



事 務 連 絡  
平成 31 年 4 月 8 日

各都道府県衛生主管部（局） 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

医薬品に係る先駆け審査指定制度対象品目の指定について

本日付けで5品目の医薬品を先駆け審査指定制度対象品目として指定し、別添のとおりプレスリリースしましたのでお知らせいたします。また、厚生労働省のホームページにおいても対象品目の一覧を公表していますので、併せてお知らせいたします。

【掲載先（厚生労働省のホームページ）】

[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_04339.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_04339.html)

報道関係者 各位

平成 31 年 4 月 8 日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

課長 山本 史 (内線 2733)

課長補佐 荒木 康弘 (内線 2746)

(直通電話) 03(3595)2431

医療機器審査管理課

課長 中井 清人 (内線 2911)

審査調整官 渡利 彰浩 (内線 2787)

(直通電話) 03(3595)2419

(代表電話) 03(5253)1111

## 「先駆け審査指定制度」の対象品目を指定しました

～新たに 11 品目を指定。画期的な製品の日本における開発を促進～

厚生労働省は、昨年 11 月までに指定申請があった医薬品 40 品目、医療機器・体外診断用医薬品 15 品目、再生医療等製品 13 品目について評価を行い、本日付けで別紙の医薬品 5 品目、医療機器・体外診断用医薬品 4 品目、再生医療等製品 2 品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品、新医療機器の場合、12 か月を目標に承認審査を行っているところ、この制度の指定を受けた品目については、承認審査期間の目標が半分の 6 か月になります。

○別紙：指定品目

○参考資料 1：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

(平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審発 0907 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)

○参考資料 2：医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について

(平成 30 年 9 月 7 日付け薬生機審発 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知)

○参考資料 3：先駆け審査指定制度について

(平成 26 年度第 5 回 (平成 27 年 3 月 30 日開催) 薬事・食品衛生審議会薬事分科会資料)

## ＜医薬品＞

申請のあった 40 品目のうち、以下の 5 品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	Valemetostat (第一三共 (株))	再発又は難治性の 末梢性 T 細胞性リ ンパ腫	<p>① 本剤は、がんの悪性形質の維持等に重要な役割を果たすと考えられているヒストンメチル化酵素である enhancer of zeste homolog (以下、「EZH」) 1 と EZH2 の両者を同時に阻害することにより腫瘍増殖抑制作用を示すと考えられている。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である末梢性 T 細胞性リンパ腫は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき再発又は難治性の末梢性 T 細胞性リンパ腫患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第 II 相試験計画中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>
2	イキサゾミブク エン酸エステル (武田薬品工業 (株))	AL アミロイドーシ ス	<p>① 本剤はプロテアソーム阻害薬である。免疫グロブリン性アミロイドーシス (以下、「AL アミロイドーシス」) の効能・効果で承認されているプロテアソーム阻害薬はなく、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に該当する。</p> <p>② 対象疾患である AL アミロイドーシスは、異常形質細胞から産生される単クローン性免疫グロブリンに由来するアミロイドが臓器に蓄積する疾患。臓器の機能障害から臓器不全が引き起こされる重篤な疾患である。</p> <p>③ 国内外において、現時点で、AL アミロイドーシスの効能・効果で承認されている薬剤はない。本剤は海外臨床試験において、血液学的奏効例が認められている。</p> <p>④ 世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>
3	TAK-925 (武田薬品工業 (株))	ナルコレプシー	<p>① 本剤は、ナルコレプシーの病態形成において重要な役割を果たしていると考えられるオレキシン 2 受容体 (OX2R) の作動薬であり、新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患であるナルコレプシーは、日中に反復して起こる過度の眠気や、覚醒していても強い感情の動きをきっかけに誘発される情動脱力発作 (カタプレキシー) が主症状であり、それらの症状により社会生活が困難な状態が継続する疾患である。</p> <p>③ 非臨床試験及び臨床試験成績に基づき、既存の治療薬と比較して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国内にて第 I 相試験実施中。世界で初めて承認申請を行う対象と</p>

			して日本が含まれる予定。
4	ASP-1929 (楽天メディカル ジャパン (株))	頭頸部癌	<p>① 本剤は、上皮成長因子受容体 (EGFR) を標的とした抗体医薬品であるセツキシマブ (遺伝子組換え) と、レーザー装置 (PIT690) による非熱性赤色光 (690 nm) により活性化されて物理的に細胞膜を破壊する作用を有する色素である IR700 を結合させた抗体薬物複合体。本剤を用いた光免疫療法は、新規原理に基づく治療法。</p> <p>② 対象疾患である頭頸部癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 再発頭頸部扁平上皮癌患者を対象とした海外臨床試験において完全奏効例も認められ、高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅲ相試験実施中。世界に先駆けて日本で承認申請される予定。</p>
5	E7090 (エーザイ (株))	<i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	<p>① 線維芽細胞増殖因子受容体 (FGFR) 1、2 及び 3 に対する阻害作用を有する薬剤。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する胆道癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅱ相試験計画中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>

<医療機器>

申請のあった13品目のうち、以下の3品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	マイクロ波マンモグラフィ（仮称）（株式会社 Integral Geometry Science）	マイクロ波により乳がんと思われる組織を同定し、医師にその情報を提供する。	<p>① 本品は、乳房内に微弱なマイクロ波を送信し、脂肪とがん組織間の比誘電率差を観測することで乳がんを検出する医療機器であり、新規原理により乳がんを検出するものであることから画期性が高い。</p> <p>② 乳がんは、進行した場合には生命予後に重篤な影響を及ぼす疾患であるため、対象疾患の重篤性は高い。</p> <p>③ 乳がんの診断に用いられているX線マンモグラフィは、高濃度乳房において乳がん検出が困難であることが指摘されている。本品は、臨床研究により高濃度乳房での乳がん検出能が示唆されていることから、検出率の向上が期待できる。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予定である。</p>
2	下肢動脈バイパス用人工血管作製用鑄型（仮称）（バイオチューブ株式会社）	重症下肢虚血患者に対する、外科的な再建による膝下血行不全病態の改善及び自己血管再生による長期開存。	<p>① 本品は、患者の腹部皮下に「鑄型」として1, 2ヶ月間植え込むことで、バイパス術に利用できる患者自身の組織からなる管状移植体を得られる器具であり、画期性が高い。</p> <p>② 重症下肢虚血は、虚血性安静時疼痛、壊疽等を呈し、有効な血行再建ができなければ下肢の切断に至る病態である。</p> <p>③ 管状移植体は自己組織のため、免疫拒絶や毒性の懸念がない。また、世界最小径（0.6 mm）の管状移植体作製にも成功しており、透析患者への使用実績や非臨床試験結果から、対象患者に対して有効な治療法となり得ることが期待される。</p> <p>④ 多施設共同臨床試験を計画しており、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
3	リン酸化プルランバイオアドヒーズ（仮称）（BioARC 株式会社）	自家骨、同種骨（他家骨）、異種骨、人工骨あるいはこれらの混合物と混和して賦形性と接着性を向上させることにより、操作性と骨欠損部への留置性を高める。また、増量効果を有するこ	<p>① ゲル性状で適度の粘性を持ち自家骨等と混合しやすく、既存の顆粒状人工骨には無い機能（賦形性、接着性、短期吸収置換性など）を有していることから、唇顎口蓋裂治療において手術時の操作性及び患部への留置性を向上させる医療機器であり、新規性を有する。</p> <p>② 唇顎口蓋裂は、胎生期の組織欠損または癒合不全によって、口唇裂、口蓋裂および顎裂が生じる先天性疾患である。当該疾患は、摂食や発語における機能障害に加え、顔面の目立つ部位の疾患であるため、精神的苦痛にもつながる等、社会生活に影響を及ぼす疾患である。</p>

	とから、自家骨採取量を減らすことができる。	<p>③ 非臨床試験において、人工骨に本品を混合することによって、非混合の人工骨を超える高い骨造成効果が確認されている。また、自家骨採取量を減らし、小児への低侵襲性や術後管理の短期化にも寄与する。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請を行う予定である。</p>
--	-----------------------	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

<体外診断用医薬品>

申請のあった2品目のうち、以下の1品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	DNA チップによる膵臓・胆道癌検査キット MI-004(仮称)(東レ株式会社)	血清から抽出したRNA中のマイクロRNAの発現パターン解析(膵臓癌・胆道癌の診断の補助)	<p>① 血清中のマイクロRNAの発現量の組み合わせを数値化し、膵臓癌・胆道癌の診断フローに用いる検査システムは、世界的にも実用化された事例がなく、画期性が高い。</p> <p>② 膵臓癌は最新がん統計(2017年)において年間死亡数3.4万人、3年生存率15%と極めて予後が悪い癌であり、胆道癌もまた年間死亡数1.8万人に及ぶ難治性の癌である。</p> <p>③ 開発の過程において健康成人と膵臓癌・胆道癌患者を感度80%、特異度80%で鑑別するアルゴリズム及び閾値が得られている。また、初期の膵臓癌患者において、既存の腫瘍マーカーであるCA19-9と比較して感度が高いことが示唆されている。これらに加え、従前の腫瘍マーカー検査とは異なるプロファイルに基づくことも勘案すると、膵臓癌・胆道癌が疑われ精密検査が必要とされる患者の選択に寄与し、治療成績の向上に資することが期待できる。</p> <p>④ 国内で臨床性能試験を実施し、世界に先駆けて本邦において承認申請予定。</p>

＜再生医療等製品＞

申請のあった13品目のうち、以下の2品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	OBP-301 (テロメライシン) (オンコリスバイオファーマ(株))	切除不能、化学療法不耐容又は抵抗性の局所進行食道癌	<p>① 本品は、腫瘍溶解性アデノウイルスであり、正常細胞では増殖せず、癌細胞中で特異的に増殖し、直接細胞を破壊することで抗腫瘍効果を示す。新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>② 食道がんは、5年後生存率が低い癌種に分類される。標準治療(外科的切除・化学療法)が実施できず、放射線単独療法に限られる食道癌患者が対象であるが、放射線単独療法の治療効果は十分でない。</p> <p>③ 国内での2つの臨床研究・臨床試験(計17例)が実施されており、高い有効性を示唆する結果(本品の使用による食道局所完全奏効率70.6%)が得られた。</p> <p>④ 国内外で臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	SB623 (サンバイオ(株))	外傷性脳損傷(中等度～重症)における運動障害の改善	<p>① 本品は、ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞にヒトNotch-1の細胞内領域をコードする遺伝子を挿入したプラスミドベクターを導入した細胞である。神経前駆細胞の増殖・分化、細胞外マトリックスの産生、神経細胞の成熟・樹状分枝の促進、血管新生の促進等の作用を有すると考えられており、新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>② 外傷性脳損傷患者の運動機能は発症後1年以上経過すると改善が見込めなくなることが報告されており、リハビリテーションによる対症療法は存在するが、根治療法は存在しない。</p> <p>③ 国際共同臨床試験(計61例)が実施されており、移植6ヶ月後の時点において、プラセボ群と比較して有意に運動性能の改善が認められた。</p> <p>④ 2019年中に世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

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

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2  
厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課  
先駆け審査指定制度担当宛て

## (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：※1～※8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。

※1：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。

※2：一般的名称が決まっている場合には「開発成分記号等」を記載。

※3：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。

※4：申請時点で予定している効能又は効果を記載。

※5：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。

※6：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。

※7：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。

※8：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。

## 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 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 既承認薬と異なる作用機序であるもの <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 <input type="checkbox"/> 革新的な薬物送達システムを用いているもの <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 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <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 ※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 既承認薬が存在しない <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 <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 <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。

薬生機審発 0907 第 1 号  
平成 3 0 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・生活衛生局医療機器審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の  
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、「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 7 月 1 日付け薬食機参発 0701 第 1 号厚生労働省大臣官房参事官（医療機器・再生医療等製品審査管理担当）通知）、「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製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 日付け薬生機審発 1003 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）及び「医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製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 日付け薬生機審発 1005 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）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、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品について、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、国内で未承認又は適応外の医療機器及び体外診断用医薬品を解消するため、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医療機器等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医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品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医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品（以下「対象品目」という。）を指定し、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、原則として新規原理、新規作用機序等により、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、極めて高い有効性が期待される医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を指定することとする。

また、本制度では PMDA において指名される審査パートナー（以下「コンシェルジュ」という。）が、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、審査期間の短縮を目指す。

## 2. 指定の要件

指定を受ける医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

### (1) 指定要件1：治療法／診断法の画期性

原則として、医療機器にあつては新規原理（新医療機器等）、体外診断用医薬品にあつては新規原理／新規測定項目、再生医療等製品にあつては新規作用機序を有すること。

### (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

既存の治療法／診断法がない、若しくは、既存の治療法／診断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、非臨床試験の結果等により、有効性等が一定程度期待できる医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品であつて、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

## 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、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・生活衛生局医療機器審査管理課（以下「医療機器審査課」という。）に当該候補品目の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）  
なお、1 社で複数申請する場合は、まとめて提出すること。

#### 郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関 1-2-2  
厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課  
先駆け審査指定制度担当宛て

### (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 日までを目処に医療機器審査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、また、特定の分野で候補品目が過度に多くならないようにするため、医療機器審査課で予備的審査を行うことがある。

### (4) 候補品目の評価及び指定

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療機器審査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. 指定された医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製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、他の医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製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短縮させるために（例えば、医療機器では 6 か月以内）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、全ての相談区分で先駆け総合評価相談を利用すること。

例えば、品質管理や信頼性調査については、承認申請後速やかに日程調整・調査が実施可能となるように、早期の段階から当該調査に必要な情報等を準備することを含め、積極的に相談等の枠組みを活用することに意義があると考えられる。



### (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 23 条の 2 の 5 第 9 項及び第 23 条の 25 第 7 項に規定する「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係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. 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療機器審査課に報告する。医療機器審査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、医療機器審査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) 「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」（平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審発 0907 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）に基づき先駆け審査指定を受けた医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するコンパニオン診断薬等（体外診断用医薬品又は医療機器）については、当該指定を受けた医薬品の開発・承認に遅延が生じないように、2. の指定の要件及び 3. 指定の手續に関わらず、先駆け審査指定制度の指定を受けることがある。その場合、5. 指定の取消しについては、指定を受けた医薬品の取扱いに準ずることとする。

(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。

## 医療機器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>	
予定される使用目的又は効果※ <sup>4</sup>		
形状、構造及び原理		
予定される使用方法※ <sup>5</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>6</sup>		
指定要件 1	治療法の画期性	
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>7</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>7</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る場合には「新設」と記載。

※<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。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している使用目的又は効果を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している使用方法を記載。

※<sup>6</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>7</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 日までにはヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

## 医療機器の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	治療法の画期性※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(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※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <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※ <sup>4</sup> )	
指定要件 3	対象疾患に係る極めて高い有効性※ <sup>3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる※ <sup>5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
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 <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り)を行う対象として日本が含まれる予定 <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>6</sup> )	

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：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。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：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。

※6：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。

## 体外診断用医薬品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>	
予定される使用目的※ <sup>4</sup>		
形状、構造及び原理		
反応系に関与する成分		
予定される使用方法※ <sup>5</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>6</sup>		
指定要件 1	診断法の画期性	
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>7</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：※1～※7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。

※1：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。

※2：一般的名称が決まっている場合には「新設」と記載。

※3：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。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※4：申請時点で予定している使用目的を記載。

※5：申請時点で予定している使用方法を記載。

※6：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。

※7：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、医療機器審査管理課に相談すること。

## 体外診断用医薬品の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	診断法の画期性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> 新規測定項目を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(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 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <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 <sup>※4</sup> )	
指定要件3	対象疾患に係る極めて高い有効性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の診断法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の診断法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる <sup>※5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
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 <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 <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>※6</sup> )

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：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。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：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。

※6：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。

## 再生医療等製品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>	
予定される効能、効果又は性能※ <sup>4</sup>		
形状、構造、成分、分量又は本質		
予定される用法及び用量又は使用方法※ <sup>5</sup>		
作用機序等※ <sup>6</sup>		
指定要件への該当性※ <sup>7</sup>		
指定要件 1	治療法の画期性	
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 〒 法人にあっては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあっ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る場合には「治験識別記号等」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。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※<sup>4</sup>：申請時点で予定している効能、効果又は性能を記載。

※<sup>5</sup>：申請時点で予定している用法及び用量又は使用方法を記載。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>：作用機序を記載。特に既存の製品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もの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、医療機器審査管理課に相談すること。

## 再生医療等製品の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	治療法の画期性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 新規作用機序を有する <input type="checkbox"/> その他 ( )
	(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 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <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 <sup>※4</sup> )	
指定要件3	対象疾患に係る極めて高い有効性 <sup>※3</sup>	<input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる <sup>※5</sup>
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	
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 <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り)を行う対象として日本が含まれる予定 <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>※6</sup> )	

※1：一般的名称が決まっていない場合には「治験識別記号等」を記載。

※2：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。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：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。

※6：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。

## 第二 3つのアクションプラン

### 二. 戦略市場創造プラン

#### テーマ1: 国民の「健康寿命」の延伸

#### (3) 新たに講ずべき具体的施策

#### V) その他

②世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器等の実用化の推進(「先駆けパッケージ戦略」)

早期の治験段階で著明な有効性が見込まれるとして指定した医薬品等について、実用化までの承認審査期間の半減(12か月から6か月へ短縮)を目指す「先駆け審査指定制度」の創設など、各種施策をパッケージで推進することにより、世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患(希少がん、難病等重篤な疾患)等の革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、日本の早期実用化を目指す。

1



### 先駆けパッケージ戦略

～世界に先駆けて革新的医薬品・医療機器等の実用化を促進～

世界に先駆けて、有効な治療法がなく、命に関わる疾患等(希少がん、難病等重篤な疾患)に対し、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等を日本で早期に実用化すべく、基礎研究から臨床研究・治験、審査・安全対策、保険適用、国際展開までを一環として支援する戦略パッケージを推進。

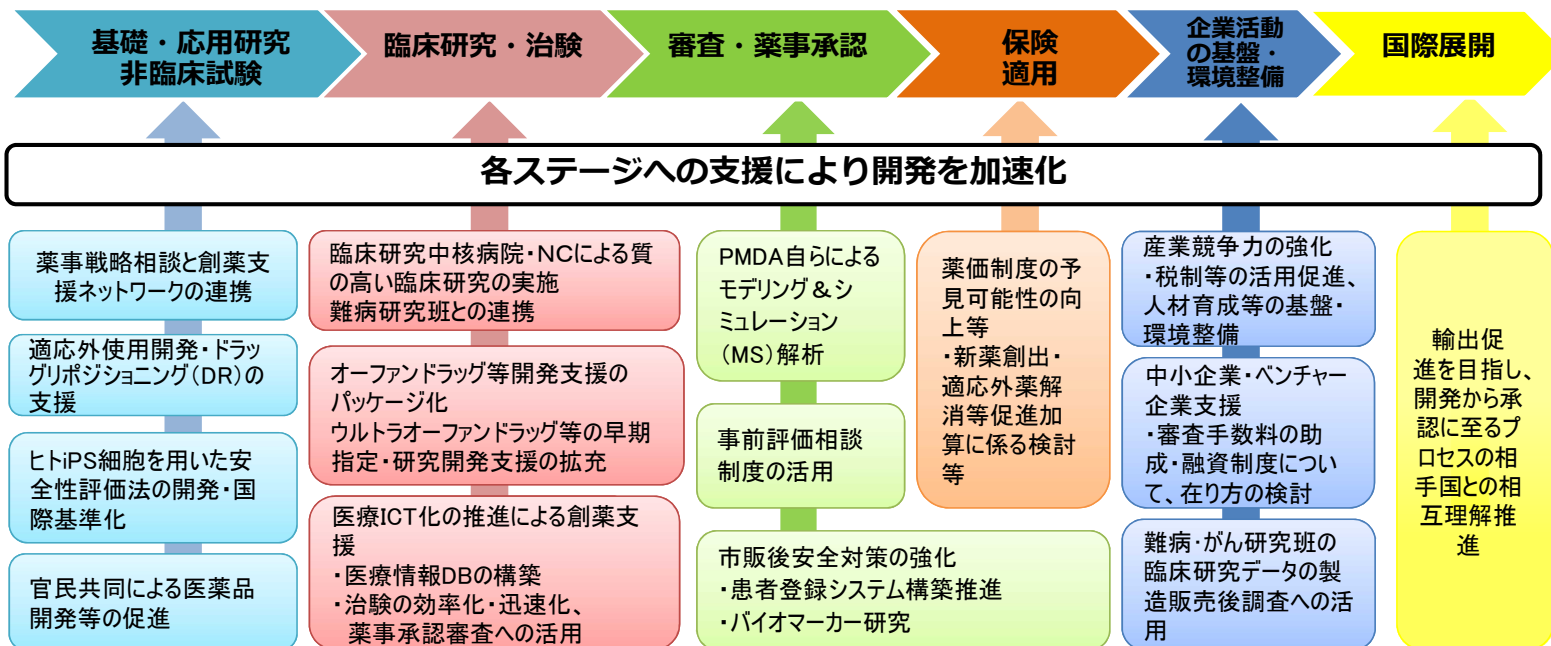
#### 重点施策Ⅰ

#### 先駆け審査指定制度

#### 重点施策Ⅱ

#### 未承認薬迅速実用化スキーム

(未承認薬等会議の対象範囲の拡大)



PMDAの体制強化(相談・審査・安全対策等の体制強化と質の向上)

レギュラトリーサイエンスの推進(最先端技術の評価手法の開発やガイドラインの作成等)

2



# 先駆け審査指定制度

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、日本での開発を促進する「先駆け審査指定制度」を創設する。

## 指定基準

○画期的な治療方法の一刻も早い実用化が求められている疾患等を対象とした医薬品等について、以下の2要件を基に指定

1. 世界に先駆けて開発され、日本に最初(世界同時申請も可)に申請が計画されること(開発初期からPMDAの相談を受けていることが望ましい)
2. 作用機序等の非臨床試験データ及び開発初期(第Ⅰ相から前期第Ⅱ相まで)の臨床試験データから、既存の治療法に比した大幅な改善等、対象疾患に係る著明な有効性が見込まれること

## 指定制度の内容

     : 承認取得までの期間の短縮に関するもの

     : その他開発促進に関する取組

### ①優先相談

〔 2か月 → 1か月 〕

○ 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

### ②事前評価の充実

〔 実質的な審査の前倒し 〕

○ 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

### ③優先審査

〔 12か月 → 6か月 〕

○ 総審査期間の目標を、6か月に。  
※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

### ④審査パートナー制度

〔 PMDA版コンシェルジュ 〕

○ 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

〔 再審査期間の延長 〕

○ 再審査期間の延長を含めた製造販売後の安全対策、海外への情報発信、学会との連携等の充実

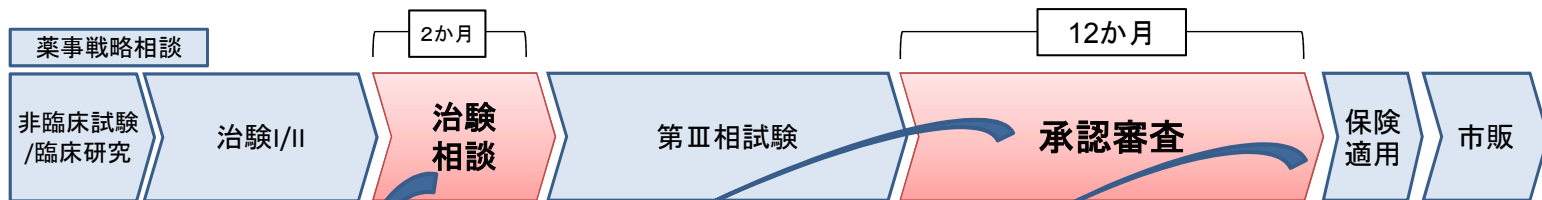
## 指定手続

1. 申請者が審査管理課に申請し、PMDAの評価を受け、60日以内に指定の可否を通知。
2. 審査管理課が申請者に指定の申請を打診し、申請があった場合、PMDAの評価を受け、30日以内に指定の可否を通知。

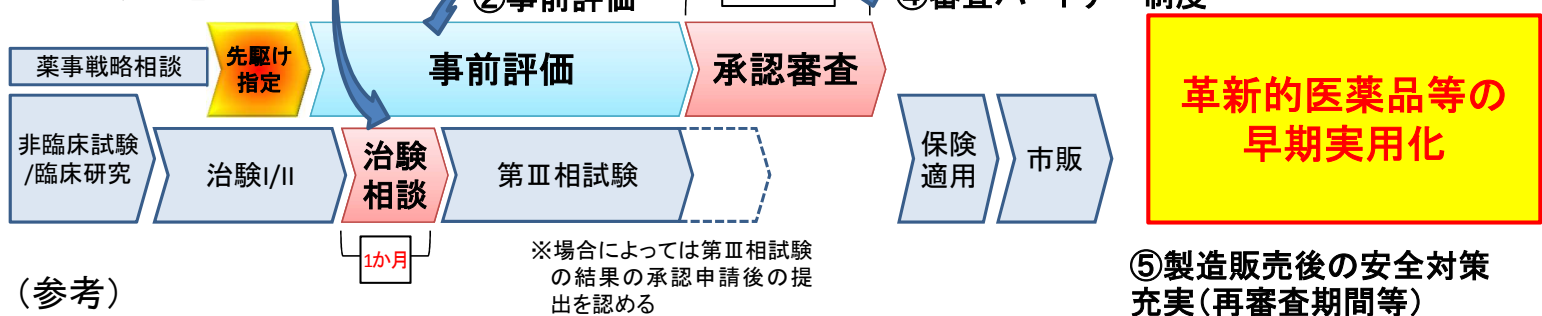
3

## 先駆け審査指定制度のイメージ

### 【通常の承認審査の場合】

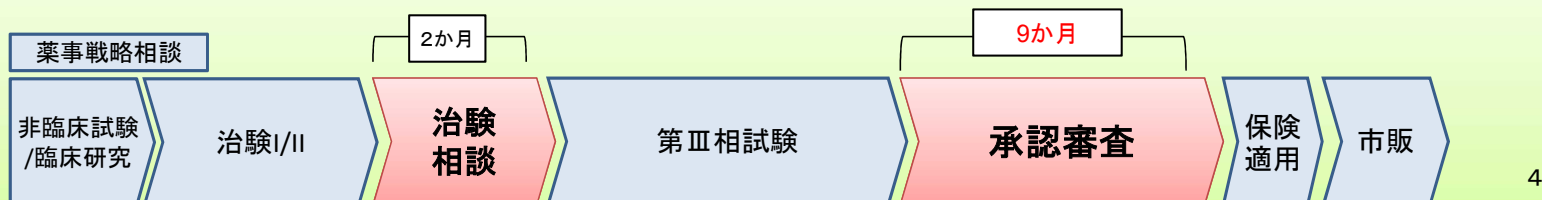


### 【先駆け指定を受ける場合】



(参考)

### 【優先審査の場合】



4

# 1. 指定基準

## ①治療方法の画期性について

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること（既承認と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患に適応するのは初めてであるもの、革新的な薬物送達システムを用いているものなどで、その結果、大幅な改善が見込まれるものも含む。）

## ②一刻も早い実用化が求められている疾患について

以下のいずれかの疾患に該当するもの

- ・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対象疾患に係る著明な有効性について

既承認薬が存在しない又は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こと（著しい安全性の向上が見込まれる場合も含む）

## ④世界に先駆けて日本で早期開発・申請されるものについて

日本における早期からの開発を重視し、世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のもの。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いずれか若しくは両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・FIH試験が日本で行われたもの、
- ・POC試験が日本で行われたもの

※指定段階で、世界で一番早く日本に申請を目指していることが確認できれば、他国の開発優遇制度との重複指定は問題ない。

5

# 2. 制度の内容

## ①優先相談 [ 2か月 → 1か月 ]

⇒優先対面助言として、搬入資料を用意した上で随時募集対応とすることで、事実上1ヶ月で実施する（資料搬入は4週間前）。

## ②事前評価の充実 [ 実質的な審査の前倒し ]

⇒半期に1回募集し、選択しているところ、先駆け審査指定を受けた品目は原則として、全て事前評価可能とする。

⇒精度の高い相談資料及び確定的な相談記録の要求は時間と負荷が増加するため、相談資料・相談結果記録をより簡便なものとする新たな相談枠を設定する。

## ③優先審査 [ 12か月 → 6か月 ]

⇒審査、GMP調査、信頼性調査のスケジュールを厳密に管理することで、総審査期間の目標を6か月に短縮する。

## ④審査パートナー制度 [ PMDA版コンシェルジュ ]

⇒専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定し、節目毎に進捗確認の面会、督促指示等を行い、必要な部署との連絡調整を行うことにより、円滑な開発を促進する。

## ⑤製造販売後の安全対策充実 [ 再審査期間の延長 ]

⇒法律の範囲内で合理的に設定（次ページ参照）。

6

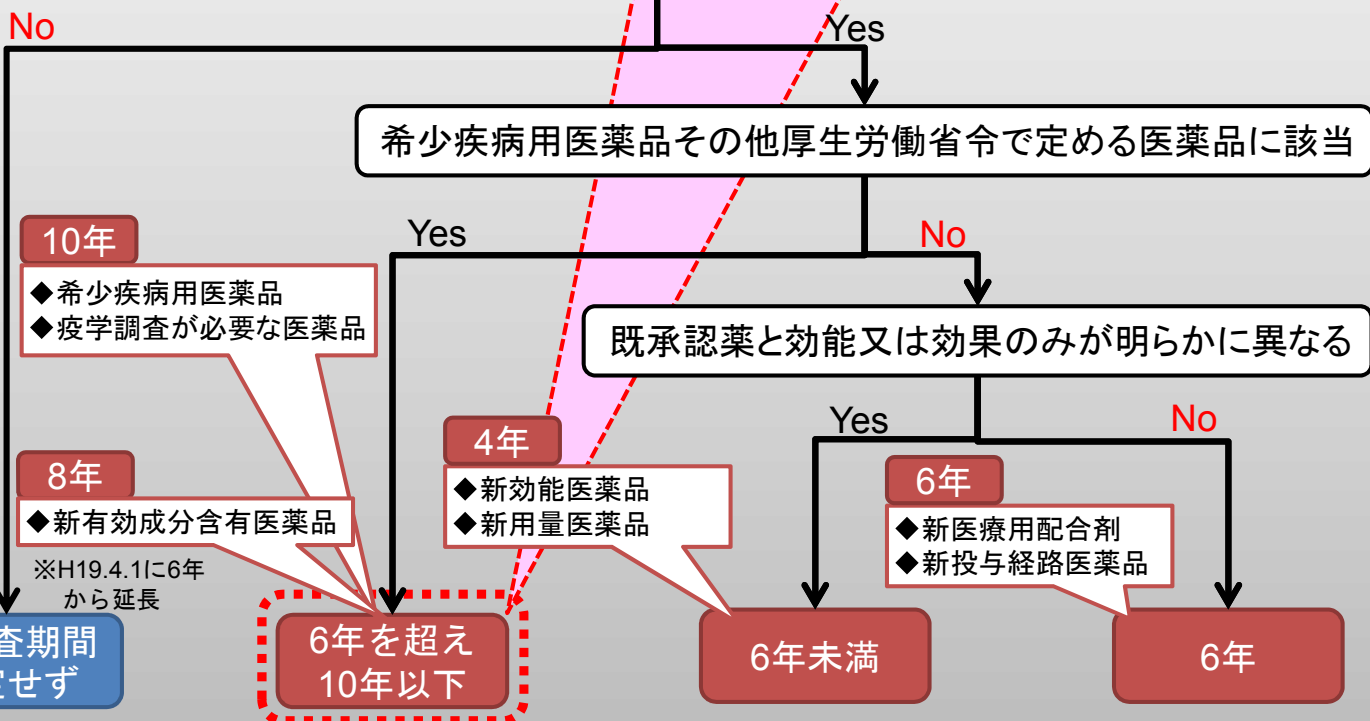
## 2. 制度の内容

### ～⑤製造販売後の安全対策充実～

#### 現状の再審査期間

「六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性」を評価して、6～10年で設定

既承認薬と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が、明らかに異なる



## 3. 指定手続き

### ステップ1：試行運用開始と公募

- ◆ PMDAの特定の審査部に案件が集中した場合、事務処理が滞り結果として有効なサービスの実現が困難となる恐れがあるため、初年度は試行として、事前評価相談と同様に公募形式から制度運用を開始する。
- ◆ 平成27年度始めに通知を発出し、1ヶ月程度の周知期間の後に、候補品目を公募する。

### ステップ2：候補品目に関するヒアリングと予備的選別

- ◆ 応募された候補品目に関するヒアリングを審査管理課にて実施し、指定基準に該当する可能性があるものを予備的に選別するとともに、評価用の資料の整備を行う。

### ステップ3：評価と順位付け

- ◆ PMDAの審査部別に応募案件を集計評価し、指定基準への適合性を確認し、適合した中でも優先順位をつける。特に優れていると判断されたものを選定する。

### ステップ4：指定と分科会報告

- ◆ 評価結果に基づいて、先駆け審査指定品目の指定するとともに公表。
- ◆ 指定結果について直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

※指定基準に該当しないことが明確になった場合には指定を取消し、直近の薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告。