希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化　1

■希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化の概要

＜基本的考え方＞

○アカデミアが主体となって進める開発の迅速化を図る
★採算性等から企業が手を出さない希少性の高いアンメットメディカルニーズを対象
★**特区内の医療法上の臨床研究中核病院**が主体的に行う研究開発に限定

＜具体的な内容＞

○開発初期段階から伴走支援、手厚い相談体制等を行う仕組みの構築
★審査パートナー制度（PMDAコンシェルジュの配置）
★事前評価の充実
★優先相談、優先審査　などといった支援

アカデミア版の
先駆け審査指定制度を創設

※臨床研究中核病院が主導する医師主導治験を先駆け指定することで、従来の先駆け審査指定制度との連携効果で、画期的な医薬品の開発をスピードアップ

希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化　２

■希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化を求める背景

○対象患者が多数存在する疾患に係る医薬品開発については、実用化に至れば開発費用の回収が十分見込めることから、企業参入が比較的に容易

○しかし、生命に重大な影響がある重篤な疾患や有効な治療法が確立されていない疾患であっても、対象患者が少ない希少性疾患の場合、採算性から企業が積極的に参画せず、開発が進まないケースが多い（※）

○一方、アカデミアにおいて、画期的な新薬につながるシーズが見つかっても、研究から非臨床試験、臨床研究や医師主導治験などの段階を経て、実用化の可能性を高めた上で、早期に企業への橋渡しを進めるには、開発初期段階からPMDAの手厚い相談体制を構築することが必要

⇒アカデミアが有するシーズを最大限に活かして、希少性疾患に苦しむ患者のもとに、少しでも早く画期的な新薬を届けることは、社会的要請

（※）　一般的に医薬品等の研究開発において、
- ・研究開発期間：長い（９～17年）
- ・研究開発費用：高額（数千億円）
- ・成功率　　　　：非常に低い（3万分の１以下）

⇒企業が関与する研究開発のシーズの絞込みが行われている

希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化　３

■対象とする領域【対象範囲】

○特区内の臨床研究中核病院が主体的に行う研究開発の中から厳選

<想定する要件>

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

（同じ作用機序でも有効性の大幅な改善が見込まれるものを含む）

②対象疾患の重篤性

・生命に重大な影響のある重篤な疾患

・根治療法がなく症状が継続している疾患

③対象疾患に係る極めて高い有効性

④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思

■支援の内容

①審査パートナー制度（ＰＭＤＡコンシェルジュを**PMDA関西支部**に配置）

②優先相談（２ヶ月→１ヶ月）

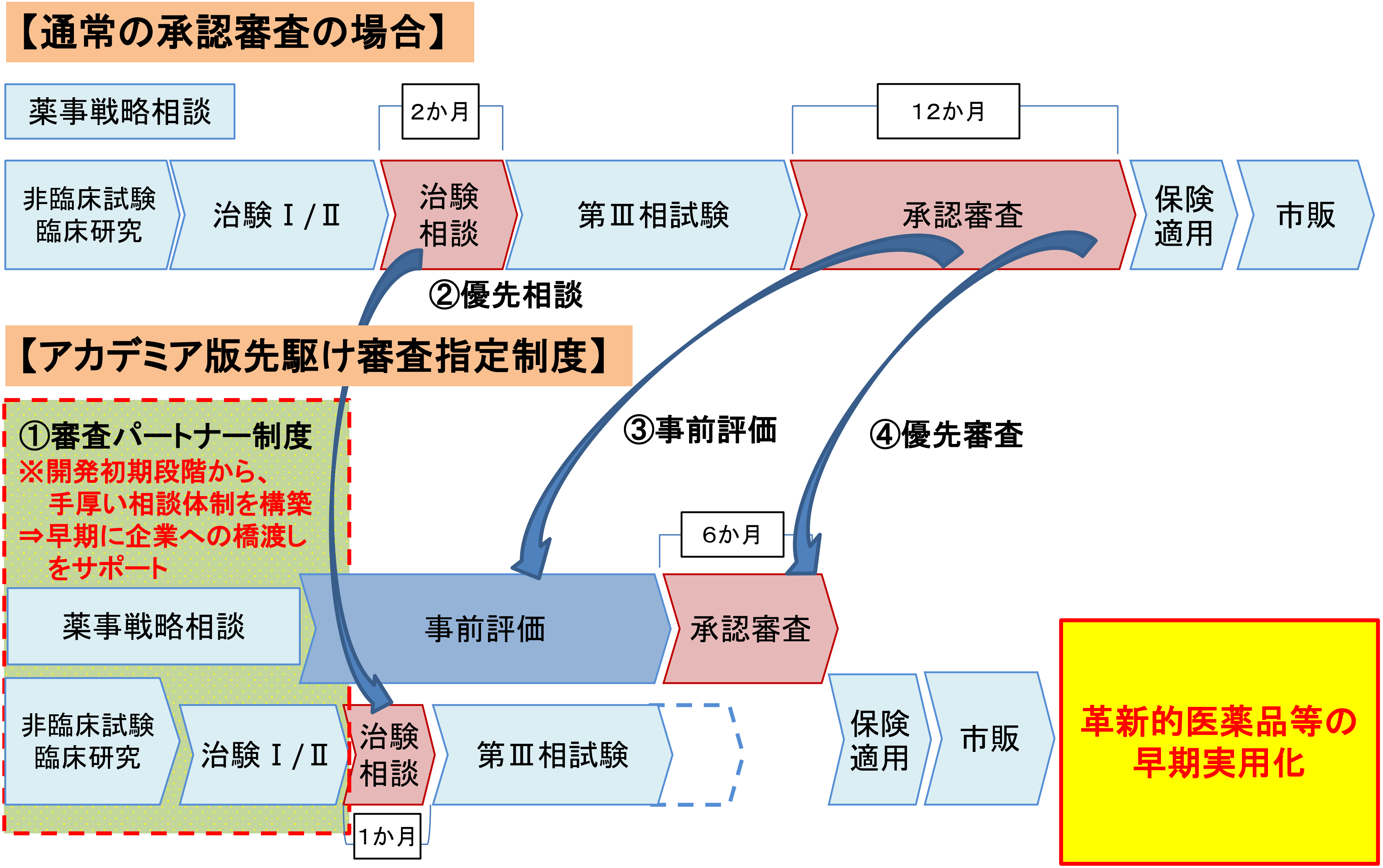
③事前評価の充実（実質的な審査の前倒し）

④優先審査（１２ヶ月→６ヶ月）

※②～④は従来の「先駆け審査指定制度」を活用

希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化　4

アカデミア版先駆け審査指定制度のイメージ



希少性疾患に係る画期的な医薬品の開発迅速化　5

〇特区内の臨床研究中核病院である大阪大学医学部附属病院が主体的に
開発に取り組んでいる医薬品の例
【スライド3の要件をもとに精査】

◆去勢抵抗性前立腺癌にHVJ-Eを用いた治療

◆膵がんに対する新しいワクチン療法の試み

◆新規修飾核酸によるパーキンソン病治療

◆炎症性腸疾患を対象にした経口核酸医薬による新規治療法

◆新規標的分子に対する抗体と人工核酸を用いた抗癌剤の開発

（参考）特区医療機器薬事戦略相談の活用状況

■平成26年11月に国家戦略特区区域計画認定後、直ちに厚生労働省との調整のうえ、本制度の活用をスタート

＜本制度の活用状況＞

【第1号案件】 経カテーテル的大動脈弁植込み術（TAVI）の透析患者適応拡大

・H28.2　特区医療機器薬事戦略相談の事前面談実施
・H28.5　対面助言を実施

⇒今年中に治験を実施予定

※今後、10以上の案件での活用を予定

＜本制度活用による効果＞

・第1号案件は、今年中に治験を実施予定であるが、PMDAに阪大担当の審査官を配置するなど、通常よりも重点的な相談・助言等により、**すでに現時点で約半年から9ヶ月間短縮**