

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

先駆け審査指定制度の試行的実施について

先駆け審査指定制度については、「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）において、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、「既存の治療法より大幅な改善が期待されるものを指定し、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」こととしたところであるが、本日より、試行的運用として、まずは医薬品について下記の通り実施することとしたので貴管下関係業者に対して周知願いたい。

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ところである。

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、一定の要件を満たす画期的な新薬等について、開発の比較的早期の段階から先駆け審査指定制度の対象品目（以下「対象品目」という。）に指定し、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、承認審査のスケジュールに沿って申請者における製造体制の整備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図るものである。

この制度では、原則として既承認薬と異なる作用機序により、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薬品を指定することとする。また、本制度は 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。）を選任して、厚生労働省及び PMDA 内部の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、新たに整備される相談の枠組みを優先的に適用し、かつ優先審査を適用することにより、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、有効性の大幅な改善が見込まれるものも含む。）

(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) 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

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）予定のものであること。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。

- ・ 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

3. 指定の手続き

(1) 品目の公募（指定希望品目の登録申込み）

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、5月8日～5月29日の公募期間を設定するので、所定期間内に別紙1の様式により厚生労働省医薬食品局審査管理課（以下「審査管理課」という。）に登録の申込みをすること。

(2) ヒアリングと応募資料の様式確認

(1) により申込みが行われた登録申込品目について、6月15日～7月17日までの期間に審査管理課においてヒアリングを実施する。ヒアリングは別紙1（先駆け審査指定希望品目登録申込書）及びその根拠資料に基づき実施するので、これらの資料をヒアリングに先立ち6月5日までに審査管理課に3部提出すること。

品目によって開発の進度が異なることが想定されることから、ヒアリングにおいて、その後の先駆け審査指定に係る申請手続きの詳細な方法や提出資料の確認を行う。

(3) 予備的審査

今回の試行では多くの指定相談の申込みが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。）当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、審査管理課において明らかに指定基準に該当しないと判断される品目をふるいにかける、いわゆる「予備的審査」を行う。予備的審査を行った場合には、その結果について登録申込者に連絡することとし、予備的審査を行わない場合には全ての登録申込者にその旨を連絡することとする。

予備的審査を通過した候補品目及び予備的審査を実施しなかった旨の連絡を受けた登録申込者は、（2）により応募に必要な資料を確認した上で8月7日～8月21日に10部審査管理課宛に提出すること。

(4) 評価と指定

分野ごとに指定基準への該当性を確認した上で、特に優れていると判断されたものを選定する。選定結果については審査管理課より連絡を行うので、審査管理課から指示を受けた品目については、様式2（先駆け審査指定制度対象品目指定申請書）を提出すること。

審査管理課で指定申請書を受理した後、PMDA における事前評価を踏まえ、指定の可否について最終的な審査を行う。PMDA の事前評価の結果、選定された候補品目について指定を行い、その結果について薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告した上で公表する。

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

別途、PMDA から通知する優先的な相談の取扱いを受けることができる。

(2) 事前評価の充実

別途、PMDA から通知する新たに設置される先駆け総合評価相談（仮称）（以下「先駆け相談」という。）を受けることができる。なお、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、当該指定制度への応募に際しては、指定を受けた後に積極的に先駆け相談を利用するとともに、承認申請後速やかに審査が進むようにコンシェルジュに相談すること。

- 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。当該対象品目に係るコンシェルジュについては、指定後1週間を目安に対象品目の開発企業に対して、当該対象品目の審査を担当することが想定される新薬審査部より連絡する。

(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、指定の要件を充足しない旨コンシェルジュを通じて審査管理課及び先駆け審査指定を受けた者に報告することとし、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、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と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) 留意事項

今般の取扱は、治療用医薬品を対象としているが、当該対象品目の開発に付随して、体外診断薬等の開発が合わせて必要になる場合については、対象品目に指定された治療用医薬品の開発・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を検討することとする。

なお、当該対象品目が承認・薬価収載される段階で、未承認(保険非適用)の体外診断薬等が必要になることが想定されている場合には、指定申請の段階の際に、様式2の特記事項の欄にその旨記載し、指定後に想定されることがわかった場合には速やかにコンシェルジュに相談すること。

(2) 本制度の次年度以降の運用等については、本試行的実施の状況を踏まえ、別途示すこととする。

先駆け審査指定希望品目登録申込書

厚生労働省医薬食品局審査管理課 御中

下記の品目について、先駆け審査指定制度の指定希望品目の登録を申し込みます。

平成 27 年〇月〇日

記

申請者名		
承認番号※ ¹		
名称	一般的名称※ ²	
	販売名※ ³	
成分及び分量又は本質		
予定される効能又は効果※ ⁴		
予定される用法及び用量※ ⁵		
担当分野（事務局使用欄）		（申込者は記載しないでください）
作用機序又は薬理作用等※ ⁶		
指定要件への該当性※ ⁷		
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	対象疾患に係る極めて高い有効性	
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	
ヒアリング希望日※ ⁸	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	

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：申請時点で想定している効能又は効果を記載。

※⁵：申請時点で想定している用法・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：指定基準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。

(別紙)

先駆け審査指定制度の指定基準該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	治療薬の画期性※ ³	☐ 既承認薬と異なる作用機序であるもの ☐ 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 ☐ 革新的な薬物送達システムを用いているもの ☐ その他 () ※ ⁴
	(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※ ³	☐ 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※ ³	☐ 既承認薬が存在しない ☐ 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※ ³	☐ 世界に先駆けて日本で（単独に）承認申請される予定 ☐ 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
	承認申請予定時期	
	(開発に関する進捗状況・予定の概況)	

※¹：一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。※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。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。※³：該当する□を塗りつぶすこと。※⁴：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

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※ ¹		
名称	一般的名称※ ²	
	販売名※ ³	
成分及び分量又は本質		
予定される効能又は効果※ ⁴		
予定される用法及び用量※ ⁵		
作用機序又は薬理作用等※ ⁶		
指定基準への該当性※ ⁷		
指定基準 1	治療薬の画期性	
指定基準 2	対象疾患の重篤性	
指定基準 3	対象疾患に係る著明な有効性	
指定基準 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思	
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 27 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：※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ない場合には「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：指定基準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。

(別紙)

先駆け審査指定制度の指定基準該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	治療薬の画期性 ※ ³	☐ 既承認薬と異なる作用機序であるもの ☐ 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 ☐ 革新的な薬物送達システムを用いているもの ☐ その他 () ※ ⁴
	(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 ※ ³	☐ 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 ※ ³	☐ 既承認薬が存在しない ☐ 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※ ³	☐ 世界に先駆けて日本で（単独に）承認申請される予定 ☐ 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
	承認申請予定時期	
	(開発に関する進捗状況・予定の概況)	

※¹：一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。※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。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。※³：該当する□を塗りつぶすこと。※⁴：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