘍内科学・教授
長野 哲雄	東京大学大学院薬学系研究科長・薬学部長
林 謙治	国立保健医療科学院長
藤原 康弘	国立がんセンター中央病院副院長
古川 孝	日本医療機器産業連合会 理事 (トーイツ(株) 監査役)
堀田 知光	国立病院機構名古屋医療センター院長
本田 麻由美	読売新聞社会保障部記者
増井 徹	独立行政法人医薬基盤研究所 難病・疾患資源研究部部長

(五十音順、敬称略)

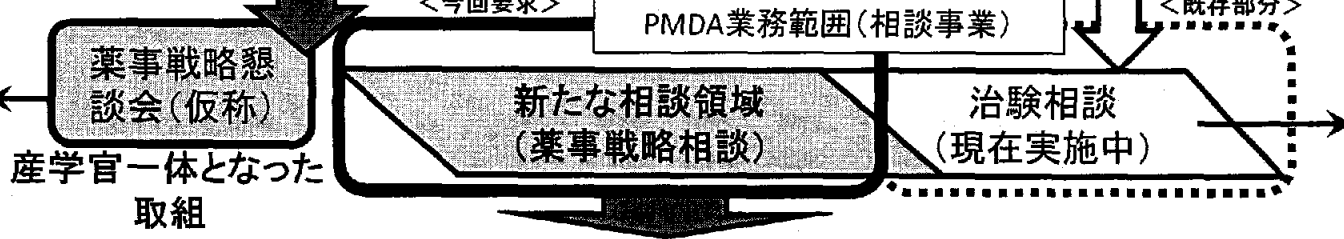
# 日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器薬事戦略相談推進事業 参考資料3



アカデミア、ベンチャー等において優れたシーズが発見されても、これを改善・改良等して、革新的医薬品・医療機器として実用化に結びつけるためのサポート体制がない。



- 日本発シーズの実用化に向けて、官民協力が不可欠な分野
- アカデミア、ベンチャーに求められていた相談領域
- 手数料による相談業務ではアカデミア、ベンチャーの資金的基盤が脆弱なため不成立



● 製薬企業・医療機器企業による治験相談を対象とした事業

**研究期間の短縮と成功率アップ**      **革新的医薬品・医療機器の創出**  
**日本発の医薬品・医療機器の早期承認**      **ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消**

薬事に精通した企業出身者を含む多彩な相談員の確保  
 国費による薬事戦略相談の新たな体制を整備

(対象範囲(検討中))  
 以下の要件を満たすアカデミアとベンチャーを想定  
 ① 日本国内で医薬品・医療機器の研究開発を行う者であって、有望なシーズを有していること  
 ② 財政基盤が脆弱であること  
 ※ 上記の要件を満たすアカデミアとベンチャーについては、相談料を減額  
 ※ 上記以外からの相談も可能とするが、相談料は実費

(相談内容(検討中))  
 相談により、今後の承認に向けてのやるべき課題を抽出し、今後の対応方針を助言  
 【具体例・医薬品】  
 ・今後の必要な試験は何か  
 ・製剤化の問題(水溶性はあるか)  
 ・有効性の問題(IC50は十分か)  
 ・創薬標的の妥当性はあるか  
 【具体例・医療機器】  
 ・今後の必要な試験は何か  
 ・新規メカニズムの非臨床評価  
 ・埋込み材料の生体適合性評価  
 ・動物モデルの妥当性

## 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

- 再生・細胞医療製品の有効性・安全性の評価、管理については、品目毎に、行政による承認審査、安全対策等が必要。

## 2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

### ○ 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設

- ・ 再生・細胞医療製品の開発を促進するためには、PMDAが、製品の開発初期の段階から開発者に対し、薬事法での承認に必要なデータの範囲やその取得に向けての指導・助言を含めた相談事業を行うことが必要。
- ・ 特に再生・細胞医療製品の分野では、開発初期段階は研究者やベンチャー企業が関わる人が多いことから、研究者やベンチャー企業が利用しやすいように相談料を安く設定すること等が必要。
- ・ 薬事戦略相談を事業化し、その活用を図ることが重要。
- ・ 薬事戦略相談では、現在の確認申請で行われている品質・安全性に関する事項だけでなく、治験のプロトコールの議論も合わせて行うこと、また、PMDAは相談を受付けた後の早い段階から、関係する専門家に意見を求めるべき。

### ○ 相談・審査の迅速化・質の向上

- ・ 引き続きPMDAにおける相談体制、審査体制の充実強化を行っていくことが必要であり、PMDAは相談・審査の迅速化及び質の向上、サービス向上に更なる努力をしていく必要がある。

(参考)

## 各国再生・細胞医療製品に関する主な制度比較

	厚生労働省/PMDA	米国食品医薬品庁 (FDA)	欧州医薬品庁 (EMA)
品目毎の 製造販売承認※1 (自己・同種とも)	○	○	○
事前相談制度 開発支援制度	△ PMDAによる治験相談 (試験計画等の相談) 臨床研究段階での相談制 度なし	○ 臨床試験の各段階にお ける相談等で、開発支 援に向けた相談も行わ れている	○ 各国政府による再生医療 製品等の開発支援を目 的とした相談制度など

PMDA: 医薬品医療機器総合機構 GCP: 医薬品の臨床試験の実施の基準(日米欧で国際調和済み)

※1 移植など最低限の処理しか行われていないものを除く。

# 規制改革推進のための3カ年計画 (平成21年3月閣議決定)

## ライフサイエンス分野の規制改革

(略)

### 【平成21年度措置】

第二に、医療機関が患者から採取した細胞について、別の医療機関において培養・加工を行った上で患者の診療に用いることが現行の医療法の下で可能であること及びその条件を明示し、周知徹底する。

### 【平成22年度結論】

これに加え、再生・細胞医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携の下に、検討する場を設け、結論を得る。



平成21年度より、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」で検討。

# 「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」開催要項

## 1 開催の趣旨等

ライフサイエンスは、我が国のものづくりと科学技術の先進性を兼ね備えた分野であり、世界をリードできる先端科学技術の進歩の恩恵を国民が受けることができるよう、また我が国の優れた技術を国際的な舞台で活かしていけるよう、その発展に寄与する施策を講じていく必要がある。

この中で、再生医療といった新たな分野について、再生医療における共同での診療を行うためには、医療機関の間でどのような条件の下に行うことが望ましいか検討していくこととする。

また、再生医療製品を広く患者に提供するためには、どのような制度的枠組みがふさわしいか、その特性を踏まえつつ、検討していくこととする。

## 2 検討事項

- ① 医療機関が患者から採取した細胞について、別の医療機関において培養・加工を行った上で患者の診療に用いることが現行の医療法の下で可能であること及びその条件を明示し、周知徹底すること。 (21年度中)
  
- ② 再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得ること。 (22年度中)

## 3 構成員 (別紙)

## 4 運営

本会議の庶務は、厚生労働省医政局及び医薬食品局で行う。

議事は公開とする。

## 委員名簿

(五十音順、敬称略)

- 阿曾沼元博 国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
- 伊藤たてお 日本難病・疾病団体協議会代表
- 稲垣明弘 日本歯科医師会 常務理事
- 小澤洋介 株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング代表取締役社長
- 片倉健男 国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門
- 神山美智子 弁護士
- 木村壮介 独立行政法人 国立国際医療研究センター 病院長
- 澤芳樹 大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
- 鈴木和博 国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部長
- 高杉敬久 日本医師会 常任理事
- 土屋文人 社団法人 日本薬剤師会 副会長
- ◎永井良三 東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
- 花井十伍 ネットワーク医療と人権 理事
- 早川堯夫 近畿大学薬学総合研究所長
- 前川平 京都大学医学部附属病院 輸血細胞治療部 教授
- 武藤誠太郎 アステラス製薬株式会社 執行役員 研究本部副本部長
- 毛利善一 日本ケミカルリサーチ株式会社 取締役執行役員 開発本部長
- 森尾友宏 東京医科歯科大学・大学院・発生発達病態学分野・准教授, 細胞治療センター長
- 大和雅之 東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

◎は座長



再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする制度的枠組みについて

平成 23 年 3 月 30 日

再生医療における制度的枠組みに関する検討会

### はじめに

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」においては、平成 21 年度「医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について」その要件等を取りまとめ、平成 22 年度は、

「再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組み」を検討事項として 6 回にわたり議論を行ってきた。

平成 22 年度の検討範囲としては、「共同での診療」の範囲を超えた、医療機関外の第三者が製品化する場合で、かつ、自己・同種細胞由来製品とも一定以上の細胞・組織の加工<sup>2)</sup>を行うものとした。

また、現行の薬事法、医療法といった現行の法制度にとらわれずに制度的枠組みについて検討するため、

- 有効性・安全性の評価、管理のあり方について
  - － 個別品目の承認審査・市販後安全対策が必要か
  - － 行政が承認審査を行うべきか
- 質の高い製品を迅速に開発する方策について
  - － 開発初期からの助言・相談について
  - － 確認申請のあり方
  - － 臨床研究・治験促進策
  - － 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等
  - － その他必要な事項

を中心に議論していくこととした。

検討会では、21 年度中に行われた海外調査結果の報告、検討会委員、検討会オブザーバー、海外規制当局等から、上記検討事項を中心にヒアリングを行い、議論を行ってきた。

今般、検討会での議論を踏まえ、有効性・安全性の評価、管理のあり方、質の高い製品を迅速に開発する方策について提言として取りまとめたので報告する。

なお、再生・細胞医療に関する知見・技術は日進月歩であり、本検討会での様々な意見も踏まえ、引き続き国内外の情報を収集、評価すると共に、より再生・細胞医療に相応しい制度となるよう、本検討会の提言の見直しも含めフォローアップを行うことが必要である。

また 21 年度の「医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について」の中で、再生医療・細胞医療技術の共通的な事項として、医療

機関が確保すべき要件をとりまとめており、これについて、医療機関の他、国民に対してもわかりやすく周知するとともに、必要に応じ、更なる対応を検討することが求められる。

注) 疾患の治療や組織の修復又は再建を目的として、細胞・組織の人為的な増殖、細胞・組織の活性化等を目的とした薬剤処理、生物学的特性改変、非細胞・組織成分との組み合わせ又は遺伝子工学的改変等を施すこと。

## 目次

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について	P4
2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について	P5
(1) 開発初期からの PMDA による助言・相談制度の創設	P5
(2) 確認申請のあり方	P6
(3) 臨床研究・治験促進策	P7
(4) 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等	P9
1) 相談・審査の迅速化・質の向上	P9
2) 評価指針・基準等の作成・明確化	P10
3) 患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査 についての考え方	P10
(5) 開発支援について	P11
1) 希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・ デバイス）の指定要件の柔軟な運用等	P11
2) ベンチャー企業支援	P12
(6) その他必要な事項	P12
1) 海外規制当局との連携	P12
2) 関係学会との連携	P13
3) その他	P13

## 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

- 欧米では、再生・細胞医療製品について、医療機関外の第三者が製品化する場合は、自己・同種細胞由来製品とも、薬事関連法に基づき、規制当局による個別承認が行われており、米国では生物製剤（biologics）又は医療機器として、EUでは医薬品の一つのカテゴリーとして規制されている。
- 本検討会では、再生・細胞医療製品について、個別品目の承認審査や安全対策が必要かどうか、必要な場合は行政がこれらの承認審査等を行うべきかについて議論を行った。
- 細胞の加工により、元となる細胞とは異なる性質を有し、自己細胞由来製品であっても処理工程に付随するリスク、品質の一定性のリスク等が存在することから、品目毎に承認審査や安全対策を行政が行うべきという意見が大勢であった。
- 一方で、再生・細胞医療製品のうち自己細胞由来製品の加工について、同種由来製品に比べ安全性が高いと考えられること、医師が患者の状態を見ながら医師主導で行われる医療であることから、医療法の政令 8 業務へ細胞加工業を追加し、医療法の枠内で施設認定する、又は、薬事法の枠内で医薬品・医療機器とは独立した新たなカテゴリーを創設し、第 I 相臨床試験において数例で安全性確認ができれば速やかに製造販売承認を行い、加工プロセスを認可する制度とし、その後に事後チェックを十分に行う体制とすべきではないかとの意見も出された。
- これに対し、自己細胞由来製品は安全で同種細胞由来製品は問題という理由はウイルス感染等の点を除けばなく、自己細胞由来製品であっても同種細胞由来製品と同様に、品目毎に安全性、有効性等をエビデンスに基づき議論することが必要である、問題が起こってからでは遅いので、事前に確認すべきことは確認する必要がある、医療行為と製品化は区別すべきで、品目の有効性・安全性等をいかに確保すべきかを考えた場合、品目毎に行政が承認等を行うことが必要、との意見が出された。
- これらの議論を踏まえ、本検討会では、我が国における再生・細胞医療製品の有効性・安全性の評価、管理については、自己細胞由来製品、同種細胞由来製品とも、品目毎に行政による承認審査、安全対策等が必要であることを確認した。
- 個別品目毎に品質、安全性、有効性を確認し、市販後の安全対策及び製造管理・品質管理を行政が行う点に関し、新しい法体系の下に行うか、薬事法の下で行うかについて、品目毎に行政による承認及び安全対策を行う点は現行の薬事法による規制体系と同じであることから、薬事法の下で行うことが現実的と判断した。

なお、自家細胞由来の医療に関しては、医師が治療法を決め、患者との契約において細胞を採取した段階で実質品目承認が行われており、薬事法で上乗せの品目承認は必要ではないのではないかと、現行の薬事法は再生・細胞医

療を想定しておらず、自己細胞由来の再生・細胞医療製品の規制を行うことはできないとの意見も出された。

- また、評価を行う機関について、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）以外の機関をつくるべきとの意見も出されたが、新たな機関を指定／設立することは体制整備、質の確保などを考えると現実的ではなく、PMDAの審査・相談等の対応姿勢・質の向上を進めていくべきとした。
- なお、自己細胞由来、同種細胞由来製品は、元となる細胞由来のウイルス等の感染性因子の評価、管理の点等で異なることから、これまでも、「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」、「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」等の指針をその由来により分けるなどの取扱いを行ってきた。また、対象となる疾患、その重篤性などにより、個別製品の評価なども異なることから、これまでも、次世代医療機器評価指標（重症心不全細胞治療用細胞シート、角膜上皮細胞シート、角膜内皮細胞シート、関節軟骨再生）などを作成してきたところである。

その評価、管理手法等については、自己細胞、同種細胞など細胞の違い、対象・目的等の違いにより個別に判断することが必要である（2.（4）2）参照）。

## 2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

- 再生医療のいち早い実現化のため、文部科学省、厚生労働省、経済産業省は、文部科学省が新たな再生医療技術に関する基礎研究を推進する、経済産業省が再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する、厚生労働省が再生医療の臨床研究の推進を行うといった、各省が協働で実施する「再生医療の実現化ハイウェイ」を平成23年度に予算に盛り込んだところである。これにより、3省が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、基礎研究から臨床研究へのシームレスかつ迅速な移行を可能とすることで、再生医療をいち早く実現化することを目指しており、これらの取組みを着実に進めることが重要である。
- 本検討会では、製品の品質、安全性、有効性を維持しつつ、必要な製品が迅速に開発されるための制度改正、支援策などの方策について検討を進めた。

### （1）開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設

- 再生・細胞医療製品の開発の早期段階は、我が国では研究者が主導して行われることが多く、品質、非臨床試験などを経て、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく確認を受けて臨床研究が行われる。その後の製品開発を効率的に進めるためには、承認審査等を担う規制当局と開発早期の

段階から必要なデータ等について調整していくことが有用であるが、現在のPMDAの相談ではそのような相談を対象としたものは設けられていない。

- 欧米では、日本のように臨床研究、治験の区別が無く、開発初期の段階から行政による相談事業が実施されており、また相談料・アクセス面等から、開発者にとって相談が受けやすい取組みがなされている。

- ・ FDA (Food and Drug Administration) : pre-IND (Investigational New Drug) 相談、pre-IDE (Investigational Device Exemption) 相談 (無料)
- ・ EMA (European Medicines Agency) : 中小企業、先端医療製品は相談料の割引 (仏、独、英国でも相談事業を実施)
- ・ PEI (Paul Ehrlich Institute) : イノベーションオフィスでの相談

- 我が国においても、再生・細胞医療製品の開発を促進するためには、PMDAが、製品の開発初期の段階から開発者に対し、薬事法での承認に必要なデータの範囲やその取得に向けての指導・助言を含めた相談事業を行うこと、また、特に再生・細胞医療製品の分野では、開発初期段階は研究者やベンチャー企業が多いため、研究者やベンチャー企業が利用しやすいように相談料を安く設定すること等が必要であることを確認した。

- 本確認事項も踏まえ、厚生労働省は平成23年度予算にもり込まれた薬事戦略相談事業を事業化し、その活用を図ることが重要である。

- 薬事戦略相談では、現在の確認申請で行われている品質・安全性に関する事項だけでなく、治験のプロトコールの議論も合わせて行うこと、また、PMDAは相談を受付けた後の早い段階から、関係する専門家に意見を求め、対面で相談する場合は、相談者、PMDA、関係する複数の専門家が同席して議論し、相談の議事録は仮に意見が一致しない点はその旨を記載するなどして、関係者の合意の上で作成すべきである。

再生・細胞医療製品に関しては専門家が限られる場合が想定される。相談にあたって適切な専門家がPMDAの既存の専門委員に含まれていない場合は、新たな専門委員を追加するなどの対応も必要である(2.(6)2)参照)。なお、専門家が適切に選出されるよう、必要とされる専門性を考慮し、利益相反について透明性を確保することが重要である。

また、下記のように確認申請が薬事戦略相談により代替されることとなるが、スムーズな代替が行われるよう、厚生労働省は、確認申請との相違点を含め、薬事戦略相談について周知し、確認申請制度の廃止と薬事戦略相談事業の実施の間に空白期間が生じないように十分に留意すべきである。さらに、既に確認された品目及び確認申請中の品目の取扱いを明確にし、特に、確認申請と薬事戦略相談を重複して課すことのないよう十分に留意すべきである。

## (2) 確認申請のあり方

- 再生・細胞医療製品に係る確認申請は、平成11年より導入された制度であり、人又は動物由来の細胞・組織を利用した組織工学・細胞治療技術の急速

な発展に対応し、このような治療技術に利用される人又は動物由来の細胞・組織を加工した医薬品・医療機器の品質及び安全性を確保することを目的としている。現在までに、13件が申請され、このうち9件が確認されている。

- 確認では、治験開始にあたっての必要データについて審査側と協議することができる等のメリットがある一方で、治験開始に近い確認申請時点でデータの不足が指摘された場合、新たなデータ取得に時間がかかり、開発が遅延する等の問題が指摘されている。
- また、確認申請は欧米にはない日本独自の制度であり、欧米では主に治験に先立つ事前相談で問題点を整理している。
- 確認申請については、
  - ・ 制度導入時と比較して経験が蓄積し、明確なリスクについては対応可能となっていること
  - ・ 「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」、「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」等の指針が整備されてきていること
  - ・ 薬事戦略相談の中で開発初期から相談を行うことで、確認申請で行われている品質、安全性の確認について、開発の早い段階から問題点を整理した上で得られたデータの確認を行うなど、前倒しして実施することが可能となること

等を踏まえて、確認申請制度については廃止し、薬事戦略相談に代替することが適当であることを確認した。

- 治験開始に向け治験届が提出された際には支障なく治験実施が認められるよう、治験開始までに必要とされるデータ等について、もれなく薬事戦略相談を活用して事前に確認しておくように周知を図るべきである。併せて、治験届の際にデータ等が不足している場合は治験実施が認められないこともあらためて周知すべきである。なお、治験届の調査は30日となっているが、仮に調査に支障が生じるような場合は、行政機関が保有する情報の公開に関する法律を参考に、調査期間延長について条文に加えるなどの検討も必要ではないかとの意見も出された。
- また、治験前の品質及び安全性の確認にあたっては未知のリスクは排除しきれないものであるが、薬事戦略相談においても、経験を蓄積し、専門家と協議しつつ適切に対応し、その質的向上に不断の努力を傾注すべきである。

### (3) 臨床研究・治験促進策

- 個別品目の有効性、安全性を評価するためには、臨床試験データは必須であり、臨床研究、治験の促進が重要である。
- 我が国においては、臨床研究には、研究計画の内容に応じて「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」、「臨床研究に関する倫理指針」等の各指針

が適用され、治験には医薬品・医療機器の臨床試験の実施の基準（GCP：Good Clinical Practice）が適用される。GCPでは、承認申請の資料として試験結果が利用されることから、モニタリング、監査、データの保管義務など、データの信頼性の確保に関する規定がより厳密となっている。

- 欧米では我が国のような臨床研究と治験の区別はなく、原則として臨床試験にはGCPが適用されている。また、GCP対応の臨床試験が可能なように、医療機関側の臨床試験実施体制が整備され、また、医療機関間のネットワークなどで、臨床試験の届出など必要な手続きについての支援体制や、研究費が充実している。
- 我が国においてすべての臨床研究にもGCPを適用してはどうかという意見もあるが、現状では欧米と同様に原則すべての臨床研究にGCPを適用するのではなく、臨床研究・治験の特色を生かしつつ進めることが効率的であるとの指摘もなされた。
- 我が国においては再生・細胞医療製品の開発は研究者主導で行われる場合が多く、それらのデータを可能な限り早期に承認申請に活用していくために、開発の方向性、仕様等が固まった段階から医師主導治験で行うことが効率的である。現状では、医療機関の実施体制が不十分、費用負担が大きい等の課題があるが、実施医療機関の体制整備費、治験薬の製造、プロトコール作成、データ管理業務、治験相談等の費用を補助する等の支援、さらには研究費の拡充を行うことで、医師主導治験が更に活用されることが必要である。
- 臨床研究であっても、保険併用の対象（第3項先進医療、いわゆる高度医療）とするには、高度医療評価会議の第三者によるチェックが必要となり、一定の科学性、データの信頼性が担保される。そのため臨床研究は速やかに高度医療または治験に移行し、高度医療は速やかに治験に移行することが望まれる。出口を見据えた開発を行うことが重要であり、高度医療のデータについても、薬事戦略相談等を利用して製品開発における位置づけを早期から明確にし、速やかな開発につなげるべきである。
- 文部科学省では平成23年度予算において、「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」を推進することとしている。全国7か所の大学等の研究機関に、GCPに準拠した臨床研究を行うための体制を整備するとともに、出口を見据え、医師主導の治験又は高度医療として臨床研究を実施することにより、必要なデータをより早く効率的に収集するなど、日本発の医薬品・医療機器等の迅速な開発を目指す。
- 厚生労働省では、世界に先駆けて臨床試験を実施し、日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出することを目指し、「早期・探索的臨床試験拠点整備事業」により、早期・探索的臨床試験段階の支援を行うため、平成23年度予算に盛り込んだところであり、事業の円滑な実施が求められる。
- 我が国のGCPは国際的に調和されたICH-GCP（ICH：International Conference on Harmonisation of Technical Requirements for Registration



of Pharmaceuticals for Human Use) に基づいている。しかしながらその運用面においては欧米と比べて負担が多いとの指摘もある。厚生労働省ではこれまでも「治験のあり方に関する検討会報告書」(平成 19 年)等を踏まえ、治験契約の規定の見直しなどその改善を図ってきた。今後とも治験の実施状況を見つつ、必要な改善を検討していくことが必要である。

- 我が国の臨床研究／治験に患者が参加しやすくなるよう、治験に対する患者の理解普及、情報伝達が必要である。厚生労働省では、患者・国民に対する臨床研究・治験の普及啓発と、臨床研究・治験に関する情報伝達を改善するため、患者・国民への情報提供のためのポータルサイトとして臨床研究(試験)情報検索(Japan Primary Registries Network)を構築するなどの取り組みを行ってきた。臨床研究・治験の透明性を確保し、被験者保護とその質が担保されるよう、引き続きこれらの取り組みを進めていくことが重要である。
- また、臨床研究／治験ではインフォームドコンセントが必要である。適切なインフォームドコンセントが行われるよう、臨床研究／治験依頼者又は実施者は、必要な情報を医療関係者、被験者に届けることが必須である。

#### (4) 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等

##### 1) 相談・審査の迅速化・質の向上

- よりよい製品をより早く承認するためには、相談・審査体制の充実強化が必要である。PMDA は平成 19 年に再生・細胞医療製品等の審査を担当する生物系審査第二部を新設し、体制の強化を行ってきたが、引き続き薬事戦略相談を含めて、相談体制、審査体制の充実強化を行っていくことが必要である。
- 再生・細胞医療製品には新たな技術が用いられたり、新たな指標が利用されたりすること等から、人員の拡充だけでなく、評価にあたる審査官の人材育成も重要である。FDA では最新技術を習得するための特別の研修はないが、審査官が研究も行い、関連学会へ積極的に参加するなどにより最新技術への対応を図っている。PMDA は、審査員の関連学会への参加や医療現場での経験等により最新の研究状況を把握したり、可能な範囲で積極的な産学官の人事交流により、ベンチャー企業を含む企業等の開発現場のノウハウを理解したりするなど、研修事業を充実していくべきである。
- 再生・細胞医療製品については、米国では生物製剤あるいは医療機器、EU では医薬品の一分類として規制されている。我が国では米国と同様の考え方により医薬品か医療機器に分類して規制している。しかしながら再生・細胞医療製品によっては医薬品、医療機器に分類することが容易でないものもある。米国ではそのため、コンビネーションプロダクト課(Office of Combination Products)を設け、開発初期の段階から開発者の求めに応じて医薬品、生物製剤、医療機器の分類、審査担当センターの指定を行い、その後の開発、相談、審査が効率的に行えるよう取組んでいる。なお、複数のセ

ンターにまたがる場合は、担当するセンターに他の関係するセンターが協力し、相談、審査にあたっている。我が国においても、今後の開発を支援するために、開発初期の段階から分類について相談を受け付ける相談窓口の設置を検討すべきである。

- また、相談・審査の迅速化、サービス向上のために、審査機関の競争原理を導入してほしいという意見も出され、PMDA は相談・審査の迅速化及び質の向上、サービス向上に更なる努力をしていく必要がある。

## 2) 評価指針・基準等の作成・明確化

- 再生・細胞医療製品は化学合成の医薬品や一般的な機械器具とは異なり、品質、安全性、有効性について既存の基準や評価を当てはめることが困難な場合があることが指摘されている。そのため例えば、自己細胞由来製品、同種細胞由来製品といった原料となる細胞の違い、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、再生・細胞医療製品の特性も考慮した評価指標、指針・基準の明確化が必要である。
- 厚生労働省ではこれまでも、品質・安全性の関連では、「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」、「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」、次世代医療機器評価指標（重症心不全細胞治療用細胞シート、角膜上皮細胞シート、角膜内皮細胞シート、関節軟骨再生）などを作成してきたが、未だ不十分であるとの指摘がある。評価指針・基準等の作成により再生・細胞医療製品の品質・安全性等について考え方を明らかにすることが、その開発計画の策定にも資することから、ES、iPS 細胞由来製品など原料となる細胞や、歯根膜など対象分類に応じた、評価指針等の作成を迅速に進めていくことが必要である。なお、評価指針・基準等の運用にあたっては、その時点での学問の進歩を反映した合理的根拠に基づき、ケースバイケースで柔軟に対応することが必要である。

## 3) 患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査についての考え方

- 米国では対象患者数が 4 千人以下の医療機器について、人道的使用医療機器免除規定（HDE：Humanitarian use Device Exemption）がある。この規定では、まず申請に基づき人道的使用医療機器（HUD：Humanitarian Use Device）として指定を受け、必要なデータ収集がなされた後、HDE 承認審査においては、他の治療法や医療機器がないこと、不合理なあるいは重大なリスクが生じず、予想される便益（Probable Benefit）がリスクを上回ると判断される場合、有効性の要件（有効性を証明する科学的に確実な臨床試験（scientifically valid clinical investigations）結果）が免除される。なお、承認後は治験審査委員会（IRB：Institutional Review Board）のある施設で IRB の承認が必要などの制限がある。

- 我が国では HDE という制度はないが、米国において HDE で承認された同一の医療機器を追加の臨床試験無く審査を行った例があるなど、日本国内での臨床試験だけでなく、海外での臨床試験成績やその他の情報、市販後の安全対策などを総合して、リスクベネフィットの判断を行い、承認の可否を決定している。
- 再生・細胞医療製品では、対象患者数が極めて少ないものが多いと考えられることから、患者数が極めて少ない医薬品・医療機器について審査の考え方を以下のように整理した。

**患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査についての考え方**

- 薬事法において医薬品や医療機器は、その使用によるベネフィットがリスクを上回ると判断される場合に承認される。その評価には、臨床試験成績は必須であるが、医薬品又は医療機器によっては対象となる患者数が少ないため、大規模な臨床試験が実施困難な場合がある。このような場合は、我が国において実施可能な臨床試験を行い、その結果や、海外臨床試験成績その他の情報、市販後の情報収集計画や安全対策、疾患の重篤性、既存療法との比較等を含めて、リスクベネフィットをケースバイケースで総合的に評価する。
- なお、臨床試験の患者数や実施方法などについては、対象疾患、対象患者など個々の製品により異なることから、個別に PMDA の治験相談などで意見交換し、確認することが必要である。
- 市販後の対策としては、例えば、製造販売後臨床試験、全症例の登録による製造販売後調査、有効性・安全性のデータを引き続き収集中であること等について医療関係者や患者への情報提供などが考えられる。これらを必要に応じ承認条件として付すことで、市販後の情報収集、医療関係者、患者への情報提供、必要な対策を迅速にとると共に、保健衛生上の危害防止を図ることとする。

**(5) 開発支援について**

**1) 希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・デバイス）の指定要件の柔軟な運用等**

- 希少疾病用医薬品・医療機器については、指定を受けることにより、優先的な治験相談・審査の実施、申請手数料の減額、再審査期間の延長、試験研究費への助成金の交付、税制措置上の優遇措置を受けることが可能となり、その開発を促進している。
- 希少疾病用医薬品・医療機器の指定においては、①対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、②難病等、重篤な疾病を対象とするとともに、ア) 代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、又は、イ) 既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性又は安全性が期待されるなど、特に医療上の必要性の高いものであること、③対象疾病に対して当該医薬品を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であるとみとめられることの 3 点を指定要件としている。

- このうち「開発の可能性」に関して、医薬品では海外での臨床試験成績を含めて探索的試験結果をもとに判断することが一般的である。
- 再生・細胞医療製品については、第Ⅰ相から第Ⅲ相といった臨床開発のステージを明確に分けることが困難となる場合が考えられるため、画一的な取扱いをせず、指定にあたっての開発の可能性の取扱いについては柔軟な運用が必要である。
- さらには再生・細胞医療製品は希少疾病等を対象としたものが多いと考えられ、その開発を促進するために、希少疾病用医薬品・医療機器を開発するための試験研究費の助成金の充実などを進めていくべきである。

## 2) ベンチャー企業支援

- 米国ではベンチャーキャピタルなどがベンチャー企業の活動を広く支援しているが、我が国ではこれらの活動が活発ではない。
- 我が国では、産業革新機構が投資を中心とする活動を通じて、次世代産業・新興企業の育成と蓄積、既存企業の革新を通じた次世代産業の成長をめざした事業を行っている。再生・細胞医療製品関係ベンチャーへの投資インセンティブを促すような基盤整備等が必要である。
- 多くの創業ベンチャーについては、単に資金だけの問題ではなく、事業化プロセスのグランドデザイン、治験プロトコール設計、資金調達時の事業計画、知的所有権の範囲とその帰属についての検討が十分になされていないなどの課題があるとの見解が産業革新機構から示された。一方、それらの指導を含めて対応することが産業革新機構に求められるものであり、対応が不十分ではないかとの意見も出された。
- また、将来的に事業として育ち、グローバルに展開していくようなものへの投資を行うことも求められる。
- 特に、再生・細胞医療製品の分野では開発初期段階は研究者やベンチャー企業に関わるが多いことから、経済面等からベンチャー企業等がPMDAの相談を受けやすい制度を検討すべきである。(2. (1) 参照)

## (6) その他必要な事項

### 1) 海外規制当局との連携

- 本検討会では米国FDA、独国PEI、仏国AFSSAPS (Agence Francaise de Securite Sanitaire des Produits de Sante) から専門家を招聘し、海外での取組み等を聴取した。再生・細胞医療製品についてはFDA、EMAなど海外規制当局も必要な基準等の整備を進めているところであり、我が国を含めた関係国との情報交換等が進められている。今後、海外規制当局とも協調しつつ必要な基準等の作成を進めていくべきである。
- 我が国はFDA、EC/EMAなどと医薬品等の守秘情報に関する協力を結んでおり、これまでも医薬品、医療機器の審査、安全性情報の交換を行って

いる。再生・細胞医療製品についてもこの協力の下で審査、安全性情報の迅速な交換を進めていくべきである。

## 2) 関係学会との連携

- 再生・細胞医療製品については開発初期の段階では主に研究者により開発が進められる。これらの製品開発を進め、また、PMDAによる相談・審査が円滑に進められるためには、開発状況、懸念点の把握や共有が重要であり、そのための関係学会と規制当局との意見交換の場を設けることが有用である。  
例えば、PMDAは日本再生医療学会と関心事項について継続的に意見交換を行うことで合意し、すでに意見交換を開始しており、このような取組みを積極的に行っていくことが重要である。
- 再生・細胞医療製品の多くは対象患者が少なく、また、治療に関わる専門家も限られる。薬事戦略相談、治験相談（申請前相談含む）、承認申請後の専門協議において、必要とされる専門家を確保していくため、専門家の把握とPMDAのプール委員の人材の育成を学会と連携して進めるべきである。

## 3) その他

- 質の高い再生・細胞医療製品の实用化のためには、企業、医療機関、学会、行政等の関係者すべてが、科学技術の進展等に対応できるよう、努力を重ねること必要であるとともに、我が国の技術が国際的にも広く発信できるよう、イノベーションを促進する支援体制の整備が求められる。
- 承認取得がゴールではなく保険収載までが製品開発のパッケージであることを認識すべきである。

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」委員名簿

座長 永井良三	東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
阿曾沼元博	国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
伊藤たてお	日本難病・疾病団体協議会代表
稲垣明弘	日本歯科医師会 常務理事
小澤洋介	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 代表取締役社長
片倉健男	国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門
神山美智子	弁護士
木村壮介	独立行政法人 国立国際医療研究センター 病院長
澤芳樹	大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
鈴木和博	国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部長
高杉敬久	日本医師会 常任理事
土屋文人	社団法人 日本薬剤師会 副会長
花井十伍	ネットワーク医療と人権 理事
早川堯夫	近畿大学薬学総合研究所長
前川平	京都大学医学部附属病院 輸血細胞治療部 教授
武藤誠太郎	アステラス製薬株式会社 執行役員 研究本部副本部長
毛利善一	日本ケミカルリサーチ株式会社 取締役執行役員 開発本部長
森尾友宏	東京医科歯科大学・大学院・発生発達病態学分野・准教授, 細胞治療センター長
大和雅之	東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

(案)

薬食発 ● 第 ● 号  
平成 23 年 6 月 ● ● 日

各都道府県知事 殿

厚生労働省医薬食品局長

薬事戦略相談の実施に伴う細胞・組織加工医薬品・医療機器の取扱いの変更に  
ついて

日本発の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）において、開発初期からの薬事戦略相談を創設し、平成 23 年 7 月 1 日より実施する予定である。

一方、ヒト又は動物由来の細胞・組織を加工（薬剤処理、生物学的特性改変、遺伝子工学的改変等をいう。）した医薬品又は医療機器（以下「細胞・組織加工医薬品等」という。）に係る治験については、「細胞・組織を利用した医療用具又は医薬品の品質及び安全性の確保について」（平成 11 年 7 月 30 日付け医薬発第 906 号厚生省医薬安全局長通知（平成 22 年 11 月 1 日最終改正）。以下「906 号通知」という。）により、治験計画の届出を行う前に、厚生労働大臣に当該治験薬又は治験機器の安全性及び品質の確認を求めることとしてきたところである。

今般、906 号通知に基づく確認制度については、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」の報告書（「再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能にする制度的枠組みについて」（平成 23 年 4 月 28 日付け医政発 0428 第 7 号・薬食発 0428 第 1 号厚生労働省医政局長・医薬食品局長通知の別添 1。以下「検討会報告書」という。）において、薬事戦略相談に代替することが適当とされたことを踏まえ、細胞・組織加工医薬品等について下記のとおり取り扱うこととしたので、貴管下関係業者等に対し周知方御配慮願いたい。

なお、平成 23 年 8 月 31 日をもって 906 号通知は、廃止する。

また、本通知の写しを別記関連団体等の長宛て送付することを念のため申し添える。

## 記

### 1. 薬事戦略相談について

薬事戦略相談は、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から臨床開発初期に至るまでに必要な非臨床・臨床試験等に関する相談に応じるものであり、従来、治験計画の届出の直前に行われてきた 906 号通知に基づく確認に伴う、細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性に係る事項についても、開発のより初期の段階から、薬事戦略相談において対応するものであること。

なお、薬事戦略相談の実施方法の詳細については、平成 23 年 6 月●日付け薬機発第●号「医薬品・医療機器薬事戦略相談の実施について」を参照されたいこと。

### 2. 906 号通知に基づく確認制度の取扱いについて

薬事戦略相談の創設に伴い、平成 23 年 8 月 31 日をもって 906 号通知に基づく確認制度を廃止すること。

ただし、細胞・組織加工医薬品等の開発に当たっては、検討会報告書において、薬事戦略相談を活用して、治験開始までに必要とされるデータ等について事前に確認しておくよう周知を図り、併せて治験計画の届出の際にデータ等が不足している場合は治験実施が認められないことがあることについて周知すべきとされているところであり、906 号通知廃止後も、治験が速やかに実施されるよう、治験計画の届出を行う前には品質及び安全性の確認がなされているよう、薬事戦略相談を活用されたいこと（「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」（平成 22 年厚生労働省告示第 380 号。以下「ヒト幹細胞指針」という。）第 2 章の第 1 の 5 の (3) に規定する、倫理審査委員会及び厚生労働大臣の意見を聴いて研究機関の長により実施等が許可された臨床研究の実施計画書と同一の内容の治験を実施する場合は、この限りではない。）。

なお、薬事戦略相談が開始される平成 23 年 7 月 1 日から平成 23 年 8 月 31 日までの間は、906 号通知に基づく確認制度又は薬事戦略相談のいずれに申請しても差し支えないこと。

### 3. 経過措置等について

- (1) 平成 23 年 8 月 31 日までに 906 号通知に基づく確認の申請が行われている品目の取扱いについて



当該品目の取扱いについては、なお従前の例によること。ただし、平成23年7月1日以降に906号通知に基づく確認の申請を取り下げ、あらためて、薬事戦略相談に申請することを妨げるものではないこと。

(2) 平成23年8月31日までに906号通知に基づき確認された品目の取扱いについて

当該品目に係る治験計画の届出を行うときは、なお従前の例により、当該治験計画届書の備考欄に、当該治験薬又は治験機器が細胞・組織加工医薬品等である旨及び確認を受けた年月日を記載すること。

(3) ヒト幹細胞指針に基づく臨床研究の実施計画書と同一の内容の治験を実施する場合の取扱いについて

ヒト幹細胞指針第2章の第1の5の(3)に規定する、倫理審査委員会及び厚生労働大臣の意見を聴いて研究機関の長により実施等が許可された臨床研究の実施計画書と同一の内容の治験を実施する場合は、治験計画届書の備考欄に、研究機関の長により当該臨床研究の実施等が許可された年月日を記載すること。

(4) その他

今後の対応につき不明な点がある場合は、医薬食品局審査管理課又は同局医療機器審査管理室に相談すること。

(案)

薬機発第●●●●●●●●号

平成23年●月●日

●● 殿

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
理事長 近藤 達也

医薬品・医療機器薬事戦略相談事業の実施について

平素より、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下「機構」という。)の審査等業務をご利用いただきありがとうございます。

今般、健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクトの一環として、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、シーズ発見後のアカデミア、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とする薬事戦略相談を創設することと致しました。

また、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」の報告書(「再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能にする制度的枠組みについて」(平成23年4月28日付け医政発0428第7号・薬食発0428第1号厚生労働省医政局長・医薬食品局長通知の別添1))において、「細胞・組織を利用した医療用具又は医薬品の品質及び安全性の確保について」(平成11年7月30日付け医薬発第906号厚生省医薬安全局長通知(平成22年11月1日最終改正))に基づく確認申請制度は廃止し、薬事戦略相談に代替することが適当であるとされたことを踏まえ、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(薬剤処理、生物学的特性改変、遺伝子工学的改変等をいう。以下同じ。)した医薬品・医療機器については、それらに係る開発初期段階からの品質及び安全性に係る相談も、薬事戦略相談において受け付けることと致しました。

これに伴い、当該相談の実施要領等について、下記のとおり定めましたので、貴会会員への周知方よろしくお願いいたします。

なお、本通知は、平成23年7月1日から施行することといたします。

記

独立行政法人医薬品医療機器総合機構法(平成14年法律第192号)第15条第1項第5号ロの規定により、医薬品、医療機器等の治験実施計画書その他承認申請に必要な資料等について、機構が行う指導及び助言(資料等に関する評価を含む。)のうち、薬事戦略相談に関する実施要領(別添)

(別添)

薬事戦略相談に関する実施要領

1. 実施の内容

日本発の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、現状では有望なシーズを発見した大学・研究機関、ベンチャー企業等が製品化につなげるための開発戦略に不案内であることから、それら有望性の高いシーズの実用化に向けて、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臨床開発初期(POC(Proof of Concept)試験(前期第Ⅱ相試験程度)まで)に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談への指導・助言を行います。

また、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(薬剤処理、生物学的特性改変、遺伝子工学的改変等をいう。)した医薬品・医療機器(以下、「細胞・組織加工製品」という。)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・助言も行います。

2. 相談区分とその対象範囲

薬事戦略相談の相談区分は以下のとおりです。

(1) 医薬品戦略相談

開発初期段階から、今後の新有効成分含有医薬品の承認に向けて、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への指導・助言を行います(原則として、医薬品候補化合物又は一定の活性を有する化合物等が得られている場合に限る)。また、開発初期段階から治験計画の届出を行う前までの細胞・組織加工製品(医薬品又は医療機器を問わない)の品質及び安全性に係る案件の相談を行うものは本相談区分で相談への指導・助言を行います。

(2) 医療機器戦略相談

開発初期段階から、今後の医療機器、体外診断用医薬品の承認に向けて、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への指導・助言を行います(原則として、医療機器等の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプ等がある場合に限る)。

なお、細胞・組織加工製品に関する相談のうち、治験計画の届出を行う前に当該製品の治験プロトコール等品質及び安全性以外に係る相談を併せて希望する場合にあっては、当該製品の医薬品又は医療機器への該当性により、上記(1)の前段若しくは(2)のうち、当該製品が該当する相談区分において相談を行います。

(相談対象と相談区分の関係)

	相談対象					
	細胞・組織加工製品以外		細胞・組織加工製品			
	医薬品	医療機器 体外診断薬	開発初期段階からの品質 及び安全性に係るもの		治験プロトコール等品質及 び安全性以外に係るもの	
医薬品			医療機器	医薬品	医療機器	
医薬品 戦略相談	○		○	○	○	
医療機器 戦略相談		○				○

### 3. 相談の流れ

予め事前面談を行い、その結果を踏まえて、対面助言を行います。相談の流れについては、別紙1及び別紙2を参照してください。

事前面談	薬事戦略相談については、あらかじめ、相談範囲の整理、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います。
対面助言	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・助言を行います。

薬事戦略相談の申込みに際しては、初めに、事前面談を申込みいただき、機構の担当者と上に示した事項について相談を行ってください。事前面談の結果を踏まえた上で、対面助言の申込みをしていただくこととなります。対面助言の対象については、下記のとおり、原則として、優先分野に該当し、かつ、その中でも、例えば、医薬品の場合は物質特許を出願中もしくは取得しているもの、医療機器の場合は機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの、又は将来的に画期的医薬品もしくは医療機器として実用化される可能性が高いもの等、有望性が期待できるものとします。ただし、機構における対面助言の受け付け状況等によっては、それら以外のものについても、相談を受け付ける場合があります。なお、事前面談については、下記に係わらず相談を受け付けます。

医薬品戦略相談	医療機器戦略相談
<p>○「優先分野」</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>医薬品・医療機器薬事戦略懇談会のご意見等を踏まえ決定。</li> </ul> <p>○「有望性」の例</p> <p>① 医薬品シーズについての物質特許を出願中若しくは取得しているもの</p> <p>② 将来的に画期的医薬品として実用化される可能性が高いもの</p>	<p>○「優先分野」</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>医薬品・医療機器薬事戦略懇談会のご意見等を踏まえ決定。</li> </ul> <p>○「有望性」の例</p> <p>① 機器の仕様、デザイン、設計に係る試案もしくはプロトタイプがあるもの</p> <p>② 将来的に画期的医療機器として実用化される可能性が高いもの</p>

### 4. 事前面談

#### (1) 申込み方法

「薬事戦略相談事前面談質問申込書」(別紙様式1)に必要事項を記載し、ファクシミリで審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。

<p>(申込先)</p> <p>独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部審査マネジメント課 ファクシミリ 03-3506-9443</p> <p>(連絡先)</p> <p>独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部薬事戦略相談室(平成23年7月設置予定) 電話(ダイヤルイン) 03-3506-9562</p> <p>(受付時期)</p> <p>随時</p> <p>(受付時間)</p> <p>月曜日から金曜日(国民の祝日等の休日を除く。)の午前9時30分から正午まで</p>
---

## (2) 事前面談の日程等の連絡

申込書を受付けた後に、機構担当者より、電話で日程等を連絡します。なお、事前面談の質問内容に応じて、電話による回答を行う場合があります。

## (3) 事前面談の実施

面談時間は、面談1回あたり30分以内とします。出席人数については、会議室の広さの関係上、相談1回あたり15名以内とします。

## (4) その他

- ①質問内容について、機構担当者から事前に照会する場合があります。
- ②事前面談の内容に係る記録は作成しません。

## 5. 対面助言

### (1) 対面助言の日程調整依頼

事前面談の結果、対面助言を実施することとなった場合は、実施日の調整を行いますので、独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則(平成16年細則第4号。以下「業務方法書実施細則」という。)の様式第13号「医薬品戦略相談対面助言申込書」(本通知の別添1)、様式第14号「医薬品戦略相談対面助言申込書(細胞・組織加工製品たる医療機器の品質及び安全性に係る相談用)」(本通知の別添2)あるいは様式第15号「医療機器戦略相談対面助言申込書」(本通知の別添3)の表題の「申込書」の文字を「日程調整依頼書」へ、備考欄の下の「上記により対面助言を申込みます。」を「上記により対面助言の日程調整を依頼します。」へと修正し、必要事項を記入した上で、持参、郵送、宅配又はファクシミリで審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。

また、備考欄に、対面助言の実施を希望する日(午前又は午後)及び希望しない日(午前又は午後)を可能な限り記載してください。

#### (申込先)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部審査マネジメント課  
ファクシミリ 03-3506-9443

#### (連絡先)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部薬事戦略相談室(平成23年7月設置予定)  
電話(ダイヤルイン) 03-3506-9562

#### (受付時期)

- ・医薬品戦略相談あるいは医療機器戦略相談(細胞・組織加工製品に関する相談を除く)

通常、相談を実施する月の2ヶ月前の月の第1勤務日(年末年始等は変わる場合があります)ので機構ホームページをご確認ください)

なお、何れの方法による提出の場合も上記の日に必着

- ・細胞・組織加工製品に関する相談

随時

#### (受付時間)

月曜日から金曜日(国民の祝日等の休日を除く)の午前10時00分から午後4時まで

## (2) 相談手数料とその低額要件適用に係る申請

### 1) 相談手数料

相談手数料は、以下のとおりです。なお、細胞・組織加工製品に関する相談のうち、品質及び安全性に係る相談については、医薬品、医療機器のいずれにおいても、当該手数料は、「医薬品戦略相談」区分の

手数料(1,498,800円)となります。また、その場合は、同一の医薬品又は医療機器を対象とするものであって、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う場合であっても、「医薬品戦略相談」1相談分の手数料となります。ただし、細胞・組織加工製品に関する相談のうち、治験プロトコル等品質及び安全性以外に係る相談を併せて相談する場合には、相談区分に応じた手数料を別途納付いただくことになります。この場合、品質及び安全性に係る相談に引き続き治験プロトコル等に係る相談を行うことは可能です。

(相談手数料表)

手数料の区分	手数料(1相談当たり※2)
医薬品戦略相談※1	1,498,800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	149,800円
医療機器戦略相談※3	849,700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	84,900円

※1:細胞・組織加工製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。

※3:体外診断薬は、医療機器戦略相談の手数料を適用。

(別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業)(案)

<p>原則として、下記の要件をすべて満たすこと。</p> <p>(大学・研究機関)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・国から当該シーズに係る研究費を医薬品については9,000万円、医療機器については5,000万円程度以上受けていないこと</li> <li>・当該シーズに係る製薬企業・医療機器開発企業との共同研究契約等により、当該シーズの実用化に向けた研究費を当該企業から受けていないこと</li> </ul> <p>(ベンチャー企業)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・中小企業であること(従業員数300人以下又は資本金3億円以下)</li> <li>・他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと</li> <li>・複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと</li> <li>・前事業年度において、当期利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと</li> </ul>
---

## 2) 相談手数料の低額要件適用に係る申請

相談手数料について、上記1)の相談手数料表に掲げる「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)」又は「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)」の区分で申し込む場合には、機構において、相談申込者が「別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業」へ該当性するか否かについて、確認される必要があります。この該当性の確認にあたっては、下記の「薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書類」を、審査マネジメント部審査マネジメント課に持参、郵送又は宅配のいずれかの方法で提出してください。なお、封筒の表には、「薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書類在中」と朱書きしてください。

(薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書類)

○ 大学・研究機関の場合

- ①薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書(別紙様式2)
- ②当該研究の代表者が取得している当該シーズに係るすべての研究費について、当該内訳及び研究テーマが把握できる資料並びに交付決定通知書の写し(前事業年度を含む3事業年度分)。

○ ベンチャー企業の場合

- ①薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書(別紙様式3)
- ②前事業年度に係る事業報告、貸借対照表、損益計算書及び法人税確定申告書別表第二の写し(又は株主(出資者)名簿)。ただし、資本金が3億円を超える場合には、併せて、労働保険概算・増加概算確定保険料申告書の写し等従業員数が確認できる書類。

(申請先)

〒100-0013 東京都千代田区霞が関3-3-2 新霞が関ビル9階  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部審査マネジメント課  
電話(ダイヤルイン) 03-3506-9556

(受付時期)

上記(1)の日程調整依頼書の受付日の翌々日までに必着。

提出された資料に基づき、「別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業」への該当性を確認した上で、機構より該当性の可否及び事前に振り込みいただく手数料の区分をご連絡します。

(3) 対面助言の日程及び実施日時の連絡

上記(1)の日程調整依頼書の受付後、機構の担当者より、実施日時に係る調整のための連絡をします。実施日時、場所等が確定した段階で、「薬事戦略相談対面助言のご案内」(別紙様式4)により、相談者の連絡先あてにファクシミリにてお知らせします。

(4) 対面助言手数料の振込みと対面助言の申込み

上記(3)の「薬事戦略相談対面助言のご案内」を受信した日の翌日から起算して15勤務日以内に、機構が指定した手数料を市中銀行等から振り込んだ上で、「医薬品戦略相談対面助言申込書」、「医薬品戦略相談対面助言申込書(細胞・組織加工製品たる医療機器の品質及び安全性に係る相談用)」又は「医療機器戦略相談対面助言申込書」に必要事項を記入し、振込金受取書等の写しを添付の上、持参、郵送又は宅配のいずれかの方法で審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。なお、「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)」又は「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)」の区分で申し込んだ場合には、機構より連絡した「薬事戦略相談対面助言のご案内」(相談手数料の低額要件適用の可否及び振り込みいただく手数料の区分が記載されたもの)の写しを添付してください。持参、郵送又は宅配の場合には封筒の表に「薬事戦略相談対面助言申込書在中」と朱書きしてください。

なお、手数料額及び振込方法の詳細については、平成19年3月30日付け薬機発第0330001号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う審査等の手数料について」を参照ください。

(5) 対面助言の資料の提出

対面助言の資料については、以下のとおり、持参、郵送又は宅配のいずれかの方法によって、審査マネジメント部審査マネジメント課へ提出してください。

①資料の提出部数

20部

②資料の提出期限

原則として、対面助言予定日の5週間前の週の第1勤務日午後3時までとします。なお、資料部数の変更が必要な場合は、機構の担当者より提出部数を連絡します。また、資料については、電子媒体の提出をお願いすることがあります。なお、提出された資料は、原則として機構において廃棄しますが、返却の希望については、資料提出の際に確認します。

#### (6) 対面助言の資料に盛り込む内容

開発コンセプトを含め、事前面談において機構の担当者が推奨した資料のまとめ方に従って作成してください。また、平成23年●月●日付け薬機発第xxxxxxx号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要領等について」の(別添1)あるいは(別添5)の「6.対面助言の資料に盛り込む内容」のうち、相談事項に該当する項等も参考に資料を作成してください。

なお、細胞・組織加工製品の品質及び安全性に係る相談を行う場合は、相談内容に応じて以下の指針等も参考の上資料を作成してください。

- ・ 「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」(平成20年2月8日付け薬食発第0208003号厚生労働省医薬食品局長通知「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」)
- ・ 「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」(平成20年9月12日付け薬食発第0912006号厚生労働省医薬食品局長通知「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」)

#### (7) 対面助言の実施

- ①相談内容について、機構の担当者から事前に照会する場合があります。
- ②対面助言実施日の前日までに、出席者人数、相談者側専門家又は外国人の出席の有無(通訳出席の有無を含む。)、プレゼンテーションの際に使用する機材について、機構の担当者までご連絡ください。
- ③出席人数については、会議室の広さの関係上、相談1回あたり15名以内とします。
- ④対面助言当日は、機構受付で対面助言の予約がある旨を伝えていただき、その案内に従ってください。
- ⑤相談時間は、相談1回あたり2時間程度とします。
- ⑥当日は、相談者から相談事項の概略についての10分程度のプレゼンテーションをお願いします。その後相談を実施します。なお、プレゼンテーション用資料(写)の提出時期等については、事前に機構の担当者にご相談ください。

#### (8) 対面助言記録の伝達

対面助言の実施後、機構において記録を作成し相談者に内容を確認していただいた上、相談者に送付します。

### 6. 対面助言の取下げ、日程変更

- (1)対面助言の申込み後、その実施日までに、申込者の都合で、取下げを行う場合には、業務方法書実施細則の様式第16号の「対面助言申込書取下願」に必要事項を記入し提出してください。また、業務方法書実施細則の様式第17号の「医薬品等審査等手数料還付請求書」に、必要事項記入の上、審査マネジメント部審査マネジメント課に提出された場合は、手数料の半額を還付します。
- (2)申込者の都合で実施日の変更を行う場合は、一旦、「対面助言申込書取下願」を提出し、再度申込みを行っていただきます。また、業務方法書実施細則の様式第17号の「医薬品等審査等手数料還付請求書」に、必要事項記入の上、審査マネジメント部審査マネジメント課に提出された場合は、手数料の半額を還付します。
- (3)機構の都合で実施日の変更を行う場合や、実施日の変更がやむを得ないものと機構が認めた場合は、「対面助言申込書取下願」を提出する必要はありません。
- (4)取下げる場合であっても、機構がやむを得ないものとして認め、また業務方法書実施細則の様式第17号の「医薬品等審査等手数料還付請求書」に、必要事項記入の上、審査マネジメント部審査マネジメント課



に提出された場合には、手数料の全額を還付します。

#### 7. その他

- (1) 薬事戦略相談を実施する上で知り得た相談事項に係る秘密情報を、発表、公開、漏洩又は利用することはありません。
- (2) 機構が対面助言を適正かつ円滑に実施する上で必要と判断した場合には、相談者の研究室、製造設備等を訪問する場合があります。

(別紙様式1)

薬事戦略相談事前面談質問申込書

平成 年 月 日

相談区分		<input type="checkbox"/> 医薬品戦略相談 <input type="checkbox"/> 医薬品戦略相談(細胞・組織加工製品) <input type="checkbox"/> 医療機器戦略相談 <input type="checkbox"/> 医療機器戦略相談(細胞・組織加工製品)		
申込者名				
連絡先	申込責任者名			
	所属部署名			
	電話番号			
	ファクシミリ番号			
他の面談出席者と所属部署名				
担当分野				
[質問事項]				
<table border="1"><tr><td>表題</td><td></td></tr></table>			表題	
表題				
1.				
2.				
事前面談希望日				
備考				

(注意)

- 1 用紙の大きさは日本工業規格A4としてください。
- 2 記入欄に記入事項のすべてを記入できないときは、その欄に「別紙( )のとおり」と記入し別紙を添付してください。
- 3 薬事戦略相談事前面談質問申込書の記入要領は以下のとおりです。
  - (1)相談区分  
相談する品目の該当する区分にチェックしてください。
  - (2)申込者名欄  
法人にあつては名称を記入してください。
  - (3)担当分野欄  
別添4の新医薬品及び医療機器の分野から、該当する分野を選んで記入してください。
  - (4)質問事項欄  
表題を付すとともに、本質問の申込みに至った背景及び質問の内容を整理し、簡潔(箇条書き)に記入してください。なお、本欄に記載された事項以外の質問事項にはお答えできませんので、予めご了承ください。
  - (5)事前面談希望日欄  
面談を希望する日を複数日記入してください。
  - (6)備考  
その他、補足等があれば記入してください。

(別紙様式 2)

薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書  
(大学・研究機関)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査センター長 殿

私共は、添付の資料のとおり、下記の 2 つの要件を満たしておりますので、薬事戦略相談に係る低額手数料の適用を申請いたします。

記

1. 国から当該シーズに係る研究費を医薬品については 9,000 万円、医療機器については 5,000 万円程度以上受けていないこと
2. 当該シーズに係る製薬企業・医療機器開発企業との共同研究契約等により、当該シーズの実用化に向けた研究費を当該企業から受けていないこと

平成 年 月 日

住所(主たる事務所の所在地)

氏名(名称及び代表者の氏名) 印

(別紙様式3)

薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書  
(ベンチャー企業)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査センター長 殿

当社は、添付の資料のとおり、下記の4つの要件を満たしておりますので、薬事戦略相談に係る低額手数料の適用を申請いたします。

記

1. 中小企業であること(従業員数300人以下又は資本金3億円以下)
2. 他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと
3. 複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと
4. 前事業年度において、当期利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと。

平成 年 月 日

住所(主たる事務所の所在地)

氏名(名称及び代表者の氏名) 印

(別紙様式 4)

薬事戦略相談対面助言のご案内

日程調整依頼者名		
日程調整依頼日 受付番号		平成 年 月 日 番
相談区分		
対面助言実施 日時・場所		
機構	担当分野	
	担当者名	担当審査役: 主担当: 副担当:
	予定専門委員	
備考		薬事戦略相談に係る相談手数料低額要件適用申請書類を確認した結果、別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業に、 <input type="checkbox"/> 該当することが確認されました。 <input type="checkbox"/> 該当することが確認できませんでした。 については、以下の区分の手数料を払い込んでください。 <input type="checkbox"/> 医薬品戦略相談 <input type="checkbox"/> 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) <input type="checkbox"/> 医療機器戦略相談 <input type="checkbox"/> 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)

上記のとおり実施しますので、お知らせします。

平成 年 月 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
審査マネジメント部  
(連絡先)

様

(注意)

本件ご案内を送付する際に、担当者及び予定専門委員が未定の場合は、その旨を記載します。

(別添1)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則(平成16年細則第4号)の様式第13号

医薬品戦略相談対面助言申込書

処 理 欄

相談対象	<input type="checkbox"/> 細胞・組織加工製品以外の医薬品 <input type="checkbox"/> 細胞・組織加工製品たる医薬品(品質及び安全性に係るもの) <input type="checkbox"/> 細胞・組織加工製品たる医薬品(治験プロトコール等品質及び安全性以外に係るもの)
担当分野	
被験物の名称又は識別記号(成分記号)	
予定される一般名称等(医薬品の成分名)	
投与経路/剤型	
品質及び安定性等に関する情報	
予定される薬効分類	
予定される効能又は効果	
予定される治験の目的	
手数料の区分	<input type="checkbox"/> 医薬品戦略相談 <input type="checkbox"/> 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)
相談内容の概略	
相談内容の種類	
治験実施計画作成時に助言を得た専門家の氏名及び所属	
同一医薬品についての過去の対面助言(治験相談を含む)	
主要先進国における承認状況	
添付資料一覧	
本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先(電話、ファクシミリ)	
備 考	

上記により対面助言を申込みます。

平成 年 月 日

住 所(法人にあつては、主たる事務所の所在地)

氏 名(法人にあつては、名称及び代表者の氏名) 印

(業者コード )

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
審査センター長 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは日本工業規格A4とすること。
- 2 記入欄に記入事項のすべてを記入できないときは、その欄に「別紙( )のとおり」と記入し別紙を添付すること。
- 3 申込書記入要領は以下のとおり。
  - (1) 相談対象欄  
該当するものにチェックしてください。
  - (2) 担当分野欄  
別添4の新医薬品及び医療機器の分野から、該当する分野を選んで記入してください。
  - (3) 被験薬の名称又は識別記号(成分記号)欄  
被験薬の名称又は識別記号を記入してください。なお、治験プロトコールに関する相談の場合は、治験計画書に記載する予定の治験成分記号を記入してください。
  - (4) 予定される一般名称等(医薬品の成分名)欄  
成分名は、一般名(JAN又はINN)がある場合には、それを記入し(英名及び日本名)、ない場合には化学名(英名)を記入してください。細胞・組織加工製品については、品目の概略を把握できるような名称(例えば、自家培養○細胞、他家由来○細胞など)を記入してください。
  - (5) 投与経路/剤型欄  
投与経路(直腸投与、点滴静注等)及び剤型(坐剤、注射剤等)を記入してください。
  - (6) 品質及び安定性等に関する情報  
品質及び安定性等に関する相談の場合は、相談時点で得られている、品質に関する情報(暫定規格、添加物等に関する情報)、安定性に関する情報(原薬及び製剤の安定性試験に関する情報)、製造に関する情報(自社若しくは自らの研究所での製造なのか、委託製造なのか等に関する情報)等を記載してください。
  - (7) 予定される薬効分類欄  
薬効分類を記入し、末尾に括弧書きで薬効分類コード番号(3桁)を記入してください。
  - (8) 予定される効能又は効果欄  
薬効薬理から期待される効能又は効果について類薬を参考に記入してください。
  - (9) 予定される治験の目的欄  
予定される治験の目的、開発のフェーズを記入してください。
  - (10) 手数料の区分欄  
該当する相談の区分にチェックしてください。
  - (11) 相談内容の概略欄  
相談内容を具体的に記入してください。別紙として添付しても差し支えありません。なお、提出の際には、本欄の記入内容について、電子媒体(テキスト形式)をあわせて提出してください。
  - (12) 相談内容の種類欄  
治験実施計画に関する相談で、相談内容が以下に該当する場合はその旨を記入してください。
    - ①First-in-human試験
    - ②国際共同治験
  - (13) 治験実施計画作成時に助言を得た専門家の氏名及び所属欄  
治験実施計画に関する相談で、治験実施計画書の作成に当たり、指導・助言を得た外部の専門家がいる場合には、その氏名及び所属を記入してください。対面助言に参加を予定している外部専門家には、氏名の頭に○印を付けてください。
  - (14) 同一医薬品についての過去の対面助言(治験相談を含む)欄  
同一医薬品について過去に対面助言(治験相談を含む)を行っている場合には、その受付番号及び対面助言(治験相談を含む)の区分、相談年月日を記入してください。同一成分であって投与経路、効能効果等や製剤が今回の申込みと異なる医薬品に対して相談を行っている場合も同様に記入し、年月日の後ろに括弧書きでその旨を記入してください。
  - (15) 主要先進国における承認状況欄  
仮に、相談対象の医薬品の効能について、米英独仏又はEUにおいて承認を取得している場合には、それぞれ承認国名等を記入し、その後ろに承認年を括弧書きで「米(1999年承認)」のように記入してください。また、承認には至っていないが治験中又は申請中の場合も、同様に記入し、その後ろに治験開始年あるいは申請年を「英(2000年治験開始)」又は「EU(2001年申請)」のよ



うに記入してください。

なお、米英独仏EUのいずれにおいても当該効能での開発が行われていない場合であって、これらの国等において別効能で承認がなされている場合には、「独（2002年別効能で承認）」のように記入し、これら以外の国で相談効能と同じ効能で承認されている場合には、その主要先進国名と承認年を「カナダ（2003年承認）」のように記入してください。

(16) 添付資料一覧欄

本申込みにあたり添付する資料の一覧を記入してください。

(17) 本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先（電話、ファクシミリ）欄

本相談の連絡窓口になる担当者1名（共同開発の場合にあつては、複数可）について氏名、所属及び連絡先（電話、ファクシミリ）を記入してください。

なお、機構からの問い合わせ、案内等はこの欄に記入された担当者宛に行いますので、誤記、記入漏れ等のないようにお願いします。

自ら治験を実施する医師の場合には、所属は医療機関名及びその所属診療科を記入してください。

(18) 備考欄

- ①共同開発の場合において連名で申込みを行わない場合には、共同開発の相手会社名等を記入し、その旨を明らかにしてください。
- ②生物由来製品（特定生物由来製品を含む）に該当する医薬品又は該当することが見込まれる医薬品の場合には、それぞれ、「生物由来製品」又は「生物由来製品の可能性」と記入してください。
- ③当該効能で希少疾病用医薬品の指定申請を検討している場合には、「希少疾病用医薬品指定申請を検討中」と記入してください。
- ④自ら実施する治験の場合には、「自らが実施する治験」と記入してください。また、治験薬提供者が定まっている場合には、治験薬提供者名、提供者の連絡先担当者名、電話番号及びファクシミリ番号を記入してください。
- ⑤日程調整依頼を行う場合にあつては、対面助言の実施を希望する日（午前又は午後）及び希望しない日（午前又は午後）を可能な限り記載してください。
- ⑥日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、例えば「日程調整の結果、平成〇年〇月〇日午前（午後）・〇〇分野の対面助言実施予定」のように日程調整結果を記入してください。
- ⑦日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、「薬事戦略相談対面助言のご案内」（相談手数料の低額要件適用の可否及び振り込みいただく手数料の区分が記載されたもの）の写しを添付し、その旨を記載してください。

(19) その他

住所（法人にあつては主たる事務所の所在地）及び氏名（法人にあつては名称及び代表者の氏名）を記入し、医薬品製造販売業者等にあつては、当該氏名の下に括弧書きで業者コード（9桁）を記入してください。なお、業者コードを持たない方は業者コードを「999999999」と、自ら治験を実施する方は業者コードを「999999888」と記入してください。

- 4 添付資料の構成等については、相談申込書提出前に事前面談をご利用いただき、必要かつ十分な資料の準備をお願いします。

(別添2)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則(平成16年細則第4号)の様式  
第14号

医薬品戦略相談対面助言申込書  
(細胞・組織加工製品たる医療機器の品質及び安全性に係る相談用)

処 理 欄

担当分野	
類別	
被験物の名称及び識別記号	
予定される一般的名称	
予定されるクラス分類	
予定される性能、使用目的、効能又は効果	
予定される治験等の目的	
手数料の区分	<input type="checkbox"/> 医薬品戦略相談 <input type="checkbox"/> 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)
相談内容の概略	
同一被験物についての過去の対面助言	
主要先進国における承認(認証)状況	
添付資料一覧	
本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先(電話、ファクシミリ)	
備 考	

上記により対面助言を申込みます。

平成 年 月 日

住 所(法人にあつては、主たる事務所の所在地)

氏 名(法人にあつては、名称及び代表者の氏名) 印

(業者コード )

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
審査センター長 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは日本工業規格A4とすること。
- 2 記入欄に記入事項のすべてを記入できないときは、その欄に「別紙( )のとおり」と記入し別紙を添付すること。
- 3 申込書記入要領は以下のとおり。

(1) 担当分野欄

別添4の新医薬品及び医療機器の分野から、該当する分野を選んで記入してください。

(2) 類別欄

薬事法施行令(昭和36年政令第11号)別表第一による類別を記入してください。なお、体外診断用医薬品及び細胞・組織加工製品にあつては記入の必要はありません。

(3) 被験物の名称及び識別記号欄

被験物の化学名又は識別記号(当該機械器具等を識別するための記号、名称等)を記入してください。

(4) 予定される一般的名称欄及び予定されるクラス分類欄

平成17年3月11日薬食発第0311005号厚生労働省医薬食品局通知「薬事法第二条第五項から第七項までの規定により厚生労働大臣が指定する高度管理医療機器、管理医療機器及び一般医療機器の一部を改正する件(告示)及び薬事法第二条第八項の規定により厚生労働大臣が指定する特定保守管理医療機器の一部を改正する件(告示)の施行について」の別添に基づき記入してください。細胞・組織加工製品の一般的名称欄には、品目の概略を把握できるような一般的名称(案)(例えば、自家培養○細胞、他家由来○細胞など)を簡潔に記入してください。なお、体外診断用医薬品にあつては、記入を要しません。

(5) 予定される性能、使用目的、効能又は効果欄

予定される性能、使用目的、効能又は効果について記入してください。

(6) 予定される治験等の目的欄

予定される治験等の目的などを記入してください。

なお、体外診断用医薬品について、臨床性能試験、相関性試験等に関する相談を行う場合には、本欄において、その試験を行う目的(新しい臨床的意義の根拠を示すことを目的としているのか、相関性を示すことを目的としているのか等)を明らかにしてください。

(7) 手数料の区分欄

該当する相談の区分にチェックしてください。

(8) 相談内容の概略欄

相談内容を具体的に記入してください。

海外データを利用して申請することを検討している場合には、「海外データの利用あり」と記入した上で、相談内容を具体的に記入してください。

(9) 同一被験物についての過去の対面助言欄

同一被験物について過去に対面助言を行っている場合には、その受付番号及び対面助言の区分、相談年月日を記入してください。同一被験物であつて使用目的、効能効果等が今回の申込みと異なるものに対して対面助言を行っている場合も同様に記入し、年月日の後ろに括弧書きでその旨を記入してください。

(10) 主要先進国における承認(認証)状況欄

仮に、相談対象である性能、使用目的、効能又は効果について、米国、EU等の主要先進国等において承認を取得している場合には、それぞれ、承認又は認証国(地域)名を記入するとともに、その後ろに承認又は認証年を括弧書きで記入してください。なお、認証の場合は、認証機関名も記入してください(例:「米国(2004年承認)、EU(2004年認証、認証機関名)」)。

また、承認には至っていないが治験中又は申請中の場合にも同様に承認国(地域)名を記入し、その後ろに治験開始年又は申請年を「EU(2003年治験開始)」又は「米国(2004年申請)」のように記入してください。

なお、別効能等で承認がなされている場合には、「米国(2004年別効能で承認)」のように記入してください。

(11) 添付資料一覧欄

本申込み当たり添付する資料の一覧を記入してください。

(12) 本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先(電話、ファクシミリ)欄

本相談の連絡窓口となる担当者一名(共同開発の場合にあつては、複数可)について、氏名、所属及び連絡先(電話、ファクシミリ)を記入してください。

なお、機構からの問合せ、案内等はこの欄に記入された担当者宛に行いますので、誤記、記入漏れ等のないようにお願いします。

(13) 備考欄

- ①生物由来製品(特定生物由来製品を含む。)に該当するもの又は該当することが見込まれるものについては、それぞれ、「生物由来製品」又は「生物由来製品の可能性」と記入してください。
- ②当該用途で希少疾病用医療機器の指定申請を検討している場合には、「希少疾病用医療機器の指定申請を検討中」と記入してください。
- ③日程調整依頼を行う場合にあっては、対面助言の実施を希望する日(午前又は午後)及び希望しない日(午前又は午後)を可能な限り記載してください。
- ④日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、例えば「日程調整の結果、平成〇年〇月〇日午前(午後)・〇〇分野の対面助言実施予定」のように日程調整結果を記入してください。
- ⑤日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、「薬事戦略相談対面助言のご案内」(相談手数料の低額要件適用の可否及び振り込みいただく手数料の区分が記載されたもの)の写しを添付し、その旨を記載してください。

(14) その他

住所(法人にあっては主たる事務所の所在地)及び氏名(法人にあっては名称及び代表者の氏名)を記入し、医療機器製造販売業者等にあっては、当該氏名の下に括弧書きで業者コード(9桁)を記入してください。なお、業者コードを持たない方は業者コードを「999999999」と、自ら治験を実施する方は業者コードを「999999888」と記入してください。

- 4 添付資料の構成等については、相談申込書提出前に事前面談をご利用いただき、必要かつ十分な資料の準備をお願いします。

(別添3)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則(平成16年細則第4号)の様式第15号

医療機器戦略相談対面助言申込書

処 理 欄

相談対象	<input type="checkbox"/> 細胞・組織加工製品以外の医療機器 <input type="checkbox"/> 細胞・組織加工製品たる医療機器(治験プロトコール等品質及び安全性以外に係るもの) <input type="checkbox"/> 体外診断薬
担当分野	
類別	
被験物の名称及び識別記号	
予定される一般的名称	
予定されるクラス分類	
予定される性能、使用目的、効能又は効果	
予定される治験等の目的	
手数料の区分	<input type="checkbox"/> 医療機器戦略相談 <input type="checkbox"/> 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)
相談内容の概略	
治験等の実施計画作成時に助言を得た専門家の氏名及び所属	
同一被験物についての過去の対面助言	
主要先進国における承認(認証)状況	
添付資料一覧	
本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先(電話、ファクシミリ)	
備 考	

上記により対面助言を申込みます。

平成 年 月 日

住 所(法人にあつては、主たる事務所の所在地)  
 氏 名(法人にあつては、名称及び代表者の氏名) 印

(業者コード )

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
 審査センター長 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは日本工業規格A4とすること。
- 2 記入欄に記入事項のすべてを記入できないときは、その欄に「別紙( )のとおり」と記入し別紙を添付すること。
- 3 申込書記入要領は以下のとおり。
  - (1) 相談対象欄  
該当するものにチェックしてください。
  - (2) 担当分野欄  
別添4の新医薬品及び医療機器の分野から、該当する分野を選んで記入してください。
  - (3) 類別欄  
薬事法施行令(昭和36年政令第11号)別表第一による類別を記入してください。なお、体外診断用医薬品及び細胞・組織加工製品にあつては記入の必要はありません。
  - (4) 被験物の名称及び識別記号欄  
被験物の化学名又は識別記号(当該機械器具等を識別するための記号、名称等)を記入してください。
  - (5) 予定される一般的名称欄及び予定されるクラス分類欄  
平成17年3月11日薬食発第0311005号厚生労働省医薬食品局通知「薬事法第二条第五項から第七項までの規定により厚生労働大臣が指定する高度管理医療機器、管理医療機器及び一般医療機器の一部を改正する件(告示)及び薬事法第二条第八項の規定により厚生労働大臣が指定する特定保守管理医療機器の一部を改正する件(告示)の施行について」の別添に基づき記入してください。細胞・組織加工製品の一般的名称欄には、品目の概略を把握できるような一般的名称(案)(例えば、自家培養○細胞、他家由来○細胞など)を簡潔に記入してください。なお、体外診断用医薬品にあつては、記入を要しません。
  - (6) 予定される性能、使用目的、効能又は効果欄  
予定される性能、使用目的、効能又は効果について記入してください。
  - (7) 予定される治験等の目的欄  
予定される治験等の目的などを記入してください。  
なお、体外診断用医薬品について、臨床性能試験、相関性試験等に関する相談を行う場合には、本欄において、その試験を行う目的(新しい臨床的意義の根拠を示すことを目的としているのか、相関性を示すことを目的としているのか等)を明らかにしてください。
  - (8) 手数料の区分欄  
該当する相談の区分にチェックしてください。
  - (9) 相談内容の概略欄  
相談内容を具体的に記入してください。  
治験実施計画に関する相談で、国際共同試験を計画しており、その試験計画等に関する相談を行う場合には、「国際共同試験の相談」と記入した上で、相談内容を具体的に記入してください。  
海外データを利用して申請することを検討している場合には、「海外データの利用あり」と記入した上で、相談内容を具体的に記入してください。
  - (10) 治験実施計画作成時に助言を得た専門家の氏名及び所属欄  
治験実施計画に関する相談で、治験等の実施計画作成に当たり指導・助言を得た外部の専門家がいる場合に、その専門家の氏名及び所属を記入してください。対面助言に参加を予定している外部の専門家には、氏名の頭に○印をつけてください。
  - (11) 同一被験物についての過去の対面助言欄  
同一被験物について過去に対面助言を行っている場合には、その受付番号及び対面助言の区分、相談年月日を記入してください。同一被験物であつて使用目的、効能効果等が今回の申込みと異なるものに対して対面助言を行っている場合も同様に記入し、年月日の後ろに括弧書きでその旨を記入してください。
  - (12) 主要先進国における承認(認証)状況欄  
仮に、相談対象である性能、使用目的、効能又は効果について、米国、EU等の主要先進国等において承認を取得している場合には、それぞれ、承認又は認証国(地域)名を記入するとともに、その後ろに承認又は認証年を括弧書きで記入してください。なお、認証の場合は、認証機関名も記入してください(例:「米国(2004年承認)、EU(2004年認証、認証機関名)」)。  
また、承認には至っていないが治験中又は申請中の場合にも同様に承認国(地域)名を記入し、その後ろに治験開始年又は申請年を「EU(2003年治験開始)」又は「米国(2004年申請)」のように記入してください。  
なお、別効能等で承認がなされている場合には、「米国(2004年別効能で承認)」のように記入してください。

い。

(13) 添付資料一覧欄

本申込みに当たり添付する資料の一覧を記入してください。

(14) 本申込みの担当者氏名、所属及び連絡先（電話、ファクシミリ）欄

本相談の連絡窓口となる担当者一名（共同開発の場合にあつては、複数可）について、氏名、所属及び連絡先（電話、ファクシミリ）を記入してください。

なお、機構からの問合せ、案内等はこの欄に記入された担当者宛に行いますので、誤記、記入漏れ等のないようにお願いします。

自ら治験を実施する医師の場合は、所属は医療機関名及びその所属診療科を記入してください。

(15) 備考欄

①生物由来製品（特定生物由来製品を含む。）に該当するもの又は該当することが見込まれるものについては、それぞれ、「生物由来製品」又は「生物由来製品の可能性」と記入してください。

②当該用途で希少疾病用医療機器の指定申請を検討している場合には、「希少疾病用医療機器の指定申請を検討中」と記入してください。

③自ら実施する治験の場合には、「自らが実施する治験」と記入してください。また、治験機器提供者が定まっている場合には、治験機器提供者名、提供者の連絡先担当者名、電話番号及びファクシミリ番号を記入してください。

④日程調整依頼を行う場合にあつては、対面助言の実施を希望する日（午前又は午後）及び希望しない日（午前又は午後）を可能な限り記載してください。

⑤日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、例えば「日程調整の結果、平成〇年〇月〇日午前（午後）・〇〇分野の対面助言実施予定」のように日程調整結果を記入してください。

⑥日程調整結果を受けて本申込みを行う場合には、「薬事戦略相談対面助言のご案内」（相談手数料の低額要件適用の可否及び振り込みいただく手数料の区分が記載されたもの）の写しを添付し、その旨を記載してください。

(16) その他

住所（法人にあつては主たる事務所の所在地）及び氏名（法人にあつては名称及び代表者の氏名）を記入し、医療機器製造販売業者等にあつては、当該氏名の下に括弧書きで業者コード（9桁）を記入してください。なお、業者コードを持たない方は業者コードを「999999999」と、自ら治験を実施する方は業者コードを「999999888」と記入してください。

4 添付資料の構成等については、相談申込書提出前に事前面談をご利用いただき、必要かつ十分な資料の準備をお願いします。

(別添4)

新医薬品及び医療機器の分野

1. 新医薬品

分野	対象
第1分野	消化器官用薬、外皮用薬
第2分野	循環器官用剤、抗パーキンソン病薬、脳循環・代謝改善薬、アルツハイマー病薬
第3分野の1	中枢神経系用薬、末梢神経系用薬。ただし、麻酔用薬を除く
第3分野の2	麻酔用薬、感覚器官用薬(炎症性疾患に係るものを除く)、麻薬
第4分野	抗菌剤、寄生虫・抗ウイルス剤(エイズ医薬品分野を除く)
第5分野	泌尿生殖器官・肛門用薬、医療用配合剤
第6分野の1	呼吸器官用薬、アレルギー用薬、感覚器官用薬(炎症性疾患)
第6分野の2	ホルモン剤、代謝性疾患用薬(配合剤を除く)
抗悪性腫瘍剤分野	抗悪性腫瘍用薬
エイズ医薬品分野	HIV感染症治療薬
放射性医薬品分野	放射性医薬品
体内診断薬分野	造影剤
生物製剤分野	ワクチン、抗毒素
血液製剤分野	グロブリン、血液凝固因子製剤
細胞治療分野	細胞治療用医薬品
バイオ品質分野	バイオ医薬品(遺伝子治療用医薬品を含む)の品質

(注意)

- ①移植免疫抑制用薬、解毒剤、腎臓系疾患用薬等は、第1分野になります。
- ②第1分野の「消化器官用薬」は、肝臓系疾患用薬、膵臓系疾患用薬を含みます。「外皮用薬」には、外用以外の皮膚科用薬及び一般に体内吸収を目的とする外用剤は含みません。
- ③抗生物質を有効成分とする眼科用剤等は、第3分野の1、第3分野の2、第6分野の1ではなく、第4分野になります。
- ④第5分野の「医療用配合剤」とは、主として類似処方医療用配合剤を指します。それ以外の医療用配合剤については、予定される効能・効果の該当分野になります。
- ⑤第6分野の1の「アレルギー用薬」は、内服薬を対象としています。「アレルギー用薬」のうち、外用薬は第1分野になります。
- ⑥第6分野の2の「ホルモン剤、代謝性疾患用薬」は、糖尿病薬、骨粗鬆症薬、消化ホルモン以外のホルモン剤、痛風薬、先天性代謝異常治療薬を含みます。ただし、ホルモン剤のうち泌尿生殖器官用薬については、第6分野の2ではなく、第5分野になります。



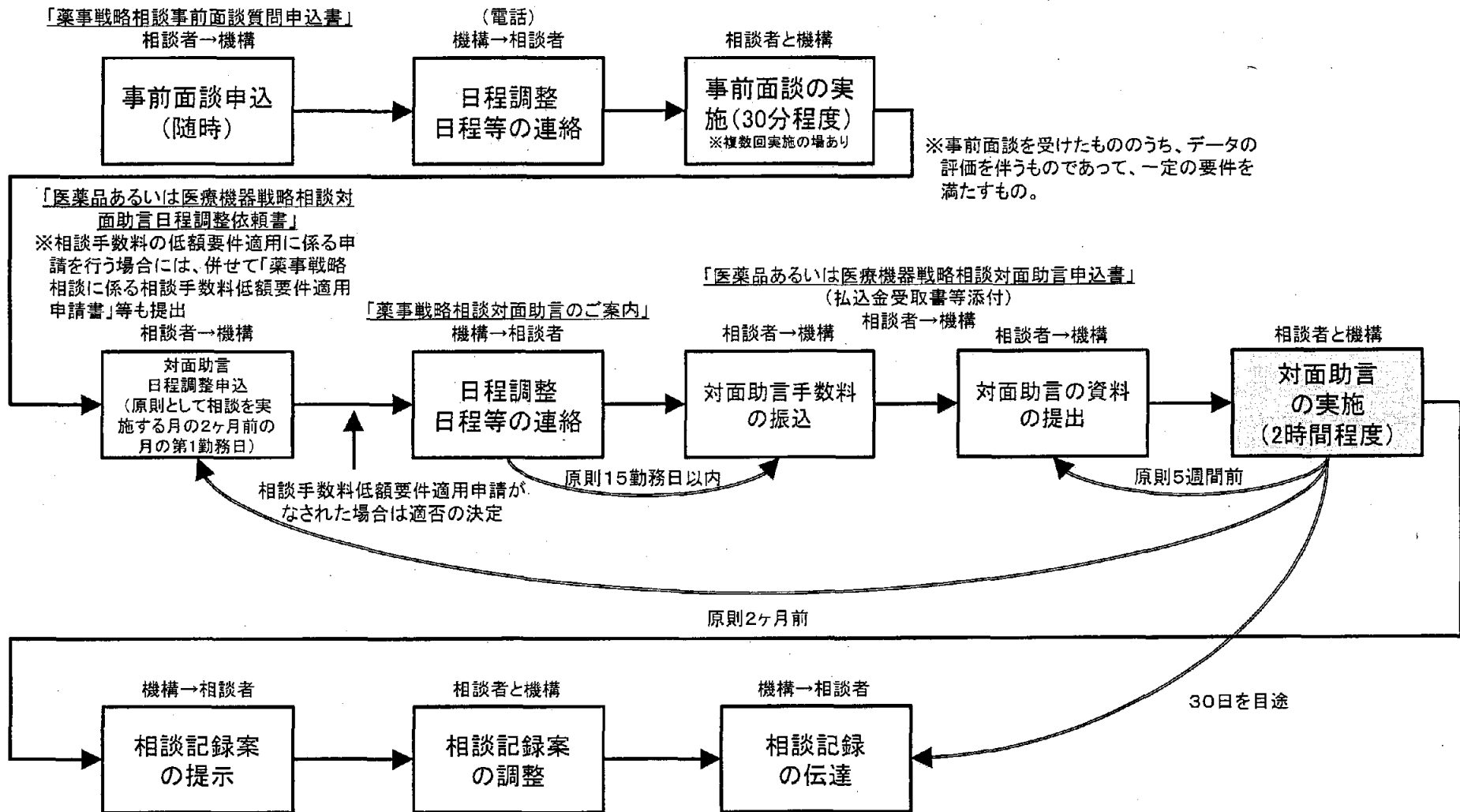
2. 医療機器(体外診断用医薬品、細胞・組織加工製品を担当する分野を含む)

分野	対 象
第1分野	主として眼科、耳鼻咽喉科領域
第2分野	主として歯科領域
第3分野の1	主として脳・循環器、呼吸器、精神・神経領域(材料系)のうち、インターベンション機器関係
第3分野の2	主として脳・循環器、呼吸器、精神・神経領域(材料系)のうち、インターベンション機器以外の機器関係
第4分野	主として脳・循環器、呼吸器、精神・神経領域(機械系)
第5分野	主として消化器系、泌尿器系、産婦人科領域
第6分野の1	主として整形分野のうち膝・上肢関節、股・指関節等の関節に関する医療機器
第6分野の2	主として整形分野のうちプレート・スクリュー、髄内釘・脊椎等の固定材及び関連する器械・機械、並びに形成外科、皮膚科領域の医療機器
第7分野	主として臨床検査領域(体外診断用医薬品関係)
第8分野	主として多科に関わる医療機器、高度医用電子機器及び他分野に属さない医療機器
細胞治療・再生医療分野	細胞・組織加工製品

(別紙1)

# 薬事戦略相談の流れの詳細

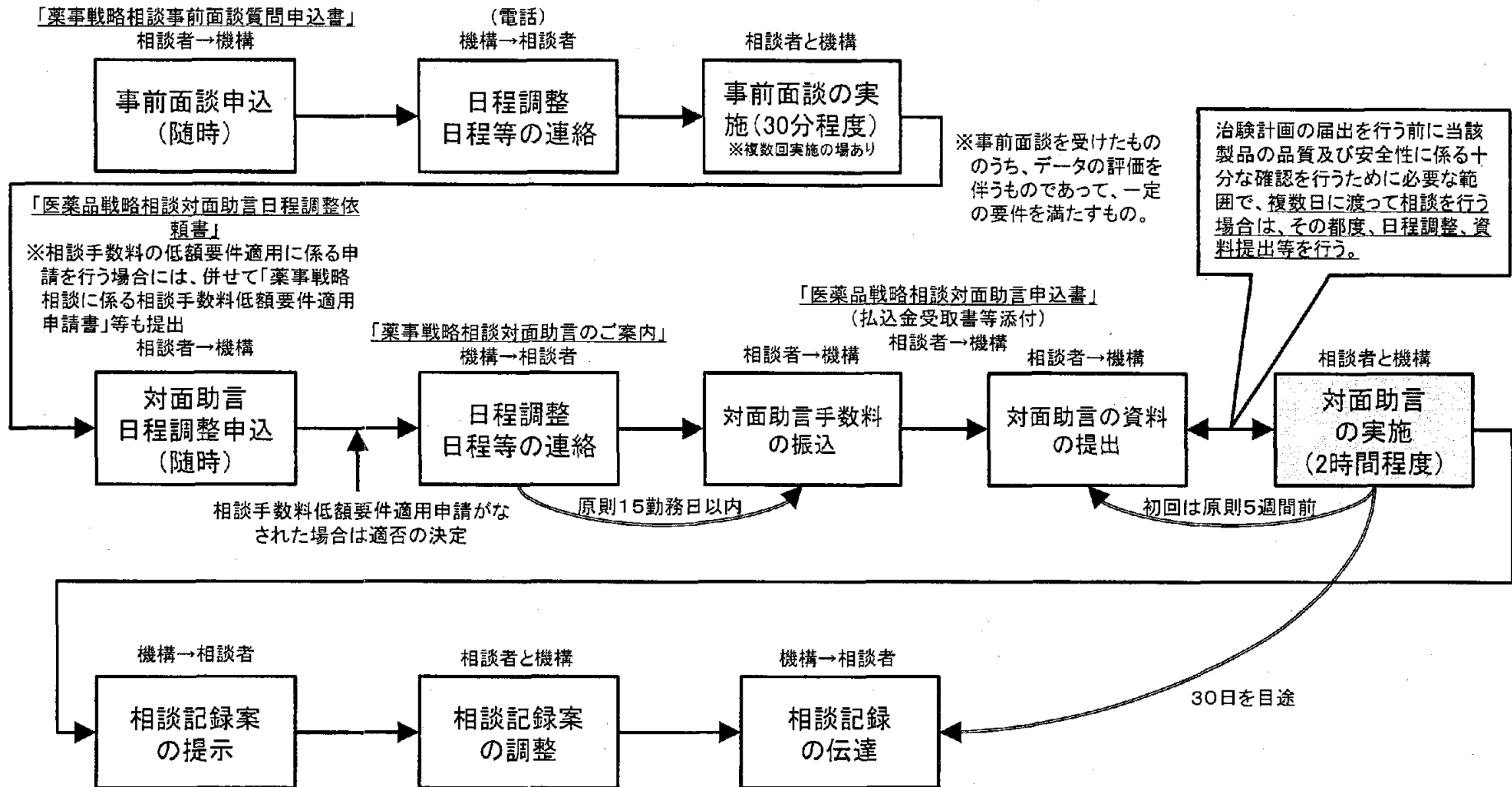
(従来の確認申請相当分を除く薬事戦略相談の場合)



(別紙2)

# 薬事戦略相談の流れの詳細

(従来の確認申請相当分の薬事戦略相談の場合)



2011年6月10日 日本バイオテック協議会

厚生労働省審査管理課御中

薬事戦略相談について以下の通り意見を申し述べます。

1. 優先すべき分野

『難治性疾患、稀少疾患、代替治療がない疾患』及び『医薬品、医療機器、細胞や組織を用いた治療技術などの実用化において国際競争力のある日本発の革新的技術』が適切である。ただし、確認申請を薬事戦略相談で置き換える分野（細胞、組織を用いた医療機器、医薬品）は、優先順位の別枠とする。

2. 上記、確認申請相当の相談について、PMDAの検討期間にタイムクロックを設ける。

3. 薬事戦略相談のミッションのPMDA内部での徹底を図る。すなわち；

- ・ 官民が協力して、日本発の新医薬品・医療機器の創出とドラッグラグ・デバイスラグの解消を目指す
- ・ 開発初期段階から治験、認可に至るまでの開発戦略の相談（相談結果の一貫性、認可を目指しての責任ある対応）
- ・ 親身になって企業の相談に乗り、一緒になって考える

4. 本相談事業において、以下2点を念頭におく。

- ① 患者救済    ② 産業育成 = 国益

5. 薬事戦略相談のミッションと実績を社会に定期発信する。

6. 顧客である相談者のニーズ、満足度を定期的に把握する。

- ・ 相談者による個別相談の評価： 直後のみならず定期的に実施。
- ・ 当制度の全体的な検証： 薬事戦略懇談会の継続も視野に入れる（下記）。

7. 薬事戦略懇談会の継続

薬事戦略相談の実効性を検証し、制度の継続、拡大もしくは代替制度への変更も含めて検討するため、懇談会を7月以降も継続する。

8. その他：

- ・ （応募件数が多い場合）相談テーマの選抜基準と決定プロセスを公表する。
- ・ PMDAの定員について、現状過剰労働となっており、審査担当者などが勉強する時間が十分に確保されているか懸念される（例：関連学会への参加や相談者（大学・研究機関、企業）への訪問を通じた知識のアップデートも重要である。）PMDAの人員は、必要最低限ではなく、余裕を持った確保が必要であり、さらなる増員ならびに予算確保が必要である。
- ・ 薬事戦略相談で優先される分野における専門家は限定されるため、専門家が申請者と利害関係が発生する場合が想定される。専門家のプール人材の確保を含めた対策を検討する必要がある。

以上



事 務 連 絡

平成23年6月21日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬食品局審査管理課

厚生労働省医薬食品局監視指導・麻薬対策課

### 製造所変更迅速審査の申請時に添付すべき資料等の改正について

医療用医薬品の製造所の変更又は追加に係る迅速手続に関して、承認事項一部変更申請及びGMP適合性調査申請に添付すべき資料については、平成20年5月14日付け厚生労働省医薬食品局審査管理課及び監視指導・麻薬対策課事務連絡「製造所変更迅速審査の申請時に添付すべき資料等の改正について」（以下「事務連絡」という。）で資料内容の見直しを行っておりますが、今般、その取り扱いを下記のとおり改正することとしましたので、御了知の上、貴管下関係業者に対して周知徹底をお願いいたします。

#### 記

##### 1. 改正の概要

GMP調査権者が独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）である場合におけるGMP適合性調査申請の添付資料のうち、添付資料の注意点を示した別紙の記載の一部を改めたこと。さらに、当該製造所における調査対象品目等に関する概要を追加し、国内製造所の概要及び外国製造所の概要を記載する別紙様式について、記載情報の追加等のために改正したこと。

##### 2. 事務連絡の改正

(1) 別紙を別添のとおり改める。

(2) 当該製造所における調査対象品目等に関する概要として、別紙様式1を追加する。また、国内製造所の概要及び外国製造所概要を記載する別紙様式1及び2について、別紙様式2及び3のとおり改める。

##### 3. 適用時期

(1) 改正後の別紙は、平成23年8月1日以降のGMP適合性調査申請に対して適用する。

(2) 改正後の別紙様式1、2及び3は、本日以降のGMP適合性調査申請に対して適用する。ただし、平成23年7月31日までの申請については、改正前の医薬品製造所概要（国内製造所用）（別紙様式1）及び医薬品製造所概要（外国製造所用）（別紙様式2）を用いても差し支えない。

別紙：

1. 品目の概要及び製造所の概要に関する書類

調査対象品目等に関する概要にあつては別紙様式1、国内製造所の概要にあつては別紙様式2、外国製造業者の概要にあつては別紙様式3を用いること。

2. 製造所の配置図

製造所の立地環境がわかるもの及び製造所全体の施設配置がわかるものを提出すること。

3. 製造所の構造設備に関する資料

(1) 製造所の構造設備の図面

調査対象となる製造所の製造設備・設備機器について必要な事項（主要な装置の設置場所と装置の名称）が記載された図面（関係する試験検査施設や動物飼育舎等関連施設を含む）とすること。また、人・資材等の各種動線、施設内の環境管理区分、室間差圧の状況をわかりやすく記載し、施設内の環境管理の区分については、空調の系統の区別についても記載すること。さらに、次の場合には、人・資材等の各種動線、空調の系統の区別、室間差圧等の封じ込めの状況を明記すること。

- ① 当該製造所でβラクタム、ある種のステロイド類、若しくは細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等を製造している場合
- ② 当該製造所が原薬中間体製造所であり、βラクタム、高感作性のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質、若しくは除草剤又は殺虫剤の強い毒性を有する物質等を製造している場合

(2) コンピュータ化システムに関する資料

コンピュータ化システムを利用している場合には、次の資料を提出すること。

① GMP上重要なコンピュータ化システムの名称とその用途を記載したリスト等

（例）システム名称：ERP、MES、LIMS、DCS等

使用用途：原材料・製品管理、試験管理、製造制御、出荷判定等

② コンピュータ化システムバリデーションについて、製造所の方針がわかる簡潔な資料

（例えば、「コンピュータ化システム管理規定」の要約、その内容がわかる資料であつて、準拠しているガイドラインがわかり、手順書が整備されていることがわかるもの）

4. GMP組織図及び品質管理体制に関する資料

GMP上の各責任者の社内における職責及び氏名を記載すること。また、全社的な品質保証体制をとっている場合には、その旨を記載すること。さらに、経営陣の品質システムに関する責任等が規定されている場合は、その体制についても記載すること。

5. GMP文書体系図

GMP省令で要求されている手順書等を備えていることがわかる文書一覧（文書の表題、文書番号等を含む）を体系的に示した資料を提出すること。

## 6. 製造工程に関する資料

### (1) 製造工程の流れ図

調査対象品目の製造工程について、原料、中間体、中間製品、製品等を示し、工程パラメータ、溶媒、工程管理項目、規格等（デザインスペースに係る事項も含む）に関する事項が記載してあること。なお、溶媒、母液、結晶等の再利用、再加工、再処理を行う手順となっている場合には、その旨を記載すること。

### (2) 製造工程の詳細に関する資料

調査対象品目に係る基準書の写し又は手順書の写し（製造所で実際に運用している方法であることがわかる資料、例えば製造指図書原本の写し、製造記録の写し及び製造・試験検査の手順書の写し等）の該当部分等を提出すること。なお、回収溶媒の使用、回収粗結晶の再利用、再加工、再処理を行っている場合には、該当する資料を含めること。

### (3) 工程管理の詳細に関する資料

調査対象品目に関して、製造所で実際に運用している工程内試験の検査項目、工程管理値及び試験方法がわかる資料であること。

### (4) 調査対象品目に係る主要な中間体等及び製品の規格及び試験方法の詳細に関する資料

調査対象品目に関して、製造所で実際に運用している出荷規格及び試験方法がわかる資料であること。

### (5) 原材料の管理に関する資料

調査対象品目に関して、製造所で実際に運用している次の資料を提出すること。

#### ① 原料の受入試験内容及び規格がわかる資料

原薬等登録原簿（MF）で規格を設定した原料又は承認申請書の「成分及び分量又は本質」欄に記載した原料の受入試験の内容及びその規格がわかる資料であること。

#### ② 回収溶媒の使用状況がわかる資料

回収溶媒を使用している場合は、使用にあたっての規格がわかる資料であること。また、他品目の製造から回収した溶媒を当該品目に使用している場合には、その概要がわかる資料であること。

### (6) 製造に使用する水に関する資料

調査対象品目の製造（工程）に使用する水に関する次の資料を提出すること。

#### ① 工程内で使用するすべての水の種類と規格に関する資料

② 自社で製造用水の製造装置を持っている場合には、その製造の流れ図及び日常管理（管理項目と規格値）がわかる手順書の写し、又はその概要がわかる資料

## 7. バリデーションの実施状況に関する資料

### (1) 予測的バリデーションに関する資料

実生産規模での確認に関する予測的バリデーションの記録（報告書又は結果概要等、計画／報告状況がわかるもの）を提出すること。やむを得ず実生産規模の確認が3ロットに満たない場合等には、コンカレントバリデーションの実施計画書又は実生産規模での確認スケジュール等がわかる資料を提出すること。

なお、原材料又は製造工程において、重金属、ICH Q3C (R3) のクラス I 及びクラス II に分類された溶媒等が使用される場合には、その残留量の検討結果（例えば、バリデーション結果報告書）を提出すること。

(2) 洗浄バリデーションに関する資料

洗浄バリデーションの基準書（または手順書）の写し、又はその概要がわかる資料を提出すること。また、次の場合には、調査対象品目への交差汚染がないことを示す洗浄バリデーションの報告書の写しを提出すること。その際には、対象機器、洗浄方法、評価項目、基準値がわかる資料とすること。

- ① βラクタム、ある種のステロイド類、若しくは細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等を当該製造区域で製造している場合
- ② 当該製造所が原薬中間体製造所であり、βラクタム、高感作性のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質、若しくは除草剤又は殺虫剤の強い毒性を有する物質等を当該製造区域で製造している場合

(3) 輸送条件に関する資料

調査対象品目に関して、原薬、製剤、製品の輸送中の品質を保証するために実施した検討結果（輸送条件、品質検証項目等）がわかる資料（輸送試験の結果報告書の写し等）を提出すること。

(4) 試験方法の技術移管に関する資料

調査対象品目の試験方法の技術移管に関する次の資料を提出すること。

- ① 技術移管の報告書の写し又はその概要がわかる資料
- ② 教育訓練記録の写し

8. 製造実績あるいは年間予定ロット数等を記載したリスト

調査対象製造所において製造されている製造品目の年間ロット数及びロットサイズ等を記載したリストを提出すること。

9. 製造所からの出荷に関する資料

調査対象品目の出荷管理に関する次の資料を提出すること。

- ① 品目の出荷判定に関する手順書の写し（出荷時に照査する製造管理及び品質管理の手順が記載された手順書の写し）、又はその概要がわかる資料
- ② リアルタイムリリース又はパラメトリックリリースを適用している場合には、その出荷判定に関する手順書の写し、又はその概要がわかる資料

10. 逸脱管理に関する資料

(1) 逸脱管理手順書の写し、又はその概要がわかる資料

(2) 実際に発生した逸脱の管理に関する実績

調査対象品目について、調査申請の日から過去2年以内に行った逸脱管理に関する概要のわかるリストを提出し、履歴がない場合はその旨を記載すること。



## 1 1. 変更管理に関する資料

- (1) 変更管理手順書の写し、又はその概要がわかる資料
- (2) 実際に実施した変更の管理に関する実績

調査対象品目について、調査申請の日から過去2年以内に行った変更管理に関する概要のわかるリストを提出し、履歴がない場合はその旨を記載すること。

## 1 2. 生物由来原料基準への対応に関する資料

申請品目について、生物由来原料基準への対応がわかる資料を提出すること。生物由来原料基準の対象となる原料がない場合には、その旨を記載すること。

### (その他留意点)

1. 英語以外の外国語の資料が大部に及ぶ場合、概要を日本語又は英語により作成し、添付すること。
2. 資料について、やむを得ず、直接、製造業者等から総合機構に提出する場合には、調査担当者に相談し、指示に従うこと。
3. MRA対象国によるMRA対象品目についてのGMPへの適合性が確認できる場合には、上記の資料のうち、2.、3.、4.、5.、6. (6)、7. (2)、7. (3)、7. (4)、8.、9.、10. 及び11. について、提出を省略することが可能であること。また、MOU交換国については、同様に提出資料の省略が可能な場合があるため、具体的には調査担当者の指示に従うこと。
4. サイトマスターファイルに、調査資料として総合機構が要求した上記内容と同等の記載がある場合には、サイトマスターファイル（英語又は日本語）の提出に代えることで差し支えないこと。
5. 提出される資料のうち、製造所の責任者によって承認されていることが確認できない文書（当該調査のために作成された要約等の文書、CTDの抜粋、GMP管理として文書番号等が付されて管理されている文書ではない文書等）は、当該製造所の責任者が内容に責任をもつことを記した宣誓書等を付して提出すること。ただし、「6. 製造工程に関する資料」は除く（製造工程の流れ図及び製造に使用する水に関する資料について、当該調査のために作成した要約等の文書又はCTDの抜粋等を利用することは可能だが、当該製造所の責任者によって承認されたことがわかる資料か、又は当該製造所の責任者が内容に責任をもつことを記した宣誓書等の提出が必要になる。）。

## 製造所における調査対象品目に関する概要

平成 年 月 日現在

製造販売業者名	
品目名	
製造所の名称	
所在地	

## 調査対象品目等に関する情報

該当する□にレ点を記載して下さい。

製造施設・設備機器	原薬製造を含む一次包装工程までの製造について 建 物： <input type="checkbox"/> 専用 <input type="checkbox"/> 共用（一部共用を含む） 製 造 区 域： <input type="checkbox"/> 専用 <input type="checkbox"/> 共用（一部共用を含む） 製造設備機器： <input type="checkbox"/> 専用 <input type="checkbox"/> 共用（一部共用を含む）
	*上記が共用・一部共用の場合、その共用品目について当てはまる□にレ点を記載してください。 <input type="checkbox"/> 高生理活性物質（ある種のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等） <input type="checkbox"/> ペニシリン系抗生物質 <input type="checkbox"/> βラクタム系抗生物質 <input type="checkbox"/> 上記に該当なし <input type="checkbox"/> 開示なし
	二次包装工程以降の製造施設・設備機器： <input type="checkbox"/> 専用 <input type="checkbox"/> 共用（一部共用を含む）
製造工程の範囲	<input type="checkbox"/> 原薬中間体製造 <input type="checkbox"/> 原薬製造 <input type="checkbox"/> 原薬の一部工程（原薬の粉碎等） <input type="checkbox"/> 原薬の小分 <input type="checkbox"/> 製剤製造 <input type="checkbox"/> 製剤の一部工程（製剤のコーティング等） <input type="checkbox"/> 製剤の小分（PTP包装、ボトル充填等） <input type="checkbox"/> 包装・表示 <input type="checkbox"/> 保管
製品情報	<input type="checkbox"/> 生物学的製剤等 <input type="checkbox"/> 放出調節製剤 <input type="checkbox"/> シリンジ注射剤 <input type="checkbox"/> 輸液 <input type="checkbox"/> 粉末注射剤 <input type="checkbox"/> 凍結乾燥注射剤 <input type="checkbox"/> 溶液注射剤 <input type="checkbox"/> その他（ ）
原薬情報	<input type="checkbox"/> 新規有効成分 <input type="checkbox"/> 既存有効成分 <input type="checkbox"/> 原薬中間体 <input type="checkbox"/> ワクチン <input type="checkbox"/> 遺伝子組換え、細胞培養応用 <input type="checkbox"/> 抗血清 <input type="checkbox"/> 高生理活性物質（ある種のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等） <input type="checkbox"/> ペニシリン系抗生物質 <input type="checkbox"/> βラクタム系抗生物質
MF 利用 <input type="checkbox"/> 有 <input type="checkbox"/> 無し	<input type="checkbox"/> ヘパリン様物質 <input type="checkbox"/> ヒト由来物質 <input type="checkbox"/> 上記に該当なし（ ） <input type="checkbox"/> 無菌原薬 <input type="checkbox"/> 非無菌原薬
	<input type="checkbox"/> 日本薬局方収載品 <input type="checkbox"/> 食品添加物 <input type="checkbox"/> その他（ ）
製造方法（無菌製剤）	<input type="checkbox"/> 無菌操作法 <input type="checkbox"/> 最終滅菌法 <input type="checkbox"/> その他（ ）

GQP省令第7条に基づく取決め	<input type="checkbox"/> 有 (取決め日: 年 月 日) <input type="checkbox"/> なし (ドラフトを含む)
外部試験検査機関 (利用する場合に記載)  <input type="checkbox"/> 自社の他施設(グループ会社*を含む) <input type="checkbox"/> 外部	機関名
	住所 TEL: , FAX:
	<input type="checkbox"/> 原料試験 試験名:  <input type="checkbox"/> 工程内管理試験 試験名:  <input type="checkbox"/> 出荷試験 試験名:

\*グローバルな品質保証体制にある場合

医薬品製造所概要（国内製造所用）

平成 年 月 日現在

製造所名			
所在地			
許可番号			当初許可年月日
許可の期限			許可の区分

従業員数（パート社員等も含む）

全従業員数	人	製造部門	人	QC部門	人	QA部門	人
-------	---	------	---	------	---	------	---

製造管理者

氏名				職名			
電話				FAX			
E-mail							

製造品目数（海外向けがあれば（ ）で記載）

	原薬・中間体	製剤化工程	一次包装工程以降	二次包装工程以降・表示・保管のみ
製造品目数				
*上記品目のうち、下記物質に該当する場合の品目数を記載				
高生理活性物質				
ペニシリン系抗生物質				
βラクタム系抗生物質				

注) 1. 高生理活性物質とは、ある種のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等をいう  
 2. 原薬の小分けは、原薬・中間体の欄に記載

調査対象品目の状況

品目名	当該製造所での製造開始時期

施設情報①

製造所敷地面積	倉庫面積
製造施設面積	試験検査施設面積

施設情報②（使用している重要なコンピュータ化システム）

重要なコンピュータ化システムの名称	<input type="checkbox"/> ERP <input type="checkbox"/> MES <input type="checkbox"/> LIMS <input type="checkbox"/> DCS <input type="checkbox"/> その他（ ） <input type="checkbox"/> 使用なし
-------------------	---

過去5年間の行政機関からの査察の有無

行政機関名	時期	対象品目名	結果	実地か書面かの別

過去5年間の回収・GMP不適合の有無（有の場合は概要を記載）

--

別紙様式 3

Form 3

医薬品製造所概要 (外国製造所用)

Outline of Drug Manufacturing Site

(Foreign Manufacturing Site)

平成 年 月 日現在

As of MM/DD/YY

製造所名 Name of manufacturing Site			
所在地 Address			
国内連絡先 Contacts in Japan	業者名 Name of the company _____		
	担当者 Contact person _____		
	電話 Phone _____	FAX _____	
	E-mail _____		
認定番号 Accreditation No.	当初認定年月日 Date of initial accreditation		
認定の期限 Expiry date	認定の区分 Accreditation category		

従業員数 (パート社員等も含む) Numbers of employees (including part time employees)

全従業員数 Total	人	製造部門 Manufacturing department	人	QC 部門 QC	人	QA 部門 QA	人
----------------	---	-------------------------------------	---	-------------	---	-------------	---

製造所の責任者 Responsible person of the Site

(Qualified person in the EU, or head of quality unit in other countries)

氏名 Name				職名 Job title		
電話 Phone				FAX		
E-mail						

製造品目数（日本への輸出品目数は（ ）で記載）

Number of manufactured products (Number of products exported to Japan should be described in parenthesis)

	原薬・中間体 Manufacturing of APIs/Intermediates	製剤化工程 Manufacturing of drug Products	一次包装工程 以降 After primary packaging	二次包装工程 以降・表示・保管 のみ Secondary packaging・ Labeling・ Storage
製造品目数 Number of products				
高生理活性物質 High pharmacological - active substances				
ペニシリン系 抗生物質 Penicillin antibiotics				
βラクタム系 抗生物質 β-lactam antibiotics				

注) 1. 高生理活性物質とは、ある種のステロイド類、細胞毒性のように強い薬理作用又は毒性を有する物質等をいう  
2. 原薬の小分けは、原薬・中間体の欄に記載

Note) 1. High Pharmacological active substances (e.g. certain steroids or cytotoxic substances)

2. In cases of subdividing manufacture of APIs, please fill in the Manufacturing of API/Intermediate column.

調査対象品目の状況

Information of the products subject to the inspection

品目名（英語名も 併記のこと） Names of the products (Please specify English names as well)	当該製造所での 製造開始時期 Commercial manufacture started from (MM/YY)	当該製造所製造品の 欧米流通開始時期 Marketing in EU and US started from (MM/YY)	当該製造所製造品の 国内流通開始時期 Marketing in Japan started form (MM/YY)

施設情報 ①

Information of the manufacturing site I

製造所敷地面積 Area of the site	倉庫面積 Area of the warehouse
製造施設面積 Area of the manufacturing facilities	試験検査施設面積 Area of the testing laboratory

施設情報② (使用している重要なコンピュータ化システム)

Information of the manufacturing site II

(Overall function of major computer system adopted in the manufacturing site)

重要なコンピュータ化 システムの名称 Name of major computer system	<input type="checkbox"/> ERP <input type="checkbox"/> MES <input type="checkbox"/> LIMS <input type="checkbox"/> DCS <input type="checkbox"/> その他 Others (                      ) <input type="checkbox"/> 使用なし(N/A)
---	--

過去5年間の行政機関からの査察の有無

History of GMP inspections by regulatory authorities over the past 5 years.

行政機関名 Name of regulatory authorities	時期 Inspection date	対象品目名 Name of inspected products	結果 Inspection results	実地か書面かの別 Type of inspection (On-site/Desk-top)

過去5年間の回収、GMP不適合の有無 (有の場合は概要を記載)

History of product recall or GMP non-compliance over the past 5 years (Please specify details.)

--