

薬生薬審発 0907 第 1 号  
平成 30 年 9 月 7 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

#### 医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、その開発を促進するため、「日本再興戦略」改訂 2014（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）及び「先駆けパッケージ戦略」（平成 26 年 6 月 17 日厚生労働省取りまとめ）を受け、「先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 4 月 1 日付け薬食審査発 0401 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）、「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第二回）について」（平成 28 年 10 月 3 日付け薬生薬審発 1003 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）及び「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第三回）について」（平成 29 年 10 月 5 日付け薬生薬審初 1005 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）のとおり、平成 27 年度より、先駆け審査指定制度を試行的に実施しました。

本年度も、医薬品について、下記のとおり試行的に先駆け審査指定制度を実施することとしますので、貴管下関係業者に対して周知願います。

#### 記

##### 1. 制度の趣旨等

これまで、海外では承認されていても国内では承認されていない未承認薬・適応外薬を解消するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を通じて審査期間の短縮を図るとともに、学会等からの要望に基づき、医療上の必要性を評価した上で未承認薬・適応外薬の開発要請を通じてこれらの解消に努めてきた。

今般、この考えを更に推し進め、患者に世界で最先端の治療薬を最も早く提供することを目指し、先駆け審査指定制度（以下「本制度」という。）として、開発早期の段階から一定の要件を満たす画期的な新薬等（以下「対象品目」という。）を指定し、薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、申請者が承認審査のスケジュールに沿って法令上求められる製造体制を整備することや承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を促すものである。

この制度では、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、原則として既承認薬と異なる作用機序により、極めて高い有効性が期待される医薬品を指定することとする。また、本制度では、PMDA が審査パートナー（以下「コンシェルジュ」という。）を選任して、厚生労働省及び PMDA 関係各部との連携を強化すると

ともに定期的な進捗管理を通じて開発の迅速化を可能とし、先駆け総合評価相談により事前評価を充実し、かつ優先審査の対象にすること等で、審査期間を6ヶ月まで短縮することを目指す。

## 2. 指定の要件

指定を受ける医薬品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

### (1) 指定要件1：治療薬の画期性

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること、既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること、又は、革新的な薬物送達システムを用いていること

### (2) 指定要件2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

### (3) 指定要件3：対象疾患に係る極めて高い有効性

既承認薬が存在しない、若しくは既存の治療薬／治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、又は著しい安全性の向上が見込まれること

### (4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界に先駆けて日本で承認申請される（同時申請も含む）予定のものであり、承認申請できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの
- ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの

また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制（他社との連携体制を含む。）を有していること。なお、指定申請の際に、様式1の特記事項の欄にその旨記載すること。

## 3. 指定の手続

### (1) 対象品目への指定申請

対象品目への指定を希望する場合は、当該候補品目について、平成30年10月1日～11月30日の公募期間を設定するので、所定期間内に様式1（先駆け審査指定制度対象品目指定申請書）（別紙及び根拠資料を含む。）により厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課（以下「医薬品審査管理課」という。）に指定申請をすること。様式1は、紙媒体（正本1部、副本9部）及び電子媒体で郵送又は持参により提出すること。（平成30年11月30日必着）

郵送の場合

(2) ヒアリング

(1) により申請された各品目について、平成30年11月5日～平成31年1月18日までを目途に医薬品審査管理課においてヒアリングを実施する。ヒアリングは様式1及びその根拠資料に基づき実施する。ヒアリングで申請資料の修正等の指示があった場合には、その指示に応じること。

(3) 予備的審査

今回の試行では指定申請が多く行われる可能性があることから、先駆け審査指定に係る評価を適当な期間内に完了するために、PMDAの担当審査分野（新薬審査部を基本単位分野とする：以下「分野」という。）あたり過度に候補品目が多くなりすぎないようにするため、医薬品審査管理課で予備的審査を実施することがある。

(4) 評価と指定

予備的審査を実施した場合には通過した候補品目、予備的審査を実施しなかった場合には全候補品目に対して、申請資料をPMDAと共有し、PMDAの評価も踏まえた上で、特に優れていると判断されたものについて医薬品審査管理課で最終的な指定の可否の判断を行い、公表する。なお、これまでの指定品目も含め、特定の分野ごとの総指定数も考慮する。また、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に選定結果を報告する。

4. 指定された医薬品の優先的な取扱い及び留意事項

(1) 優先相談

PMDAで実施されている対面助言等で、他の医薬品に優先した取扱いを受けることができる。

(2) 事前評価の充実

PMDAで実施されている先駆け総合評価相談（以下「先駆け相談」という。）を受けることができる。ただし、申請から承認までの期間を6ヶ月以内に納めるためには、申請前からこれらの枠組みを積極的に活用する必要があることから、コンシェルジュに相談し、指定を受けた後から承認申請までに、原則、すべての相談区分で先駆け総合評価相談を利用すること。

- 特に、品質については、承認申請後速やかにGMP調査が実施可能となるように、積極的に先駆け相談や医薬品品質相談等の枠組みを活用する。また、実生産バリデーションデータの提出可能時期及びGMP調査の対応可能日の情報を承認申請時に準備すること。
- また、信頼性調査に関しても、積極的に、先駆け相談や医薬品GCP/GLP/GPSP相談等の枠組みを活用するとともに、承認申請後速やかに日程調整・実地調査が可能となるよう、早期の段階から信頼性調査に必要な情報等を準備すること。

(3) 優先審査

指定品目はその内容に鑑み、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器法」という。）第 14 条第 7 項の規定「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」に該当すると考えられるため、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

(4) コンシェルジュ

厚生労働省及び PMDA の連絡調整を行うことができる適当な者として、PMDA において指名される者が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、申請者及び承認審査関係部署との調整を行う。指定後 1 週間を目安に当該対象品目にかかるコンシェルジュを対象品目の先駆け審査指定を受けた者に連絡する。

(5) 再審査期間

医薬品医療機器法施行規則（昭和 36 年 2 月 1 日厚生省令第 1 号）第 57 条第 1 項に規定する「製造販売の承認のあつた日後 6 年を超える期間当該医薬品の副作用によるものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又はその使用によるものと疑われる感染症その他の使用の成績等に関する調査が必要であると認められる希少疾病用医薬品以外の医薬品」への該当性を判断し、個別に審査の過程で判断することとする。（最長 10 年）

なお、当該医薬品が希少疾病用医薬品に該当する場合には、既に再審査期間上限の 10 年が適用されているため、これを超えることはないことを予め申し添える。

5. 指定の取消し

指定の取り消しは 2. の指定の要件のいずれかに該当しないことが明確になった時点で、先駆け審査指定を受けた者が指定の要件を充足しない旨コンシェルジュを通じて医薬品審査管理課に報告する。医薬品審査管理課はその後速やかに薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

なお、医薬品審査管理課に指定要件を充足しない旨の報告がされた日をもって、4. に掲げる優先的な取扱いは停止することとし、薬事・食品衛生審議会薬事分科会への報告日をもって指定を取消すものとする。

6. その他

(1) 指定を受けた対象品目の開発に付随して、体外診断薬等の開発を合わせて検討する必要がある場合には、対象品目の開発・承認に遅延が生じないように、当該体外診断薬等についても必要な措置を講じることとするので、速やかにコンシェルジュに相談すること。

(2) 今後の運用等は、試行的実施の状況等を踏まえ、別途示すこととする。

## 先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

|                           |                          |  |
|---------------------------|--------------------------|--|
| 申請者名                      |                          |  |
| 承認番号※ <sup>1</sup>        |                          |  |
| 名称                        | 一般的名称※ <sup>2</sup>      |  |
|                           | 販売名※ <sup>3</sup>        |  |
| 成分及び分量又は本質                |                          |  |
| 予定される効能又は効果※ <sup>4</sup> |                          |  |
| 予定される用法及び用量※ <sup>5</sup> |                          |  |
| 作用機序又は薬理作用等※ <sup>6</sup> |                          |  |
| 指定要件への該当性※ <sup>7</sup>   |                          |  |
| 指定要件 1                    | 治療薬の画期性                  |  |
| 指定要件 2                    | 対象疾患の重篤性                 |  |
| 指定要件 3                    | 対象疾患に係る著明な有効性            |  |
| 指定要件 4                    | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 |  |
| ヒアリング希望日※ <sup>8</sup>    | 第 1 希望                   |  |
|                           | 第 2 希望                   |  |
|                           | 第 3 希望                   |  |
|                           | 第 4 希望                   |  |
|                           | 第 5 希望                   |  |
|                           | 第 6 希望                   |  |
| 担当者連絡先                    | 氏名                       |  |
|                           | 部署名                      |  |
|                           | 電話番号                     |  |
|                           | FAX 番号                   |  |
|                           | E-mail                   |  |
| 特記事項                      |                          |  |

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

平成 30 年〇月〇日

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

厚生労働大臣 殿

注：※<sup>1</sup>～※<sup>8</sup>までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※<sup>1</sup>：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※<sup>2</sup>：一般的名称が決まっていなかった場合には「開発成分記号等」を記載。

※<sup>3</sup>：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している効能又は効果を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している用法・用量を記載。複数の用量を検討中の場合には、主たる用法・用量と考えているものを記載し、その他の用法・用量も併記。

※<sup>6</sup>：作用機序又は薬理作用を記載。特に既存の治療薬との相違点が明確になるように類似していると思われる既存薬を網羅的に例示した上で、違いを記載。

※<sup>7</sup>：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※<sup>8</sup>：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。平成 31 年 1 月 18 日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医薬品審査管理課に相談すること。

(別紙)

## 先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

|        |                                                  |                                                                                                                                                                                                                      |
|--------|--------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 申請者名   |                                                  |                                                                                                                                                                                                                      |
| 名称     | 一般的名称※ <sup>1</sup>                              |                                                                                                                                                                                                                      |
|        | 販売名※ <sup>2</sup>                                |                                                                                                                                                                                                                      |
| 指定要件 1 | 治療薬の画期性<br>※ <sup>3</sup>                        | <input type="checkbox"/> 既承認薬と異なる作用機序であるもの<br><input type="checkbox"/> 既承認薬と作用機序は同一であるが開発対象とする疾患に適応するものは初めてであるもの<br><input type="checkbox"/> 革新的な薬物送達システムを用いているもの<br><input type="checkbox"/> その他 ( ) ※ <sup>4</sup> |
|        | (上記要件に該当すると判断した要旨)                               |                                                                                                                                                                                                                      |
| 指定要件 2 | 対象疾患の重篤性<br>※ <sup>3</sup>                       | <input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患<br><input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状況）が継続している疾患                                                                                                                 |
|        | (対象疾患の概要)                                        |                                                                                                                                                                                                                      |
| 指定要件 3 | 対象疾患に係る極めて高い有効性<br>※ <sup>3</sup>                | <input type="checkbox"/> 既承認薬が存在しない<br><input type="checkbox"/> 既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる                                                                                                                     |
|        | (対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する臨床試験成績等の要旨)                 |                                                                                                                                                                                                                      |
| 指定要件 4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制※ <sup>3</sup>           | <input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で（単独に）承認申請される予定<br><input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請（複数の国・地域を対象とする場合に限る）を行う対象として日本が含まれる予定<br><input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している                                            |
|        | 承認申請予定時期                                         |                                                                                                                                                                                                                      |
|        | (開発に関する進捗状況・予定の概況※ <sup>5</sup> ※ <sup>6</sup> ) |                                                                                                                                                                                                                      |

※<sup>1</sup>：一般的名称が決まっていない場合には「開発成分記号等」を記載。※<sup>2</sup>：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。※<sup>3</sup>：該当する□を塗りつぶすこと。※<sup>4</sup>：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること※<sup>5</sup>：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。※<sup>6</sup>：使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制及び開発の進捗状況等を含めて記載すること。