

報道関係者 各位

令和 6 年 7 月 1 日
(担当) 審査マネジメント部長 清原 宏真
(電話) 03 (3506) 9438

PMDA 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター における業務開始について

2024 年 7 月 1 日、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター（センター長：PMDA 理事 鈴木 洋史）」を設置するとともに、小児・希少疾病等の医薬品の薬事開発のための相談を新設し、相談環境を整備します。

PMDA は、これらの取組を通じて、小児・希少疾病等の医療上必要な医薬品の開発促進に貢献してまいります。

（相談枠の新設と相談手数料の補助）

今般、小児・希少疾病等の医療上必要な医薬品の開発・導入を促進する観点から、PMDA の既存の体制を強化するとともに、小児・希少疾病等の医薬品の薬事開発上必要な相談環境を整備するため、次の相談を開始します。

- 小児用医薬品開発計画確認相談
- 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談
- 医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品）
- 医薬品申請データパッケージ相談（医師主導治験による開発品）

また、「令和 6 年度小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」の一環として、これら相談の相談手数料の一部又は全部を国庫補助により助成します（※）。

こうした取組により、

- 小児用医薬品の開発計画の策定を企業等に促し、PMDA が確認する対応の促進
- 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における開発公募品の開発の加速化を図ります。

※ 詳細は、『「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要綱等について」の一部改正について』（令和 6 年 5 月 28 日付け薬機発第 1622 号）及び『令和 6 年度「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」に係る相談手数料の助成について（周知）』（令和 6 年 5 月 28 日付け薬機発第 1625 号）をご覧ください。

(参考資料)

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置の背景

近年、欧米で承認されているが日本では開発が行われていない医薬品に関する課題、いわゆる「ドラッグ・ロスの拡大」が指摘されています。この背景には、国際的な医薬品開発環境の変化も一因とされ、特に、市場規模の小さい小児・希少疾病等の医薬品ではその影響を受けやすい傾向にあります。このような環境変化に対応するため、PMDA は、第5期中期計画において、小児用医薬品の開発促進と希少疾病用医薬品指定の早期化に向けて適切に審査及び相談を実施することを定めたところです。また、令和5年度政府予算において、小児・希少疾病等の薬事開発を促進するための、新たな補助事業が措置されています。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの概要

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置（令和6年7月1日付）

➤ 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター※

※事務局：審査マネジメント部

| | | |
|--|--------------------------------------|---|
| 小児用医薬品 開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進 | 希少疾病用医薬品 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大 | 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品 開発の加速化 |
|--|--------------------------------------|---|

【相談体制の整備】

小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。