

## 追加提案検討用調書

① 特区名	東京圏
② 提案事項	健康・未病産業、最先端医療産業、ロボット産業の創出

③ 制度の所管・関係府省庁	厚生労働省
---------------	-------

④ 区域計画素案に記載された「今後、追加に向け検討すべき規制改革事項等」	<p>超高齢社会に対応するための健康・未病産業の創出のため、個人の健康・医療情報の更なる活用を目的とした、医療に係る個人情報匿名化のための制度整備を早急に検討して結論を得る。</p> <p>また、最先端医療産業を創出するため、薬事承認にあたり、再生・細胞医療の早期実用化・産業化の促進に向けた包括承認制度の導入等や、日本発の医薬品、医療機器、再生医療の前倒し審査及び条件付き承認など日本版 Fast Track 制度の導入等について検討するとともに、第 I 相臨床試験専用病床に関する施設基準等の緩和を検討して結論を得る。</p> <p>さらに、ロボット市場・産業の創出のため、医療ロボットを活用した遠隔診療の範囲拡大等について検討して結論を得る。</p>
--------------------------------------	--

⑤ ④の提案に対する回答	<p>・日本版 Fast Track</p> <p>平成 26 年 6 月 17 日に、世界に先駆けて革新的医薬品等の実用化を促進する「先駆けパッケージ戦略」をとりまとめ、世界に先駆けた革新的な医薬品等の更なる迅速な実用化を目指す（先駆け審査指定制度）こととしている。</p> <p>具体的には、「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のうち、初期の臨床試験データから既存の治療法より大幅な改善が期待されるもの」については、相談・審査における優先的な取扱いの対象とすることで、更なる迅速な実用化を目指すこととしているところであり、このような施策を通じて、薬事承認の期間の短縮を図っていきたいと考えている。</p>
--------------	---

⑥ ⑤の回答及び WG ヒアリングを受けて、自治体からの提案	<p>○まず、貴省の検討案について、当方の提案との比較で何が反映できて何が反映できないか教示いただきたい。（当方が作成した、米国 Fast Track 制度と「先駆け審査指定制度」（平成 26 年 6 月の概要）及び日本版 Fast Track 制度の対比表を踏まえ確認いただきたい。）</p> <p>○貴省の検討案で反映できていない部分について、国家戦略特別区域計画に認定されたプロジェクトに限定し、国家戦略特区での先行実施を再度検討いただきたい。当方としては、下記 (A) (B) (C) (D) がポイントと考えています。</p>
--------------------------------	--

<(A)先駆け審査指定制度の柔軟な指定基準の設定>

- 基礎研究成果であっても、科学的な指標で有効性等が評価できる医薬品等については、指定対象としていただきたい。
  - 「既存薬と同程度の薬効であっても、画期的特徴により経済合理性が顕著に認められること」等、指定基準を幅広く設定していただきたい。
- ⇒経済合理性の観点からも、「革新的」と判断できるものは評価されるべきと考えます。

<(B)ローリングレビュー(薬事審査資料の分割提出・審査)の実施>

- 現行法では、全臨床試験結果を取りまとめて薬事承認申請するところ、指定された開発医薬品等については、前臨床データ等の審査を前倒しで行う仕組みを導入していただきたい。
- ⇒審査を前倒した分、確実に審査期間短縮の効果が見込める。
- PMDAの審査体制に影響することが懸念されるため、特区事業に対象を限定して先行実施。

<(C、D)早期・期限付き承認の実施の明文化>

- 先駆け審査指定された医薬品等は、早期・期限付き承認を実施することについて法令等に明記していただきたい。
  - 対象は、患者にとって開発ニーズが高い、がん、認知症、感染症など有効な治療が確立されていない疾患(アンメットメディカルニーズ)、希少疾患など、社会的課題となっている疾患等に限定。
  - なお、早期・期限付き承認された医薬品等については、再生医療製品のようにリスク設定し、使用可能な医療機関を限定。安全性を十分確保する体制のもと、第三相臨床試験に代わる安全性・有効性等に関する検証データを的確に収集する。
- ⇒安全性を担保しながら、早期・期限付き承認制度を導入することで、患者の保護と医薬品等開発環境の整備を両立。

<(E)審査パートナー制度等に関する特例措置>

- 先駆け審査指定制度で示されている審査パートナー制度については、国家戦略特区計画に認定された事業を対象に、随時相談可能な特別相談枠を設定するなど、一層積極的な薬事戦略相談を随時受けられるようにしていただきたい。
- ⇒特区事業について、特別相談枠を設定し、申込から相談実施までの期間を短縮することで、スムーズな臨床試験を実施。

⑦ ⑥の提案に対する回答

- 現在、詳細については検討中であるため、明確なお答えはしがたいが、現在検討中の運用案では以下の通りを想定している。
- 基本的に、米国のブレイクスルーセラピーと同様の運用を想定しているため、大筋同様であると認識している。
- なお、画期的な新薬の開発であるか否かは、開発が行われた場所に依存したものではなく、候補物質の潜在的な有効性に依存するものであるため、特定の地区で開発していることだけ

をもって優先的取扱いをすることは、かえって国民が待ち望んでいる新薬全体の承認を遅らせることにもつながりかねず、不適当なものとする。

#### <(A)先駆け審査指定制度の柔軟な指定基準の設定>

○基礎研究成果であっても指定対象とすることについて、

⇒既存薬と比べて著しい治療効果がもたらされることが科学的に強く推定される場合には、必ずしも臨床試験成績の提出を必須とする必要は無いと考えられるが、非臨床試験成績だけでは十分にその有用性が推定できないことが多いのが実情である(ご提案どおり、基礎的研究のみで指定対象となることは現状でも排除されていない)。このため、相当程度の臨床試験成績が求められるのが通常であり、米国のブレイクスルーセラピーとの差異という意味では、ブレイクスルーセラピーの指定においては臨床試験成績が必須とされていると承知している。

○経済合理性が顕著に認められることを指定基準とすることについて、

⇒開発中の医薬品が最終的に既存薬に比べて著しく安価で国内に供給されるかどうかは、開発段階から確認することは困難と考えているが、具体的にそのようなものが、存在するのであれば、今後、先駆け審査指定制度の見直しの段階で考慮していくことを検討したい。なお、米国のブレイクスルーセラピーとの差異という意味では、ブレイクスルーセラピーの指定においても経済的合理性は指定基準に含まれていないと承知している。

#### <(B)ローリングレビュー(薬事審査資料の分割提出・審査)の実施>

○審査を前倒しで行う仕組みの導入について、

⇒先駆け審査指定制度においては、総審査期間の目標値を通常の半分の6ヶ月とするため、申請データが揃い次第、その部分から内容の確認、すなわち事前評価を開始できるよう相談制度を活用して対応することにつき業界と協議して検討を進めているところ。

#### <(C、D)早期・期限付き承認の実施の明文化>

○早期・期限付き承認の実施について、

⇒第Ⅰ相や第Ⅱ相試験の成績では有効性が示唆されることはあっても、その有効性が検証されているものではなく、そのような医薬品であっても実際に第Ⅲ相試験において有効性が否定されることは少なくない。新薬の承認にあたっては一般に、有効性・安全性について確認される必要があり、いわゆる第Ⅲ相試験により有効性の検証を行わないまま、新薬を国民に使用させることは、他の有効な治療の機会の喪失や臨床現場を混乱させる恐れがある。先駆け審査指定される品目は、特に前例のない新規作用機序の医薬品であることが想定されていることから、一層、評価においては慎重に行うべきところ。有効性の推定での早期・期限付き承認は国民の健康を脅かす恐れがあることから困難と考えている。なお、米国のブレイクスルーセラピーとの差異という意味では、ブレイクスルーセラピーの指定においてもご提案のような承認はなされていないと承知している

○指定対象について、

⇒指定対象疾患は、提案の対象とほぼ同趣旨の「生命に重大な影響がある、あるいは治療法がない社会生活が困難な状態が継続する疾患」を想定している。米国のブレイクスルーセラピーとの差異という意味では、ブレイクスルーセラピーの指定対象とほぼ同じと承知している。

○医療機関を限定した使用成績により、第三相臨床試験の代替にすることについて、  
⇒患者数が少ないオーファンドラッグのようなケースについては、大規模な臨床試験において有効性を検証することはできないため、既に少数例での治験成績で承認し、市販後に全例調査を行うことにより安全を担保することとしているところである。一方で、患者数が十分にいる疾患についてまで承認前に有効性の検証を行わずに市販後に未検証のリスクを持ち越すことを一般化することは、国民の健康を脅かす恐れがあることから困難と考えている。

#### <(E) 審査パートナー制度等に関する特例措置>

○国家戦略特区計画に審査パートナーを適用することについて、  
⇒先駆け審査指定制度では、国民の医療への貢献が著しい画期的医薬品であると考えられるがために、貴重な医薬品の審査人員のリソースを割いて、効率的な開発を推進することとしているところ。特定の地域で開発中の医薬品であったとしても、先駆け審査指定制度の指定基準に該当すれば、指定が受け、審査パートナー制度を利用することができる。

なお、国家戦略特区計画に認定された事業を対象に類似の枠組みを設置することについては、内容も含めて今後検討する。