

医薬品医療機器総合機構が行う対面助言に対する
企業の現状認識に関するアンケート調査

結果報告書

2024年2月

日本製薬工業協会

薬事委員会 申請薬事部会

目次

はじめに.....	2
第1部『対面助言全般』.....	3
1-1. 相談区分毎の件数（2021年10月～2022年9月までの1年間）	3
1-2. 医薬品事前評価相談及び医薬品申請前相談に対する企業の考え方	9
1-3. 新たな相談枠の設置.....	14
1-4. 対面助言全般.....	16
第2部『個々事例』.....	25
2-1. 新医薬品に関する一般的な治験相談.....	25
2-2. 上記以外の相談.....	67
総括及び提言	71

はじめに

日本製薬工業協会(以下、『製薬協』という)では、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下、『機構』もしくは『PMDA』という)が行う対面助言に対する企業の現状認識に関するアンケート調査を定期的を実施し、アンケート結果から対面助言に対する企業の認識を分析した報告書を作成し、その報告書の中でPMDAへの要望事項をまとめ、対面助言の制度又は運用改善に向けて様々な提案をしてきた。アンケート調査は、薬事委員会の前身である薬事問題検討特別小委員会が2004年12月に、そして薬事委員会申請薬事部会第1グループが2006年以降2年毎に実施し、今回が10回目の調査となる。

アンケート調査は2023年1月20日から2023年2月16日の期間で製薬協薬事委員会に所属の64社に対し、選択式及び記述式のアンケートを依頼した。アンケートは2部構成となっており、各構成及び調査内容は以下のとおりである。

▶ 第1部『対面助言全般』

- ◇ 2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した対面助言のうち、医薬品、再生医療等製品に関する各種相談並びにRS 戦略相談(企業が行う医薬品、再生医療等製品に関する戦略相談)の相談区分毎の件数
- ◇ 医薬品事前評価相談及び医薬品申請前相談に対する企業の考え方
- ◇ 新たな相談枠の設置
- ◇ 対面助言全般

▶ 第2部『個々事例』

- ◇ 2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した対面助言の個々事例
 - ◇ 以下の新医薬品に関する一般的な治験相談区分
 - 1. 医薬品第Ⅰ相試験開始前相談
 - 2. 医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談
 - 3. 医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談
 - 4. 医薬品第Ⅱ相試験終了後相談
 - 5. 医薬品申請前相談
 - 6. 医薬品追加相談
 - 7. 医薬品安全性相談
 - 8. 医薬品品質相談
 - 9. 医薬品生物学的同等性試験等相談
 - ◇ 上記以外の相談

アンケートを依頼した64社中63社(98.4%)から回答があり、該当事例がなかった3社を除く60社から調査票を回収した。第1部の対面助言全般については60社から、第2部の個々事例については230件の事例を収集することができた。この度、アンケート結果の集計及び解析結果に基づき、薬事委員会申請薬事部会第1グループにて取りまとめを行い、さらなるPMDAへの要望をまとめたので報告する。

アンケート調査にご協力いただいた会員各企業に御礼を申し上げるとともに、本報告が今後の対面助言の制度又は運用改善の一助となり、日本の医薬品開発の発展に寄与することができれば幸いである。

第1部 『対面助言全般』

第1部では、2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した治験相談(対面助言)のうち、医薬品、再生医療等製品に関する各種相談並びに先駆け総合評価相談、RS戦略相談(企業が申込む医薬品、再生医療等製品に関する戦略相談)の相談区分毎の件数、医薬品事前評価相談及び医薬品申請前相談に対する企業の考え方、新たな相談枠の設置、対面助言全般について60社から回答を得た。

1-1. 相談区分毎の件数 (2021年10月～2022年9月までの1年間)

Q1: 医薬品、再生医療等製品に関する各種相談並びにRS戦略相談(企業が行う医薬品、再生医療等製品に関する戦略相談)の相談区分毎の件数

2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した対面助言のうち、下表に記載した医薬品、再生医療等製品に関する各種相談並びにRS戦略相談(企業が行う医薬品、再生医療等製品に関する戦略相談)の相談区分毎の総件数と、そのうち書面による相談の件数及び国際共同試験に係る相談の件数も合わせてご回答ください。相談区分によっては国際共同試験に関する相談は該当しないものも含まれるため、該当がない場合は空欄のまま構いません。なお書面による対面助言の場合は、対面助言日程調整依頼書提出後に日程調整された日で対象期間のご判断をお願い致します。

相談区分 ^{注)}	総件数	書面 実施件数	国際共同試験 に関する件数
医薬品			
医薬品手続相談	()	()	()
医薬品拡大治験開始前相談	()	()	()
...	()	()	()
...	()	()	()

注)調査対象とした相談区分

【医薬品】72区分

手続相談、拡大治験開始前相談、申請電子データ提出確認相談(記録あり/記録なし)、申請電子データ提出方法相談、申請電子データ提出免除相談(オフファン/オフファン以外)、生物学的同源性試験等相談、安全性相談、品質相談、第I相試験開始前相談(オフファン/オフファン以外)、前期第II相試験開始前相談(オフファン/オフファン以外)、後期第II相試験開始前相談(オフファン/オフファン以外)、第II相試験終了後相談(オフファン/オフファン以外)、申請前相談(オフファン/オフファン以外)、製造販売後臨床試験等計画相談、製造販売後臨床試験等終了時相談(申請資料の作成等)/承認条件の見直し等)、追加相談(オフファン/オフファン以外)、レジストリ使用計画相談、疫学調査手続相談、疫学調査計画相談、疫学調査追加相談、添付文書改訂事前確認相談、添付文書改訂相談、信頼性基準適合性調査相談、再審査適合性調査相談、添付文書改訂根拠資料適合性調査相談、レジストリ活用相談、レジストリ信頼性調査相談(承認申請)(オフファン/オフファン以外)/(追加相談)、レジストリ信頼性調査相談(再審査申請)/(追加相談)、データベース活用相談、データベース信頼性調査相談/追加相談(承認申請/再審査申請)/(オフファン/オフファン以外)、革新的製造技術相談(実地確認なし/実地確認2名まで/3名～4名)、事前評価相談(品質/非臨床:毒性/薬理/薬物動態/第I相試験/第II相試験/第II相・第III相試験)、優先審査品目該当性相談(/申請前相談あり)、条件付き早期承認品目該当性相談(/申請前相談あり)、ファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談/追加相談(適格性評価/試験計画要点確認)、PACMP品質相談、PACMPGMP相談、対面助言事後相談(記録あり)、パイプライン相談、GCP/GLP/GPSP相談、新型コロナウイルスワクチン戦略相談、BCSに基づくバイオウェーブに係る相談

【再生医療等製品】全46区分

手続相談、拡大治験開始前相談、開発前相談/(追加相談)、非臨床相談(効力/安全性)/(追加相談)、品質相談/(追加相談)、材料適格性相談、探索的試験開始前相談/(追加相談)、探索的試験終了後相談/(追加相談)、事前評価相談(安全性・品質・効力/探索的試験/検証的治験)、申請前相談/(追加相談)、レジストリ使用計画相談、条件及び期限付承認後臨床試験等計画相談(臨床試験計画あり/調査のみ)/(追加相談)、条件及び期限付承認後臨床試験等終了時相談(臨床試験計画あり/調査のみ)/(追加相談)、製造販売後臨床試験等計画相談(臨床試験計画あり/調査のみ)/(追加相談)、製造販売後臨床試験等終了時相談(臨床試験計画あり/調査のみ)/(追加相談)、信頼性基準適合性調査相談(GCTP含む)/(追加相談)、レジストリ活用相談、レジストリ信頼性調査相談(承認申請/再審査申請)/(追加相談)、事前面談(相談記録あり)、対面助言事後相談(相談記録あり)

【先駆け総合評価相談(医薬品・再生医療等製品)】全10区分

医薬品先駆け総合評価相談(品質/非臨床/臨床/信頼性/GMP)、再生医療等製品先駆け総合評価相談(品質/非臨床/臨床/信頼性/GCTP)

【RS戦略相談(企業が行う医薬品、再生医療等製品に関する戦略相談を対象とし、大学・研究機関、ベンチャー企業が行うものを除く)】全4区分

医薬品戦略相談, 再生医療等製品戦略相談, 再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談, 開発計画等戦略相談

本アンケート調査の調査票を回収した 60 社で, 2021 年 10 月～2022 年 9 月までの 1 年間に実施された対面助言について, 相談区分毎の件数と書面による対面助言実施件数, 国際共同治験に関する相談件数を集計し, 傾向の分析を行った. 下表に相談区分毎の件数を前回調査(2020 年度)の結果(調査対象期間:2019 年 10 月～2020 年 9 月)とともに示す.

相談区分		2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9			2020 年度調査 調査対象期間: 2019/10～2020/9		
		総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同
医薬品手続相談		4	3	0	12	10	0
医薬品拡大治験開始前相談		0	0	0	0	0	0
医薬品申請電子データ提出 確認相談	記録あり	0	0	0	38	28	6
	記録なし	—	—	—	33	9	0
医薬品申請電子データ提出方法相談		17	8	1	—	—	—
医薬品申請電子データ提出 免除相談	オフファン以外	4	3	0	1	1	0
	オフファン	2	2	0	5	2	0
医薬品生物学的同等性試験等相談		5	3	0	7	3	0
医薬品安全性相談		9	6	0	13	11	0
医薬品品質相談		13	8	1	17	9	1
医薬品第 I 相試験開始前 相談	オフファン以外	22	15	7	15	9	5
	オフファン	2	0	0	0	0	0
医薬品前期第 II 相試験開始 前相談	オフファン以外	4	2	0	8	7	3
	オフファン	1	0	0	0	0	0
医薬品後期第 II 相試験開始 前相談	オフファン以外	21	11	12	17	6	8
	オフファン	0	0	0	0	0	0
医薬品第 II 相試験終了後相 談	オフファン以外	94	37	61	90	27	45
	オフファン	4	1	2	1	1	0
医薬品申請前相談	オフファン以外	22	11	1	41	18	10
	オフファン	4	1	0	4	3	0
医薬品製造販売後臨床試験等計画相談		1	1	0	1	1	0
医薬品製造販売後臨床試験等終了時相談 (申請資料の作成等)		0	0	0	0	0	0
医薬品製造販売後臨床試験等終了時相談 (承認条件の見直し等)		0	0	0	1	1	0
医薬品追加相談	オフファン以外	28	16	10	31	18	4
	オフファン	1	0	1	0	0	0
医薬品レジストリ使用計画相談		2	1	0	0	0	0
医薬品疫学調査手続相談		0	0	0	0	0	0
医薬品疫学調査計画相談		4	1	0	1	0	0
医薬品疫学調査追加相談		5	1	0	0	0	0

相談区分	2022年度調査 調査対象期間: 2021/10~2022/9			2020年度調査 調査対象期間: 2019/10~2020/9		
	総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同
医薬品添付文書改訂事前確認相談	13	5	1	6	3	0
医薬品添付文書改訂相談	10	8	1	5	5	0
医薬品信頼性基準適合性調査相談	2	1	1	1	0	0
医薬品再審査適合性調査相談	0	0	0	0	0	0
医薬品添付文書改訂根拠資料適合性調査相談	5	1	0	1	0	0
医薬品レジストリ活用相談	0	0	0	0	0	0
医薬品レジストリ信頼性調査 相談(承認申請)	オーファン以外	1	0	0	0	0
	オーファン	0	0	0	0	0
医薬品レジストリ信頼性調査 相談(承認申請)(追加相談)	オーファン以外	0	0	0	0	0
	オーファン	0	0	0	0	0
医薬品レジストリ信頼性調査相談(再審査申請)	1	0	0	0	0	0
医薬品レジストリ信頼性調査相談(再審査申請) (追加相談)	0	0	0	0	0	0
医薬品データベース活用相談	0	0	0	0	0	0
医薬品データベース信頼性調 査相談(承認申請)	オーファン以外	0	0	0	—	—
	オーファン	0	0	0	—	—
医薬品データベース信頼性調査相談 (再審査申請)	0	0	0	—	—	—
医薬品データベース信頼性調 査追加相談(承認申請)	オーファン以外	0	0	0	—	—
	オーファン	0	0	0	—	—
医薬品データベース信頼性調査追加相談 (再審査申請)	0	0	0	—	—	—
医薬品革新的製造技術相談(実地確認なし)	0	0	0	0	0	0
医薬品革新的製造技術相談(実地確認2名まで)	0	0	0	0	0	0
医薬品革新的製造技術相談(実地確認3名~4名)	1	1	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(品質)	2	1	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(非臨床:毒性)	4	2	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(非臨床:薬理)	4	2	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(非臨床:薬物動態)	2	1	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(第I相試験)	2	1	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(第II相試験)	2	1	0	0	0	0
医薬品事前評価相談(第II相/第III相試験)	2	1	0	0	0	0
医薬品優先審査品目該当性相談	0	0	0	0	0	0
医薬品優先審査品目該当性相談 (医薬品申請前相談あり)	2	0	0	0	0	0
医薬品条件付き早期承認品目該当性相談	0	0	0	0	0	0
医薬品条件付き早期承認品目該当性相談 (医薬品申請前相談あり)	0	0	0	1	1	1
ファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談 (適格性評価)	0	0	0	0	0	0
ファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談 (試験計画要点確認)	0	0	0	0	0	0

相談区分	2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10~2022/9			2020 年度調査 調査対象期間: 2019/10~2020/9			
	総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同	
ファーマコゲノミクス・バイオマーカー追加相談 (適格性評価)	0	0	0	0	0	0	
ファーマコゲノミクス・バイオマーカー追加相談 (試験計画要点確認)	0	0	0	0	0	0	
医薬品 PACMP 品質相談	0	0	0	0	0	0	
PACMP GMP 相談	0	0	0	0	0	0	
対面助言事後相談	記録あり	7	5	2	13	5	2
	記録なし	—	—	—	—	—	—
新医薬品パイプライン相談	4	0	1	1	0	0	
医薬品 GCP/GLP/GPSP 相談	0	0	0	0	0	0	
新型コロナウイルスワクチン戦略相談	119	2	6	—	—	—	
医薬品の BCS に基づくバイオウェーバーに係る 相談	0	0	0	—	—	—	
合計	452	163	108	367	178	85	

—:相談枠なし,あるいは調査対象外

傾向・考察

- ◇ 2022 年度調査の総件数は 452 件であり, 前回調査の 367 件から 85 件増加した(前々回 303 件). その主な増加は, 新型コロナウイルスワクチン戦略相談(8 品目 119 件)によるものであった. なお, 新型コロナウイルスワクチン戦略相談は, 新型コロナウイルスワクチンを早期に臨床試験に移行するために必要な開発戦略に関する助言を行うものとして 2020 年 10 月に新設されたが, 2023 年 5 月に廃止されている.
- ◇ 新型コロナウイルスワクチン戦略相談が最も多く実施されていたが, これを除けば, 第 II 相試験終了後相談が前回調査時も含めこれまでと同様に最も多かった.
- ◇ 事前評価相談について, 前回調査では実施した会社はなかったが, 2022 年度調査では 4 社(計 18 件)で実施されていた.
- ◇ オープン枠の活用状況については, 全体の 4%(16 件)であり, 開発前期では 3 件のみであった.
- ◇ 国際共同治験に関する相談件数は 108 件であり, 前回調査 85 件より増加していた. 第 II 相試験終了後相談において, 総件数に対する国際共同試験に関連した相談件数の割合は, 2022 年度調査で 64%(63 件/98 件)であり, 前回調査 49%(45 件/91 件)に比べて増加していた.
- ◇ 電子データ提出確認相談は, 前回の調査以降, 相談実施の取り扱いに変更があり, また医薬品申請電子データ提出方法相談枠が設置されているため, 実施件数に減少がみられた.
- ◇ レジストリやデータベースに関する相談枠は全部で 14 区分が設けられているものの, その実施は 2 件であり, 活用されていない相談枠も目立った.

再生医療等製品

再生医療等製品に関する相談の総件数は12件であった。参考として前回調査(2020年度)の結果(調査対象期間:2019年10月～2020年9月)を示す。実施件数は、前回調査から減少していた。

相談区分	2022年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9			2020年度調査 調査対象期間: 2019/10～2020/9		
	総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同
再生医療等製品 非臨床相談(安全性)	0(1)	0(1)	0(0)	1	0	0
再生医療等製品 品質相談	1	1	0	3(4)	2(4)	0(0)
再生医療等製品 探索的試験開始前相談	3(1)	1(0)	2(0)	4	1	0
再生医療等製品 探索的試験終了後相談	2(1)	2(1)	1(0)	7	3	4
再生医療等製品 申請前相談	3	2	0	2	2	2
再生医療等製品 事前面談(相談記録あり)	0	0	0	2	0	1
合計	12	8	3	23	12	7

():「追加相談」区分

先駆け総合評価相談

先駆け総合評価相談は、医薬品、再生医療等製品とも、調査期間中の実施はなかった。

参考として前回調査(2020年度)の結果(調査対象期間:2019年10月～2020年9月)を示す。前回調査では合計100件を超える相談が実施されていた。前々回調査(2018年度)では、合計10件であった。これらの相談は、先駆的医薬品等指定制度及び先駆け審査指定制度の対象品目の品目数や申請時期に依存するため、年度毎で増減が起り得る。

相談区分	2022年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9			2020年度調査 調査対象期間: 2019/10～2020/9		
	総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同
医薬品先駆け総合評価相談(品質)	0	0	0	11	2	0
医薬品先駆け総合評価相談(非臨床)	0	0	0	10	1	0
医薬品先駆け総合評価相談(臨床)	0	0	0	10	1	0
医薬品先駆け総合評価相談(信頼性)	0	0	0	10	1	0
医薬品先駆け総合評価相談(GMP)	0	0	0	10	1	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(品質)	0	0	0	10	1	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(非臨床)	0	0	0	11	2	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(臨床)	0	0	0	11	2	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(信頼性)	0	0	0	9	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(GCTP)	0	0	0	10	1	0
合計	0	0	0	102	12	0

RS 戦略相談

RS 戦略相談の総件数は5件であった。参考として前回調査(2020年度)の結果(調査対象期間:2019年10月～2020年9月)を示す。実施件数は、前回調査に比べて大幅な減少がみられたものの、前々回調査(2018年度)では15件であり、前回調査の総件数が多かった可能性も考えられる。

相談区分	2022年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9			2020年度調査 調査対象期間: 2019/10～2020/9		
	総件数	書面	国際共同	総件数	書面	国際共同
医薬品戦略相談	0	0	0	17	3	1
再生医療等製品戦略相談	0	0	0	9	0	0
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談	5	3	0	10	1	0
開発計画等戦略相談	0	0	0	9	0	0
合計	5	3	0	45	4	1

1-2. 医薬品事前評価相談及び医薬品申請前相談に対する企業の考え方

Q2: 医薬品事前評価相談に対するメリット

2021年10月～2022年9月に実施した医薬品事前評価相談について、メリットはありましたか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし 3. 実施していないためわからない

「1. あり」を選択された方

背景も含め、具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。また、過去の事前評価相談と比べて変化があればその内容や印象などを記載ください。

前回調査では実施した会社はなかったが、2022年度調査では4社(計18件)で実施されていた。実施した4社すべて「メリットあり」と回答していた。

メリットありとする具体的な内容

- ◇ 申請前に審査上の懸念点を把握でき、CTDや添付文書作成の論点整理となった
通常の申請準備より前にCTDや添付文書案を準備するため、結果として申請直前の作業は短期間で終了でき、申請直前の作業効率化にも寄与した
- ◇ 非臨床パートは申請前に審査がほぼ完了。実質、承認審査期間の短縮に繋がった
- ◇ 承認申請に先立ち課題が事前に特定され、審査の効率化につながった
- ◇ 承認申請後の審査の加速

Q3: 医薬品事前評価相談に対する問題点, 意見要望

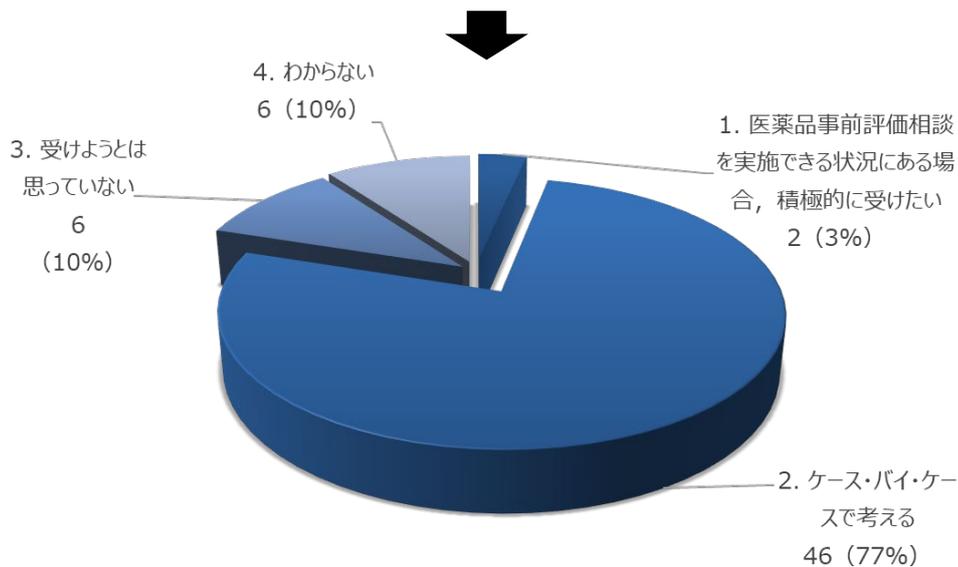
貴社の医薬品事前評価相談の実施に対する考え方についてお聞きます。

Q3-1: 医薬品事前評価相談に対する, 貴社の現在の考え方をご回答ください(プルダウン選択)。

1. 医薬品事前評価相談を実施できる状況にある場合, 積極的に受けたい
2. ケース・バイ・ケースで考える →Q3-2 へ
3. 受けようとは思っていない →Q3-2 へ
4. わからない →Q3-2 へ

「2. ケース・バイ・ケースで考える」が 46 社 (76.7%), 「3. 受けようとは思っていない」及び「4. わからない」がそれぞれ 6 社 (10.0%) であり, この傾向は前回調査 (2020 年度調査) と同様であった。

考え方	2022 年度調査		前回調査 (2020 年度調査)	
	企業数	(%)	企業数	(%)
1. 積極的に受ける	2	(3.3)	2	(3.2)
2. ケース・バイ・ケースで考える	46	(76.7)	40	(64.5)
3. 受けようとは思っていない	6	(10.0)	11	(17.7)
4. わからない	6	(10.0)	9	(14.5)
合計	60	(100.0)	62	(100.0)



Q3:医薬品事前評価相談に対する問題点, 意見要望

貴社の医薬品事前評価相談の実施に対する考え方についてお聞きます。

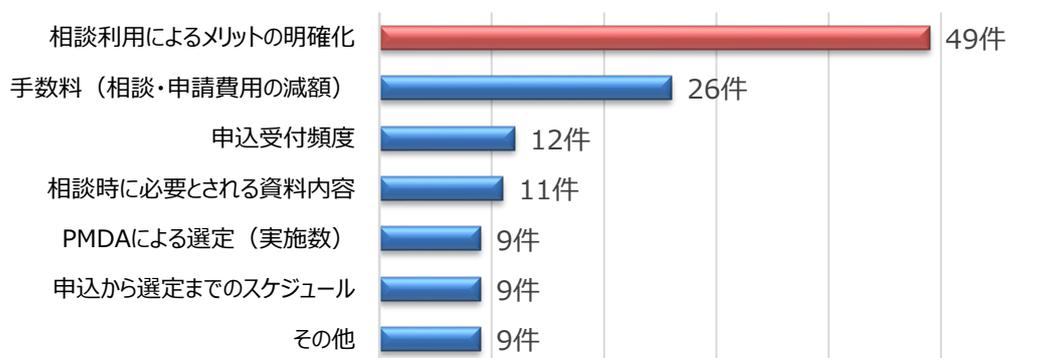
Q3-2:Q3-1 で「1. 医薬品事前評価相談を実施できる状況にある場合, 積極的に受けたい」以外を選択された方

何が改善されれば, 医薬品事前評価相談を積極的に受けようと思いますか(プルダウン選択, 複数選択可).

1. 申込受付頻度
2. PMDA による選定 (実施数)
3. 申込から選定までのスケジュール
4. 相談利用によるメリットの明確化 →Q3-3 へ
5. 手数料 (相談・申請費用の減額)
6. 相談時に必要とされる資料内容 (例: Top line result [速報結果等]の提出のみで受付可能など)
(自由記載)
7. その他 (自由記載)

「6. 相談時に必要とされる資料内容」, 「7.その他」を選択された方
具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

「4. 相談利用によるメリットの明確化」との回答が 49 件で最も多かった。「5. 手数料 (相談・申請費用の減額)」は 26 件であった。



「6. 相談時に必要とされる資料内容」や「7. その他」の自由記載における主な意見

- ◇ 相談時に提出した資料は提出の必要がない(更新がある部分のみ提出), 照会事項回答も回答済の内容を再度発出して同じ回答を提出するといったプロセスをなくす, 相談時に該当部分の審査報告書のドラフトまで合意する
- ◇ 相談を持つための手順の簡略化・容易さ(申込期間, 相談実施時期の縛りの解除)
- ◇ rolling submission を可能とし, 申請前までに相談を完了させる必要がない(例えば評価報告書作成前でも申請可能)
- ◇ 共通資料(CTD2.5 及び添付文書案)の提出を任意とする
- ◇ TLR で相談を受けられる等, 品目の状況に合わせた最小限のデータや資料で相談を可能とする。

Q3:医薬品事前評価相談に対する問題点, 意見要望

貴社の医薬品事前評価相談の実施に対する考え方についてお聞きます。

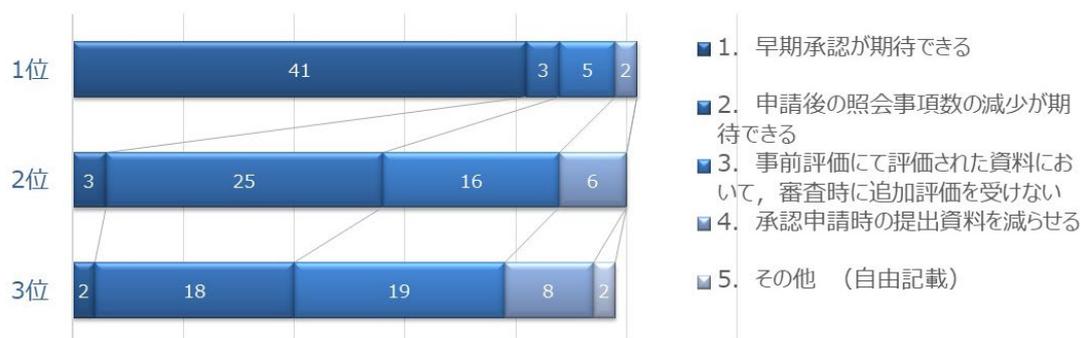
Q3-3:Q3-2 で「4. 相談利用によるメリットの明確化」を選択された方
 具体的にどのようなメリットを希望しますか。優先する順に1~3位を選択ください。

1. 早期承認が期待できる
2. 申請後の照会事項数の減少が期待できる
3. 事前評価にて評価された資料において, 審査時に追加評価を受けない
4. 承認申請時の提出資料を減らせる
5. その他 (自由記載)

希望するメリットの優先順位 1位としては「1. 早期承認が期待できる」が41件で最も多かった。

1位から3位の合計を見た際, 「1. 早期承認が期待できる」及び「2. 申請後の照会事項数の減少が期待できる」との回答が46件, 「3. 事前評価にて評価された資料において, 審査時に追加評価を受けない」が40件であった。

希望するメリット	1位	2位	3位	合計
1. 早期承認	41	3	2	46
2. 申請後の照会事項数の減少	3	25	18	46
3. 事前評価にて評価された資料において, 審査時に追加評価を受けない	5	16	19	40
4. 承認申請時の提出資料を減らせる	2	6	8	16
5. その他 (自由記載)	0	0	2	2



「5. その他」など自由記載の意見

- ◇ 審査のタイムライン短縮の明確化が必要(3件)
- ◇ 担当審査官を統一する等の対応
- ◇ 申請費用の減額
- ◇ “～が期待できる”ではなく, “～が可能となる”などの明確化

Q4: 医薬品申請前相談に対する意見要望

医薬品申請前相談について、意見要望はありますか(プルダウン選択)。

1. あり 2. なし 3. 経験がないためわからない

「1. あり」を選択された方

背景も含めた具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

「1. あり」との回答が 13 社 (21.7%), 「2. なし」との回答が 37 社 (61.7%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 10 社 (16.7%) であった。

意見要望としての主なコメントは以下のとおりであった。

- ◇ 申請間近に導入した品目について有用
- ◇ 相談の議事録添付不要など、申請までの手順削減・期間短縮が可能であるとよい
- ◇ 申請後、照会事項が減る、審査タイムラインの短縮といったメリットがあると良い(3 件)
- ◇ 効能効果, 用法用量, RMP, PMS, 承認条件などに関しての一定の見解を提示いただきたい(特に適応追加時) (3 件)
- ◇ US の RTOR のようにより審査に直結したやりとり
- ◇ 先駆け総合評価相談に加えて申請前相談の実施を求めないでもらいたい
- ◇ 当局側から推奨されるケースもあるらしい。高額で申請時期にも影響するため企業判断とさせてほしい
- ◇ 申請前相談の担当者と、実際の承認審査の担当官は同じ方にご担当して頂きたい。異なる場合、連携をとっていただき、審査過程における課題を共有してほしい(2 件)
- ◇ 費用が高額(2 件)
- ◇ 申込みがいつでも可能なようにしていただきたい
- ◇ 申請前相談の議事録は(特に、申請に問題ないという結論であれば)、申請タイミングに影響するため、早く作成共有していただきたい
- ◇ 相談内容に応じたフレキシビリティを持ってほしい
- ◇ 原則 2.5 や電子添文案を提出するような要項になっているので、相談を躊躇する
- ◇ 内容によっては、Ph2 後相談の事後相談のような位置付けで実施させて頂きたい。
- ◇ 条件付き早期承認品目該当性相談や先駆け総合評価相談(臨床)を実施する前に、医薬品申請前相談で承認申請の可否を議論する必要があった。承認申請直前に実施する対面助言については、並行して実施する、又はまとめて 1 つの相談枠で実施することを検討して欲しい
- ◇ PMDA 側の懸念点の確認のみを行う場合は(データの提示による確認のみ等)、簡易な相談枠(生物学的同等性試験等)の利用を受け入れていただきたい

1-3. 新たな相談枠の設置

Q5:その他の相談枠設置希望

Q5-1:新たに設置して欲しい対面助言の相談枠はありますか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし

「1. あり」を選択された方

背景も含め、具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください.

「1. あり」との回答が 5 社(8.3%), 「2. なし」との回答が 55 社(91.7%)であった.

新たに設置してほしい対面助言の相談枠(相談事項)の要望として以下の意見があった.

- ◇ 申請前における計画段階での PMS デザインに関する相談
- ◇ 米国における Type D meeting のような相談
- ◇ 医薬品とコンパニオン診断薬の同時開発時における医薬品及び医療機器(体外審)を組み合わせた相談
- ◇ 販売名に関する相談
- ◇ 希少疾病用医薬品の指定要件である「開発の可能性」に関する相談
- ◇ 医療上の意義の成立性等を相談できるようなコンセプトに関する相談枠

Q5:その他の相談枠設置希望

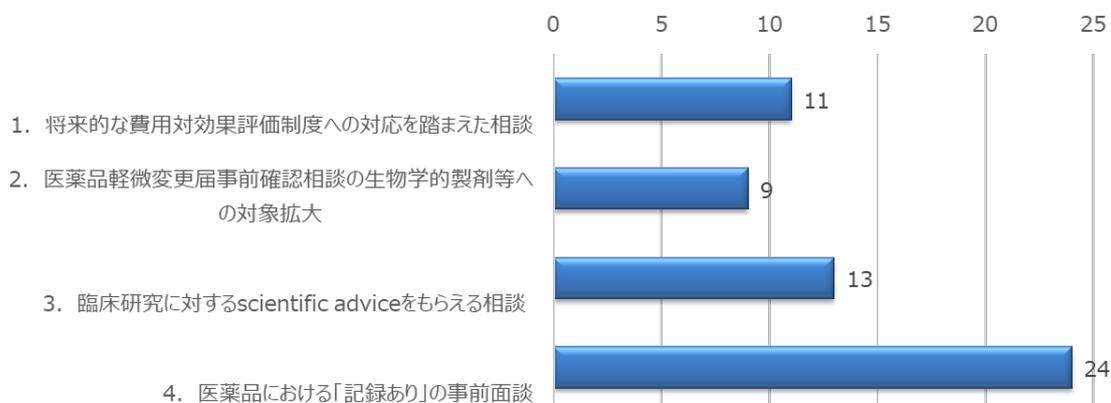
Q5-2:前回(2020年度)調査では以下の相談枠設置の希望がありました。これらの相談枠があれば利用しますか(プルダウン選択, 複数選択可)。

1. 将来的な費用対効果評価制度への対応を踏まえた相談
 2. 医薬品軽微変更届事前確認相談の生物学的製剤等への対象拡大
 3. 臨床研究(最終的に承認販売申請のパッケージに含めるような臨床研究)に対する scientific advice をもらえる相談
 4. 医薬品における「記録あり」の事前面談(再生医療等製品で行われているものを医薬品にも拡大)
- 「4. 記録ありの事前面談」を選択された方
どんな場合に記録ありの事前面談を実施したいですか。具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

「4. 医薬品における「記録あり」の事前面談(再生医療等製品で行われているものを医薬品にも拡大)」が 24 件, 「3. 臨床研究(最終的に承認販売申請のパッケージに含めるような臨床研究)に対する scientific advice をもらえる相談」が 13 件, 「1. 将来的な費用対効果評価制度への対応を踏まえた相談」が 11 件, 「2. 医薬品軽微変更届事前確認相談の生物学的製剤等への対象拡大」が 9 件であった。

「4. 医薬品における「記録あり」の事前面談」の相談枠設置の希望理由として以下の意見があった。

- ◇ 今後の開発方針や申請パッケージ, 試験デザイン等の専門的な助言や重要な見解を受けた場合, 公式な記録として残したい (8 件)
- ◇ 事前面談実施後に記録の有無を企業が選択できるようにしていただきたい (5 件)
- ◇ 事前面談にて解決するような場合や他に適切な相談枠がなく事前面談を活用する場合 (4 件)
- ◇ PMDA 主担当が読み上げるメモの共有, 録音の許可 (3 件)
- ◇ 関係者(海外パートナー企業, 社内関係者)に, 事前面談での協議内容を正式な記録として共有したい (2 件)
- ◇ 論点整理を行った場合や PMDA と相談者の間で合意できた事項があった場合, 共通の記録として残したい



1-4. 対面助言全般

Q6:COVID-19 の状況を踏まえた Web 面談に対するメリット, 問題点

Q6-1:事前面談または対面助言における Web 面談で, PMDA とのやり取りに利用したシステムは何ですか (プルダウン選択, 複数選択可).

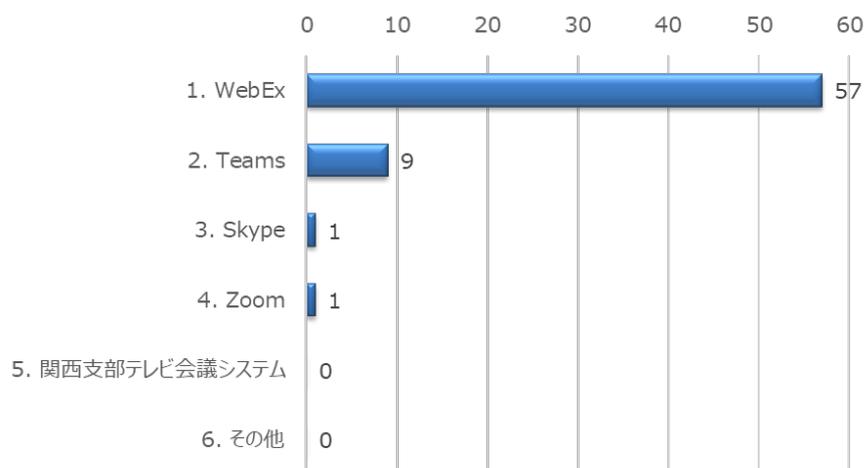
1. WebEx 2. Teams 3. Skype 4. Zoom 5. 関西支部テレビ会議システム 6. その他

「6. その他」を選択された方

システム名を自由記載の欄にご回答ください.

PMDA が WebEX での面談を前提としていたこともあり「1. WebEX」との回答が 57 件, 「2. Teams」との回答が 9 件であった.

なお, 「Web 会議による対面助言等の実施に関する基本確認事項」の新たな様式(様式第 57 号)では「3. Web 会議は, 甲を会議の主催者(ホスト)として甲が指定する Web 会議サービスにより実施するものとする. ただし, 事前に甲及び乙の間で合意した場合には, 乙がホストとして Web 会議を運営することもできる. 」となっているが, 調査期間中に用いていた「Web 会議による対面助言等の実施に関する基本確認事項」(2020 年 12 月 25 日版)では, 「3. Web 会議, 甲を会議の主催者(ホスト)として Cisco 社の「Cisco Webex Meetings」により実施するものとする. ただし, 事前に甲及び乙の間で合意した場合には, 乙がホストとして Web 会議を運営することもできる. 」とされていた.



Q6:COVID-19 の状況を踏まえた Web 面談に対するメリット, 問題点

Q6-2:事前面談または対面助言における Web 面談で, WebEx 以外で使用したいシステムがありましたら理由ともにご回答ください(プルダウン選択, 複数選択可).

1. Teams 2. Skype 3. Zoom 4. その他

「4. その他」を選択された方

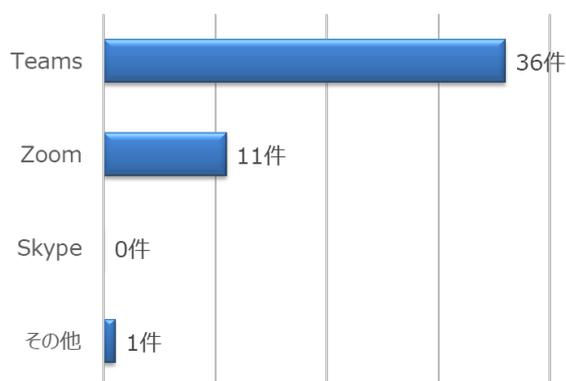
システム名を自由記載の欄にご回答ください.

1~4 のいずれかを選択された方

上記システムを利用したい理由を「上記システムを利用したい理由」欄にご回答ください.

「1. Teams」との回答が 36 社 (75.0%), 「3. Zoom」との回答が 11 社 (22.9%) であった.

「4. その他」との回答が 1 社あり, 「Web-Ex の同時通訳の機能 (2ch を用いた音声機能) を PMDA 内でのいずれの審査部でも使えるようにしていただきたい」との回答があった.



上記システムを利用したい理由は以下のようなものであった.

- ◇ 社内で利用している. 使い慣れている (36 件)
- ◇ 会社の設備との互換性がよく, トラブルなく使用できる (3 件)
- ◇ 同時通訳機能を使用するため (2 件)
- ◇ 複数のシステムで対応できる方がシステム障害などの対応も可能. バックアップがあった方がよい. (3 件)
- ◇ WebEX を使用する度にシステム部門に依頼が必要

Q6:COVID-19 の状況を踏まえた Web 面談に対するメリット, 問題点

Q6-3:Web 面談について, メリットはありましたか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし 3. 経験がないためわからない

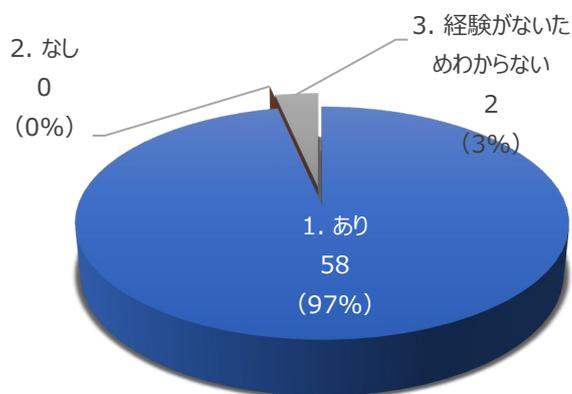
「1. あり」を選択された方

背景も含め, 具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください.

「1. あり」との回答が 58 社 (96.7%), 「2. なし」との回答が 0 社 (0%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 2 社 (3.3%) であった.

メリットの内容は, 以下のようなものであった.

- ◇ 遠方の医学専門家や海外, 遠隔地から参加しやすくなった. 日程調整も容易 (43 件)
- ◇ PMDA への移動が不要となり, 時間と費用が節約できる (26 件)
- ◇ 参加人数に制限がなくなり, 対面会議より多くの人々が参加できる (16 件)
- ◇ ミュート機能を利用し, 相談者側で協議したうえで当局からの質疑に回答できる (13 件)
- ◇ 時短勤務者や妊娠中・育児中の方の参加のハードルが下がった
- ◇ コロナ禍下でも安心して実施でき, 安全性が確保される
- ◇ 対面より PMDA 各担当者の発現がクリアに聞こえる



Q6:COVID-19 の状況を踏まえた Web 面談に対するメリット, 問題点

Q6-4:Web 面談について, 問題点, 意見要望はありますか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし 3. 経験がないためわからない

「1. あり」を選択された方

背景も含め, 具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください.

「1. あり」との回答が 41 社 (68.3%), 「2. なし」との回答が 17 社 (28.3%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 2 社 (3.3%) であった.

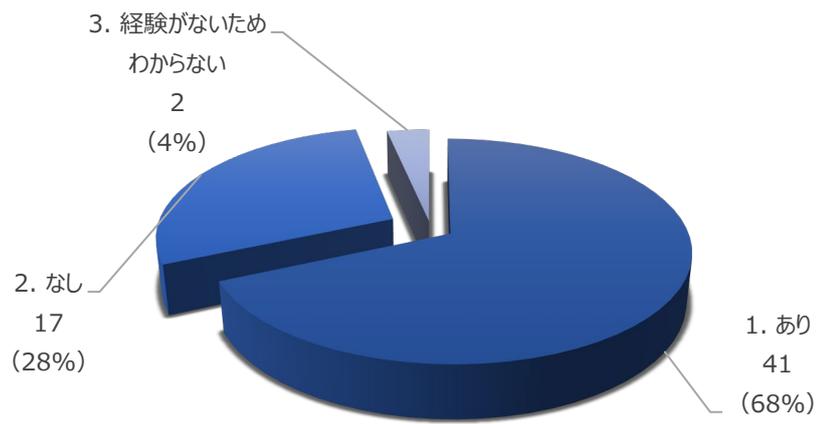
問題点及び意見要望は以下のようなものであった.

【問題点】

- ◇ 声のみのため, 表情や雰囲気, 温度感, 誰の発言かがわからず, コミュニケーションが難しい (13 件)
- ◇ 通訳に時間を要する
- ◇ 面談前後の時間で PMDA 担当者と意見交換や確認ができない (7 件)
- ◇ 画面共有できない場合があった
- ◇ 接続トラブルで開始が遅れた
- ◇ 回線が不安定で発言が聞き取りにくいことがあった (2 件)

【意見要望】

- ◇ COVID-19 終息後も対面, Web, ハイブリッドを選択可能として欲しい (16 件)
- ◇ Web 会議では, カメラオンとして欲しい (5 件)
- ◇ Webex 以外のシステム, 同時通訳機能を備えた Web 会議システムを利用可能として欲しい (3 件)
- ◇ 同時通訳に関して, システム的な観点からの仕様制限やルールなどについて周知いただけると, 準備, 設定がしやすい
- ◇ Web 面談の品質向上のための設備整備
- ◇ PMDA, 企業側で Internal discussion 出来るのはメリットであるが, 面談自体が間延びしないよう, PMDA/企業で改善策を検討していく必要があると考える
- ◇ ミュートで検討された後に回答されるため, どの立場の担当官の意見か分からず, 本音を聞ける機会が減った
- ◇ 「Web 会議による対面助言等の実施に関する基本確認事項」をその都度提出するタイプの他, 会社として一定期間有効なタイプとする, 初回のみとするなど簡略化をご検討いただきたい (5 件)
- ◇ メモを取りながら Web 上で受け答えをすることが難しいことから, 社内での使用に限定した上で録音を許容していただくか, PMDA が用意したメモを共有して欲しい
- ◇ PMDA 側の参加者・発言者が分からないため, まとめて参加ではなく一人一人のお名前が分かる状態で参加してほしい



Q7: 関西支部利用に対するメリット, 問題点

Q7-1: 関西支部利用について、メリットはありましたか(プルダウン選択)。

1. あり 2. なし 3. 経験がないためわからない

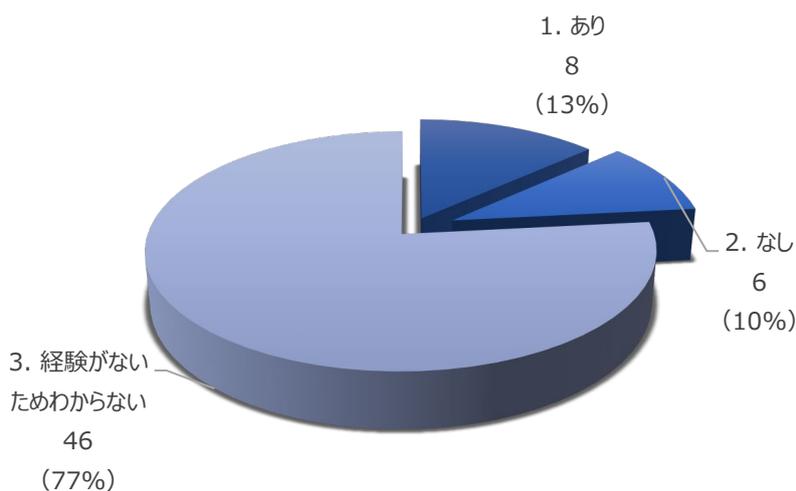
「1. あり」を選択された方

背景も含め、具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

「1. あり」との回答が 8 社(13.3%), 「2. なし」との回答が 6 社(10.0%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 46 社(76.7%)であった。

メリットありとして挙げたコメントは以下のとおりであった。

- ◇ カメラオンで相談でき、お互い顔を合わせながら議論できる。臨場感がある(4 件)
- ◇ 回線が安定しており、音声トラブル等の心配が少ない
- ◇ 移動時間、費用が節約でき、関西からの参加にメリットがある(5 件)
- ◇ 関西支所に審査チームが存在する状況下であれば、対面による面談が可能となりメリットがあるとする



Q7: 関西支部利用に対するメリット, 問題点

Q7-2: 関西支部利用について, 問題点, 意見要望はありますか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし 3. 経験がないためわからない

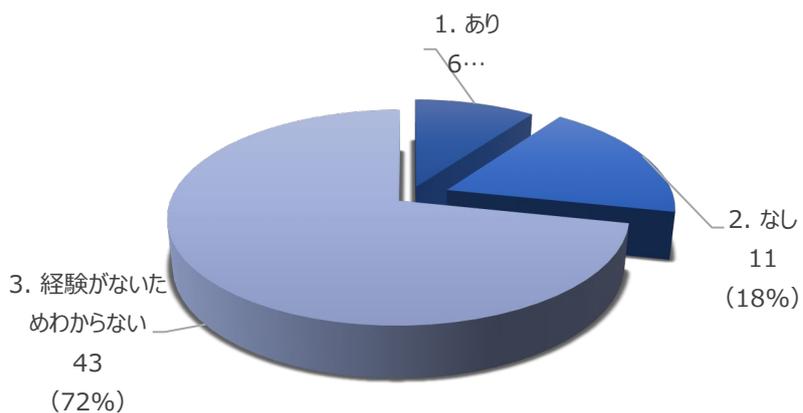
「1. あり」を選択された方

背景も含め, 具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください.

「1. あり」との回答が 6 社(10.0%), 「2. なし」との回答が 11 社(18.3%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 43 社(71.7%)であった.

問題点・意見要望としての主なコメントは以下のとおりであった.

- ◇ 利用料が高額である(4 件)
- ◇ 通常の Web 面談を上回るメリットはない(2 件)
- ◇ 関西支部で直接 PMDA 職員と対面で相談できるケース以外ではメリットはほとんどない



Q8:対面助言全般に対しての問題点, 意見要望

対面助言全般に対する問題点, 及び, 満足度をより上げるための意見要望はありますか(プルダウン選択).

1. あり 2. なし

「1. あり」を選択された方

背景も含め, 具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください.

「1. あり」との回答が 24 社(40%), 「2. なし」との回答が 36 社(60%)であった.

問題点・意見要望としての主な意見は以下のとおりであった.

◇ 相談の対応・相談の範囲

- ✓ 開発初期段階から, 承認の可否に係わる, あるいは審査の過程で大きな論点となりそうな点があれば, 積極的にアドバイスをいただきたい. 特に相談者側が相談事項にあげていない, あるいは相談者が気づいていない観点があればご提示いただき, 議論を深めたい
- ✓ PMDA の助言内容の背景・経緯など, もう少し具体的に丁寧に説明があると, より充実した相談になり, より満足度が上がると思う
- ✓ 代替案の提示など, もう一步踏み込んだ PMDA 側の考えなどを示されると, より充実した相談になるのではないか (3 件)
- ✓ 新しい試みを相談する際, 前例やガイドラインの観点からの助言だけでなく, 最新の知見に基づき前例にとらわれない柔軟な見解や代替案の議論をできるようにして頂きたい
- ✓ 想定をもとに相談に応じるようにしていただきたい

◇ 相談当日 : PMDA 意見の伝え方

- ✓ 当日に読み上げられる見解の書面での共有, 提供 (3 件)
- ✓ 慎重に言葉を選びすぎていて, コメントが分かりにくいときがある
- ✓ 対面助言の後半に, それまでに出たコメントの解釈や背景を説明いただけるような場面もあるが, 最初から解釈や背景も含めて説明していただきたい
- ✓ 事前の見解にとらわれず, より柔軟で自由な意見交換ができるとよりよい

◇ 照会事項/機構見解発出のタイムライン

- ✓ 照会事項や機構見解の発出の日時を事前に確約していただきたい
- ✓ 照会事項や機構見解を夕刻遅くに発出するのは控えていただきたい. また, 電話で重ねて質問されるような場合には, メールを活用もご検討いただきたい

◇ 機構意見/議事録

- ✓ 対面助言の記録に, 相談者側の見解も可能なものは含めてほしい
- ✓ 少なくとも参考とすべきガイドラインがない相談内容に対しては, 相談者見解を了承した場合でも, 了承した具体的な背景, 根拠を記載して頂きたい

- ✓ 一文が長く解釈が難しいことがある．PMDA の意図やニュアンスが明確に伝わる文言にして頂きたい（2件）
- ✓ 機構意見が「受け入れ不可」である場合は特に，受け入れ不可である具体的事項及び理由などを詳細に記載して頂きたい

- ◇ 事前面談
 - ✓ 本相談前の論点整理のための事前面談を要請されることが多くなってきている．予め事前面談を要請される基準や相談資料作成時の留意点についてガイダンスを示してほしい
 - ✓ 事前面談で処理できる範囲の拡大を検討いただきたい

- ◇ 相談枠の整理
 - ✓ 活用されていない相談枠の見直し
 - ✓ 相談の種類のスimpl化，整理/統合（2件）
 - ✓ 品目横断的な観点からの助言を可能とする相談枠

- ◇ 費用
 - ✓ 相談自体を無料とし，承認申請手数料に乗せることを検討してはどうか

- ◇ その他
 - ✓ 「対面助言実施のご案内」のメールによる受領

第2部 『個々事例』

2-1. 新医薬品に関する一般的な治験相談

(対面助言, 対象とした相談区分は Q2 を参照)

2-1-1. 基本情報

Q1:実施年月

対面助言(書面による助言も含む)の実施年月をご回答ください。

一般的な治験相談区分での総実施件数は230件で, 前回調査と比べ35件(13.2%)減少していた。今回調査では相談件数は9月が一番多く, 1月が一番少なかった。また, 前回調査と同様, 対象期間の中で相談件数は1月と5月は少ない傾向にあった。

2022年度調査			前回調査(2020年度調査)		
実施年月	件数(%)		実施年月	件数(%)	
2021年10月	23	(10.0)	2019年10月	20	(7.5)
2021年11月	22	(9.6)	2019年11月	19	(7.2)
2021年12月	16	(7.0)	2019年12月	23	(8.7)
2022年1月	11	(4.8)	2020年1月	12	(4.5)
2022年2月	16	(7.0)	2020年2月	19	(7.2)
2022年3月	23	(10.0)	2020年3月	23	(8.7)
2022年4月	19	(8.3)	2020年4月	35	(13.2)
2022年5月	14	(6.1)	2020年5月	11	(4.2)
2022年6月	23	(10.0)	2020年6月	27	(10.2)
2022年7月	12	(5.2)	2020年7月	26	(9.8)
2022年8月	19	(8.3)	2020年8月	25	(9.4)
2022年9月	32	(13.9)	2020年9月	25	(9.4)
合計	230	(100.0)	合計	265	(100.0)

Q2:相談区分

対面助言の相談区分を選択ください。

- | | |
|--------------------|--------------------|
| 1. 医薬品第Ⅰ相試験開始前相談 | 2. 医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談 |
| 3. 医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談 | 4. 医薬品第Ⅱ相試験終了後相談 |
| 5. 医薬品申請前相談 | 6. 医薬品追加相談 |
| 7. 医薬品安全性相談 | 8. 医薬品品質相談 |
| 9. 医薬品生物学的同等性試験等相談 | |

前回調査と同様、第Ⅱ相試験終了後相談の割合が最も高かった(98件, 42.6%)。

前回調査と比べて、第Ⅰ相試験開始前相談の実施件数が9件(60.0%)増加しており、申請前相談の実施件数が25件(49.0%)減少していた。これら以外は同様の傾向であった。

相談区分	2022年度調査		前回調査 (2020年度調査)	
	件数	(%)	件数	(%)
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	24	(10.4)	15	(5.7)
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	5	(2.2)	2	(0.8)
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	21	(9.1)	25	(9.4)
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	98	(42.6)	103	(38.9)
医薬品申請前相談	26	(11.3)	51	(19.2)
医薬品追加相談	29	(12.6)	32	(12.1)
医薬品安全性相談	9	(3.9)	13	(4.9)
医薬品品質相談	13	(5.7)	17	(6.4)
医薬品生物学的同等性試験等相談	5	(2.2)	7	(2.6)
合計	230	(100.0)	265	(100.0)

Q3:相談分野

申し込まれた対面助言の相談分野を選択ください。

- | | | |
|--------------|--------------|-------------|
| 1. 第1分野 | 2. 第2分野 | 3. 第3分野の1 |
| 4. 第3分野の2 | 5. 第4分野 | 6. 第5分野 |
| 7. 第6分野の1 | 8. 第6分野の2 | 9. 抗悪性腫瘍剤分野 |
| 10. エイズ医薬品分野 | 11. 放射性医薬品分野 | 12. 体内診断薬分野 |
| 13. バイオ品質分野 | 14. ワクチン分野 | 15. 血液製剤分野 |
| 16. 再生医療製品分野 | 17. 遺伝子治療分野 | |

前回調査と同様、抗悪性腫瘍剤分野の割合が最も高く(57件, 24.8%), 次いで第1分野, 第6分野の1の順で高い傾向にあった。

前回調査と比べて、第4分野の実施件数が9件(69.2%)減少し、抗悪性腫瘍剤分野の実施件数が23件(28.8%)減少していた。これら以外は同様の傾向であった。

相談分野	2022年度調査		前回調査 (2020年度調査)		備考
	件数	(%)	件数	(%)	
第1分野	34	(14.8)	41	(15.5)	消化器官用薬, 外皮用薬, 免疫抑制剤, その他(他の分野に分類されないもの)
第2分野	23	(10.0)	22	(8.3)	循環器官用薬, 抗パーキンソン病薬, アルツハイマー病薬
第3分野の1	23	(10.0)	21	(7.9)	中枢神経系用薬, 末梢神経系用薬. ただし麻酔用薬を除く
第3分野の2	7	(3.0)	5	(1.9)	麻酔用薬, 感覚器官用薬(炎症性疾患に係るものを除く), 麻薬
第4分野	4	(1.7)	13	(4.9)	抗菌剤, 抗ウイルス剤(エイズ医薬品分野に係るものを除く), 抗真菌剤, 抗寄生虫剤, 駆虫剤
第5分野	10	(4.3)	8	(3.0)	泌尿生殖器官・肛門用薬, 医療用配合剤
第6分野の1	30	(13.0)	34	(12.8)	呼吸器官用薬, アレルギー用薬(外皮用薬を除く), 感覚器官用薬(炎症性疾患に係るもの)
第6分野の2	16	(7.0)	13	(4.9)	ホルモン剤, 代謝性疾患用剤(糖尿病, 骨粗鬆症, 痛風, 先天性代謝異常等)
抗悪性腫瘍剤分野	57	(24.8)	80	(30.2)	抗悪性腫瘍薬
エイズ医薬品分野	0	(0.0)	0	(0.0)	HIV感染症治療薬
放射性医薬品分野	0	(0.0)	1	(0.4)	放射性医薬品
体内診断薬分野	1	(0.4)	1	(0.4)	造影剤, 機能検査用試薬(体外診断用医薬品を除く)
バイオ品質分野	4	(1.7)	6	(2.3)	バイオ品質, バイオ後発品
ワクチン分野	12	(5.2)	13	(4.9)	ワクチン(感染症の予防に係るものに限る), 抗毒素類
血液製剤分野	7	(3.0)	5	(1.9)	血液製剤
再生医療製品分野	2	(0.9)	2	(0.8)	再生医療等製品のうち細胞組織を加工したもの
遺伝子治療分野	0	(0.0)	0	(0.0)	再生医療等製品のうち遺伝子治療を目的としたもの, カルタヘナ
合計	230	(100.0)	265	(100.0)	

Q4:実施方法(対面／関西支部テレビ会議システム／Web 会議／書面)

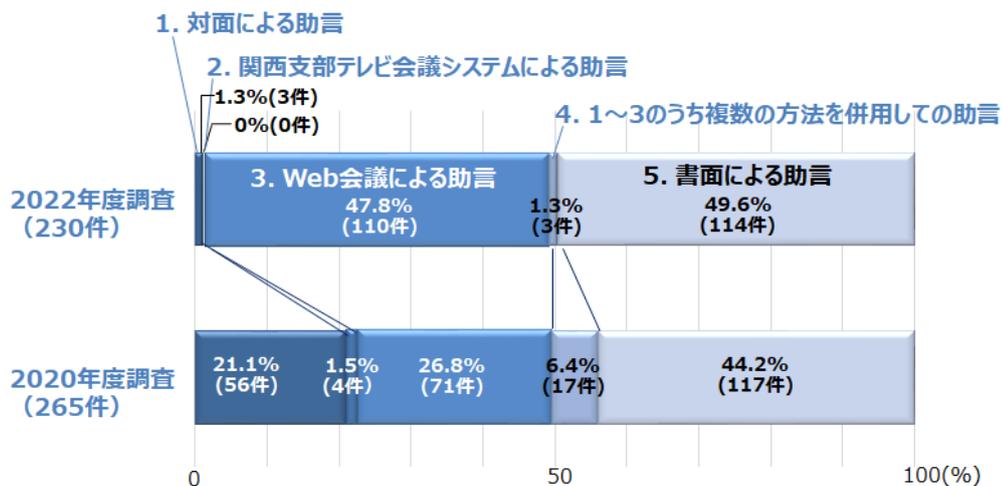
対面による助言ですか、関西支部テレビ会議システムによる助言ですか、Web 会議による助言ですか、複数の方法を併用しての助言ですか(例:対面と Web 会議),あるいは書面による助言ですか。

1. 対面による助言
2. 関西支部テレビ会議システムによる助言
3. Web 会議による助言
4. 1～3のうち複数の方法を併用しての助言
5. 書面による助言

前回調査と比較し、「対面による助言」の割合が大幅に減り(前回調査:21.1%, 今回調査:1.3%),「Web 会議による助言」が大幅に増えていた(前回調査:26.8%, 今回調査:47.8%).「書面による助言」は増加していた(前回調査:44.2%, 今回調査:49.6%).

また、「関西支部テレビ会議システムによる助言」(前回調査:1.5%, 今回調査:0%)及び「複数の方法を併用しての助言」(前回調査:6.4%, 今回調査:1.3%)は減少していた。

今回の調査では、新型コロナウイルス感染症緊急事態宣言を受け、Web 会議又は書面による助言が多くを占めた(97.4%).



Q5:相談内容

相談項目のタイプを選択ください(複数回答可)。

1. 開発計画全体の相談
2. 試験デザインに関する相談
3. ブリッジング戦略に関する相談
4. 国際共同試験に関する相談
5. 申請パッケージの妥当性に関する相談
6. 非臨床試験(薬物動態, 薬理, 毒性)に関する相談
7. 規格及び試験方法, 安定性, 製造方法等の品質に関する相談
8. 生物学的同等性に関する相談
9. その他(自由記載)

半数以上の相談で試験デザイン, 申請パッケージに関する相談が相談項目として含まれていた。これは前回調査と同様の傾向であった。前回調査と比較し, 国際共同治験に関する相談の割合が増えていた(前回調査:27.9%, 今回調査:47.0%)。その他の相談項目の割合については, 前回調査から大きな変化は認められなかった。「9. その他」で挙げられた具体的な相談項目としては, 申請電子データに関するものが多かった。

相談項目のタイプ(重複回答)	2022 年度調査		前回調査(2020 年度)	
	件数	(%)*	件数	(%)*
1. 開発計画全体の相談	49	(21.3)	60	(22.6)
2. 試験デザインに関する相談	155	(67.4)	150	(56.6)
3. ブリッジング戦略に関する相談	3	(1.3)	13	(4.9)
4. 国際共同試験に関する相談	108	(47.0)	74	(27.9)
5. 申請パッケージの妥当性に関する相談	141	(61.3)	177	(66.8)
6. 非臨床試験(薬物動態, 薬理, 毒性)に関する相談	39	(17.0)	29	(10.9)
7. 規格及び試験方法, 安定性, 製造方法等の品質に関する相談	12	(5.2)	20	(7.5)
8. 生物学的同等性に関する相談	5	(2.2)	4	(1.5)
9. その他	34	(14.8)	36	(13.6)
合計	546	—	563	—

*: ()は総相談件数(2020年度は230件, 2018年度は265件)に対する割合

2-1-2. 対面助言実施

Q6:Q4 に関連して対面助言の実施方法についての良かった点

Q4 で回答した方法での実施について、良かった点はありますか。

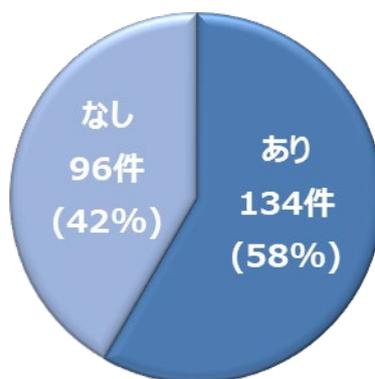
1. あり 2. なし

「1. あり」を選択された方

具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。Q4 で「4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言」と回答された方は、併用した方法についてもご記載ください。

対面助言の実施方法について、良かった点「あり」は 134 件(58%)、「なし」は 96 件(42%)であった。

「対面による助言」では、照会事項や審査部の窓口担当者との電話だけでは得られなかった PMDA の考えを対面で確認することができたとの意見があった。「Web 会議による助言」では、渡航制限下においても海外からの参加が可能となること、日本からの参加者の移動に関する時間的負担・手間の軽減、及びミュート機能を活用して社内協議で内容を整理した後回答可能であったこと等が挙げられた。「複数の方法を併用しての助言」では、対面及び Web 会議の併用が多かったが、その両方のメリットが挙げられていた。「書面による助言」では、対面での相談に必要な準備に関する省力化、対面助言当日まで待つことなく治験の準備を進めることができた等の意見があった。



2022 年度調査	良かった点の有無		合計
	1. あり	2. なし	
1. 対面による助言	1	2	3
2. 関西支部テレビ会議システムによる助言	0	0	0
3. Web 会議による助言	71	39	110
4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言	3	0	3
5. 書面による助言	59	55	114
合計	134	96	230

対面助言の実施方法についての良かった点として自由記載欄で挙げられていた主な内容は以下のとおりであった。

《1. 対面による助言》

- ◇ 照会事項や審査部の窓口担当者との電話だけでは得られなかった PMDA の考えを対面で確認する事ができた

《2. 関西支部テレビ会議システムによる助言》

- ◇ 特になし

《3. Web 会議による助言》

- ◇ PMDA への移動時間を削減でき、時間を有効活用できた(同様のコメントが計 28 件)
- ◇ 海外からの相談者側出席者の参加が容易であった(同様のコメントが計 17 件)
- ◇ 面談中にミュート機能を利用し、相談者側での質問内容や回答内容について内輪の議論することができた(同様のコメントが計 9 件)
- ◇ 出席者の日程調整が容易であった(同様のコメントが計 8 件)
- ◇ 参加者の状況に応じて会議の参加場所を選べることができた(同様のコメントが計 6 件)
- ◇ 海外本社メンバーが会議に直接参加することで PMDA の意図を直接確認してもらえた(同様のコメントが計 4 件)
- ◇ 医学専門家の参加が容易であった(同様のコメントが計 4 件)
- ◇ 出席者の人数制限がない(同様のコメントが計 3 件)
- ◇ 日程調整や当日の準備(プレゼンテーション)についての負担が軽減した(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 終了後の wrap up meeting がすぐ開始できる(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 2 つの対面助言を同時に実施したので、連続で実施する際にも参加者の出入りのみで対応できてスムーズであった(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 画面の共有も不自由なくできることから対面での実施と変わりなく議論ができるうえに、グローバルからの参加者がオンラインで参加できるため、照会事項の内容によってグローバルからの参加者を臨機応変に変更でき、より実のある議論ができた(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ PMDA 参加者のビデオ通信があったため、議論の状況を把握することができた

《4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言》

- ◇ 対面と WebEx(同時通訳アリ)の併用で実施できたため、PMDA の様子を直接感じることでできつつ、海外のメンバーも来日することなく参加できて良かった
- ◇ 対面と Web で実施した。会議後にも顔を合わせながら意見交換ができた

《5. 書面による助言》

- ◇ 対面助言の準備(プレゼン資料作成、グローバルチームとのリハーサル等)や会議時間に必要なリソースを削減し、効率的に進めることができた(同様のコメントが計 22 件)
- ◇ 機構意見で明確な回答が得られた(同様のコメントが計 21 件)
- ◇ 書面への切り替えに柔軟に対応いただけた(同様のコメントが計 6 件)

- ◇ 対面助言当日まで待つことなく、次のアクション(治験の準備、申請準備等)を進めることができた(同様のコメントが計3件)
- ◇ 機構意見が明確に提示され、面談を実施しないことの意味決定が容易であった(同様のコメントが計2件)
- ◇ 担当官の方と密に電話で議論ができたため、書面の形式であっても十分な内容の助言をいただくことができた(同様のコメントが計2件)
- ◇ 早期に議事録を確定いただけた(同様のコメントが計2件)
- ◇ 出張せずに目的を達した(同様のコメントが計2件)
- ◇ 機構意見回答で確認したい点があったが、マイナーな内容であったため、「機構意見回答に対する機構意見」を送付していただき、当日の対面助言を実施しない方向になった。双方にとって、とても効率的な運用であったと考えているので、他の審査部もこのような方法を検討してほしい(同様のコメントが計2件)
- ◇ ワクチン分野では、機構意見の段階で相談内容の解釈を詳細に記載頂けるので、書面開催でも理解に齟齬がないことがきちんと確認できた
- ◇ 対面助言申し込み後に準備のための事前面談を申し込むよう指示を受けた。その時点で提出できる情報が相談資料の概略の目次と相談事項の項目だけであったが、資料の構成や論点の整理について助言をいただいた。14通に分割したメールであったが、相談資料のメールでの送信を受け入れていただいたのは助かった
- ◇ 相談事項については受け入れられたため書面開催となったが、意見交換をする面談の実施を提案頂き、フォローアップの事前面談として実施した。書面のやり取りだけではできない意見交換や記録作成の方針の確認等ができ、とても有意義であった
- ◇ 機構見解は書面として提示されたが、別途、事前面談を設定し、機構見解の解釈を説明いただけた
- ◇ 照会事項でPMDAより代替案が提示され回答提出時にプッシュバックしたものの機構意見で再度受け入れられないことが分かった。回答提出に至るまでの間に会社から次善の策に係る複数オプションをPMDAに提示したところ、早期に着地点に係るコメントを入手することができ回答提出時に合意に至ることができた。柔軟に対応してくださったことで相談実施を省略でき、議事録の早期受領、治験準備の早期着手となった。海外では相談実施しなかったが、日本からも同時期に治験を開始できた
- ◇ 段階的に要点を摺り合わせながら、対面助言に至る前に合意が得られた

Q7:Q4に関連して対面助言の実施方法についての問題点

Q4で回答した方法での実施について、問題点はありましたか

1. あり 2. なし

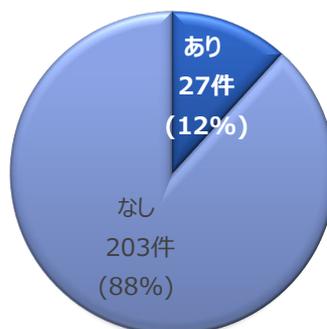
「1. あり」を選択された方

どのような点で問題があったか、自由記載の欄にご回答ください。Q4で「4. 1～3のうち複数の方法を併用しての助言」と回答された方は、併用した方法についてもご記載ください。

回答の多く(88%)で、問題点はないとの回答であった。

「1.あり」では、主に Web 会議に対して以下の問題点が挙げられた。

- ◇ 参加者や発言者が分かりづらかった
- ◇ システムや通訳導入時の設定が困難であった



2022 年度調査	問題点の有無		合計
	1. あり	2. なし	
1. 対面による助言	0	3	3
2. 関西支部テレビ会議システムによる助言	0	0	0
3. Web 会議による助言	25	85	110
4. 1～3のうち複数の方法を併用しての助言	1	2	3
5. 書面による助言	1	113	114
合計	27	203	230

対面助言の実施方法についての問題点としては以下が挙げられた。

《1. 対面による助言》

- ◇ 特になし

《2. 関西支部テレビ会議システムによる助言》

- ◇ 特になし

《3. Web 会議による助言》

- ◇ 当局側の理由(詳細不明)により、画面の共有ができなかった
- ◇ (社内の問題ですが)社内デバイスが Teams は問題なく対応するが、WebEX では通常とおりに機能せず、調整にかなりの時間を要してしまった。相談者側のシステム(Teams)での面談も可としていただけると有難い
- ◇ PMDA の Webex の機能及び社内ツールの機能上、Global member の発言の和訳が逐次通訳となり、多少時間がかかる(英訳については同時通訳可能であり支障はない)
- ◇ WebEX での同時通訳を初めて利用したので、準備や当日の運用が難しかった(同様のコメントが計 3 件)
- ◇ 会議室から Webex に接続する場合に発言者が最初に名前を言うことを失念すると発言者が不明確となることがある(同様のコメントが計 3 件)
- ◇ PMDA の様子がわからないため、意見のニュアンス、発言のタイミングが分かりにくかったこと(同様のコメントが計 6 件)
- ◇ 対面を希望したが無理でカメラオンも受け入れられなかった
- ◇ 対面による助言に比べ、相談者の説明が PMDA 側に理解していただけているのかわかりにくい。対面又はハイブリッドでの実施を選択可能としていただけるとありがたい(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 実施方法の問題ではないかもしれないが、面談にて議論した内容について、相談者側と PMDA 側で理解に齟齬があった。きちんとお互いの意図を確認し合うことが重要と感じた
- ◇ PMDA、企業側参加者(日本からの参加、海外からの参加、通訳)のコミュニケーションが非常に取りにくかった(同様のコメントが計 3 件)
- ◇ やはりコミュニケーションの深さ(助言終了後の意見交換など)は対面の方が勝る
- ◇ 対面での実施を希望していたが受け入れられなかった。対面であれば率直な意見交換ができたかもしれない
- ◇ 社内の議論に時間をかけすぎてしまった。また、PMDA と合意できなかった点について、面談後に対面で率直な意見を伺える時間があつた方が良かった

《4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言》

- ◇ カメラに映るのは限られた人数で Web 参加の場合、発言者がわかりづらい時がある

《5. 書面による助言》

- ◇ 特になし

Q8:PMDA/FDA/EMA 相談の時期(国際共同試験の場合)

Q5で「4. 国際共同試験に関する相談」を選択した方に伺います。PMDA 相談の実施時期は FDA/EMA との相談時期の前、後、ほぼ同時期(前後3ヶ月以内を目安)、あるいは実施していない、のいずれですか(国際共同試験以外の場合には記入いただく必要はございませんので、Q11にお進みください)。

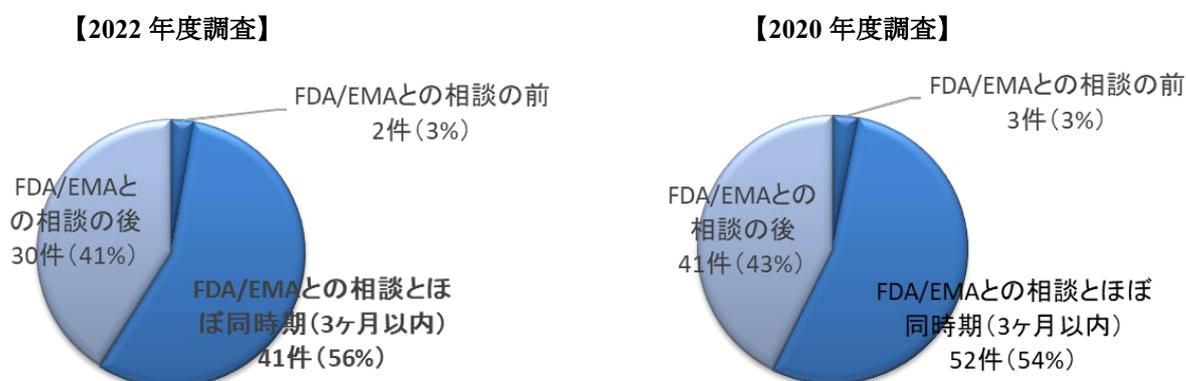
1. FDA/EMA との相談の前
2. FDA/EMA との相談とほぼ同時期(前後3ヶ月以内を目安)
3. FDA/EMA との相談の後
4. FDA/EMA との相談を実施していない

その時期とした理由(FDA/EMA との相談を実施していない場合はその理由)を自由記載の欄にご回答ください。(例:各規制当局の見解を同時期に得て開発戦略に反映させることが重要であると考えたため、欧米は参加しないアジア試験に関する相談であったため、等)

PMDA 相談と FDA/EMA の相談時期について、今回の調査では、前回同様「2. 同時期(3ヶ月以内)」との回答が全体の4割を超え、比較的高い割合で FDA/EMA と同時期に PMDA 相談を実施している結果であった。また、「3. FDA/EMA との相談の後」の割合が前回と比べ増えており、「4. FDA/EMA との相談を実施していない」の回答が減っていた。

PMDA 相談の時期	2022 年度調査		前回調査 (2020 年度調査)		理由
	件数	(%)	件数	(%)	
1. 前	3	(2.8)	2	(2.0)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ まずは日本当局の見解を確認したかったため ✓ 欧米と異なる解析対象とする予定のため、なるべく速やかに PMDA から助言を得たかったため ✓ 準備に基づく順番
2. 同時期 (前後3ヶ月以内を目安)	52	(48.1)	41	(41.8)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 各規制当局の意見をプロトコール・開発戦略に反映させたかったため ✓ 欧米と同時開発であったため
3. 後	41	(38.0)	30	(30.6)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 各規制当局の見解を同時期に得て開発戦略に反映させることが重要であると考えたため ✓ 欧米当局の助言が国内の開発計画にも影響し得る内容であったことから追加で PMDA 相談を実施したため ✓ 欧米での相談結果を踏まえて本邦の開発計画を作成する必要があったため ✓ 欧米での相談時に日本での開発が決定していなかったため
4. 実施なし	12	(11.1)	25	(25.5)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ アジア試験に関する相談であったため ✓ 開発戦略が日本と欧米で異なったため ✓ 日本独自の相談内容であったため
合計	108	(100.0)	98	(100.0)	

前回調査の集計と同様に、FDA/EMA との相談を実施した相談に絞って再集計したところ、「FDA/EMA との相談の前」との回答は 3%、「同時期(3ヶ月以内)」は 54%、「FDA/EMA との相談の後」は 43%であり、同じ条件で再集計した前回調査と比べてほぼ同様の傾向であった。



PMDA/FDA/EMA 相談の時期についての理由 (FDA/EMA との相談を実施していない場合はその理由) は以下のとおりであった。

《1. FDA/EMA との相談の前》

- ◇ 準備に基づく順番で、特に理由はない
- ◇ まずは、日本当局の見解を確認したいと考えたため
- ◇ 欧米と日本で異なる解析対象とする予定であり、PMDA から受け入れられなければ国際共同治験への参加が難しいことからなるべく速やかに PMDA から助言が欲しかったので

《2. FDA/EMA との相談とほぼ同時期(3ヶ月以内)》

- ◇ 国際共同 Ph1 試験の開始を遅らせないため、米国とほぼ同時期に実施する必要があった
- ◇ 各規制当局の見解を同時期に得て開発戦略に反映させることが重要であると考えたため (同様のコメントが計 3 件)
- ◇ 試験開始前に各規制当局の見解を確認することが重要と考えたため、同時期の相談申込となった (同様のコメントが計 5 件)
- ◇ プロトコルの作成時期、症例登録期間及び日本での治験開始時期等を考慮し、同時期に実施することとなった (同様のコメントが計 3 件)
- ◇ FDA との相談後、ある程度グローバル開発の方向性が見えた後、グローバルの開発戦略が固定する前に PMDA と対面助言をし、PMDA の意見も反映した開発戦略にするため
- ◇ Global 本社側の意向のため、なるべく近い時期に 3 局の見解を得た上でプロトコル改訂を検討するため
- ◇ 日本でも早く試験を開始したかったため (同様のコメントが計 2 件)
- ◇ EMA から否定的な意見をもらう可能性が高いと見込んでいたため、EMA の相談結果が先行して得られることで PMDA に影響して欲しくないと考えたため
- ◇ 対象疾患が希少であるため、日本人症例についても十分な登録期間を確保するため、先行する FDA 面談の状況も見ながら、同時期の治験相談とした (同様のコメントが計 2 件)

- ◇ 国際共同の FIH 試験であったため、治験を実施する全ての当局に相談した

《3. FDA/EMA との相談の後》

- ◇ Global の方針(日本は後回し)
- ◇ 各規制当局の見解を同時期に得て開発戦略に反映させることが重要であると考えたため
- ◇ 当初 PMDA との追加相談は計画していなかったが、EMA との相談結果を精査したところ国内の開発計画にも影響しうる助言内容があったことから、EMA との相談結果を踏まえた PMDA 相談を実施した
- ◇ FDA/EMA の相談結果を踏まえて、本邦の開発計画を策定する必要があったため
- ◇ 日本での開発をするかどうか FDA/EMA 相談時に決まっていなかったため

《4. FDA/EMA との相談を実施していない》

- ◇ US で既に P1 試験が先行していたため、P1 試験を EMA で実施する開発計画がなかったため
- ◇ 欧米は参加しないアジア試験コホートに関する相談であったため(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 日本のみ相談事項があったため(同様のコメントが計 4 件)
- ◇ FDA, EMA とは PSP, PIP を通じて継続的に議論しており、特定の相談は実施していなかったため、プロトコールに機構意見を反映できるタイミングで実施した
- ◇ 当時は PMDA 相談終了後に実施予定であったが、会社の戦略上の意志決定に基づき、開発を中断することになったため
- ◇ 他品目による参考情報があったため、海外規制当局の相談は不要と判断

Q9: PMDA/FDA/EMA 相談の順番(国際共同試験の場合)

FDA/EMA の相談を受けた方(Q8 で1~3 を選択)に伺います。PMDA, FDA 及び EMA との相談の順番について、1 番目、2 番目及び 3 番目に該当する当局を選択ください(複数選択可)。

1. PMDA 2. FDA 3. EMA 4. 該当なし

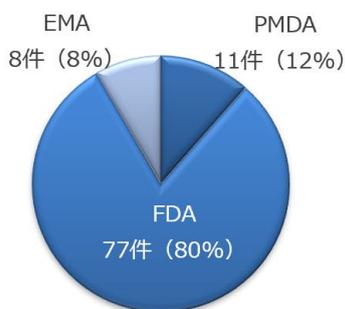
その順番とした理由を自由記載の欄にご回答ください。(例: 日本が主導する試験であったため PMDA との相談を最初を実施した, 欧米の試験に日本が参画する計画で主として実施する地域の規制当局である FDA/EMA との相談を優先して実施した, 等)

1 番目に相談した当局としては、FDA が最も多く(80%)、PMDA とした回答は 12%で前回調査より増加した(前回調査 4%)。2 番目に相談した当局は EMA が 65%で最も多く、3 番目に相談した当局は PMDA が 65%で最も多かった。

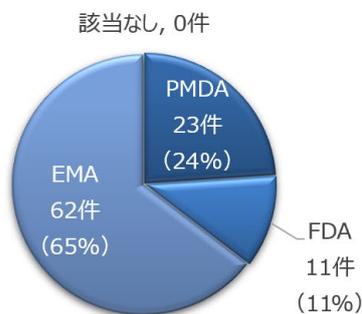
相談の順番としては FDA, EMA, PMDA の順番が最も多く(58 件)、これは 3 極で相談を実施した場合(合計 96 件)の 60%であった。

FDA/EMA との相談が PMDA より先行される理由としては、欧米での開発が先行されたため、欧米での申請が優先されたためが多く、PMDA と最初に相談した理由は、日本が主導する試験であったため、同時期実施の日程調整の結果のためといったものであった。

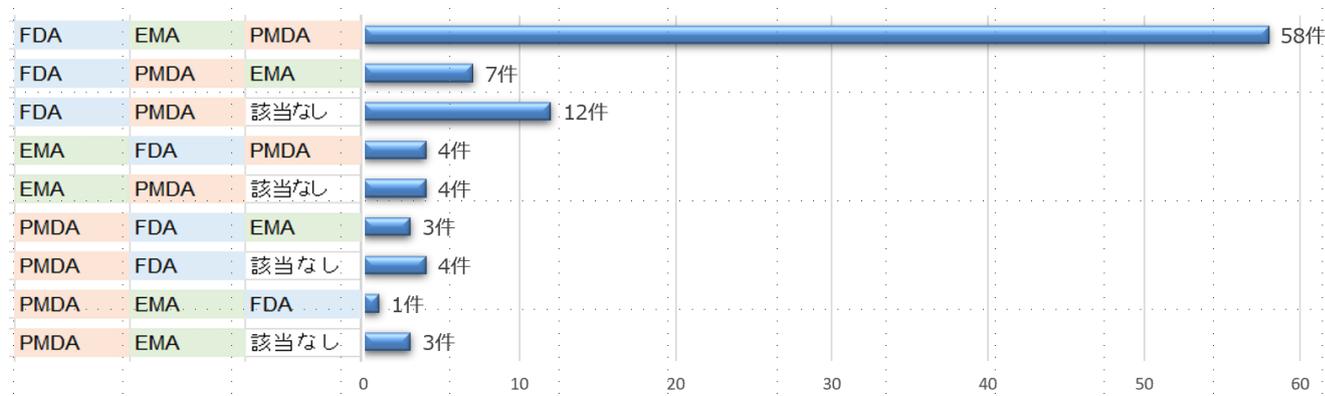
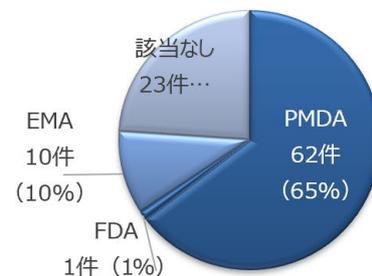
1 番目に相談した当局



2 番目に相談した当局



3 番目に相談した当局



PMDA/FDA/EMA 相談の順番についての理由は以下のとおりであった。

《1 番目が PMDA のケース》

- ◇ 同時期に相談を申し込んだが、日程調整の結果この順番となった(同様のコメントが計 6 件)
- ◇ 日本が主導する試験であったため PMDA との相談を最初に実施した(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ CTN より IND の方が時間を要する見込みであったため、そこからの逆算でスケジュールしたため
- ◇ 会社の提案が PMDA から受け入れられなかった場合、日本独自に計画を練り直さなければならなくなるため、その時間を考慮しての順番
- ◇ 欧米と日本で異なる解析対象とする予定であり、PMDA から受け入れられなければ国際共同治験への参加が難しいことからなるべく速やかに PMDA から助言が欲しかったので

《1 番目が FDA のケース》

- ◇ ほぼ同時期の実施であり特に優先順位付けはしていない。資料作成等各国のスケジュールを調整した結果(同様のコメント多数)
- ◇ AA の可能性やマーケットの規模で US が最優先とされた
- ◇ 相談資料は英語で global 版が作成され、US での相談が一番早かった(同様のコメント多数)
- ◇ 欧州・米国での相談を優先して実施し、日本はその対応を見てからの相談となった(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ FDAEMA の相談結果を踏まえて、本邦の開発計画を策定する必要があったため
- ◇ 日本での開発するかどうか FDA/EMA 相談時に決まっていなかったため
- ◇ 欧米の試験に日本が参画する計画で主として実施する地域の規制当局である FDA/EMA との相談を優先して実施した(同様のコメントが計 5 件)
- ◇ 欧米での試験に日本が参画する計画のため、FDA との相談を優先した。なお、前期第 II 相試験と開発段階が早期のため EMA 相談は実施していない
- ◇ 米国が主導する国際共同試験であったため、FDA との相談を最初に実施した(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ US に優先度を置いていたため、FDA 相談が終わる頃に PMDA 相談を計画した(同様のコメントが計 2 件)
- ◇ 国際共同試験が US 中心で実施する予定であり、FDA または EMA の見解によっては試験計画を大きく変更する可能性があったため
- ◇ 国際共同治験での申請のため、海外規制当局への申請を優先して実施した
- ◇ 日本は欧米規制当局の考え方が示された後に面談する計画とした。結果、EMA は EMA の都合で遅れたため、FDA→PMDA→EMA の順となった
- ◇ FDA との相談により大枠が決定されるため、PMDA は FDA 後に実施した。EMA は準備に時間を要したため PMDA の後となった
- ◇ 小児の試験であるため、海外が先行して海外規制当局と相談をしていた
- ◇ Global 主導の開発であるため海外での相談が先行していた(同様のコメントが計 4 件)
- ◇ PMDA 相談中に FDA のフィードバックを PMDA と共有することが重要と考えたため
- ◇ Global の方針(日本は後回し)

《1 番目が EMA のケース》

- ◇ 小児の試験であるため、海外が先行して海外規制当局と相談をしていた(同様のコメントが計 3 件)
- ◇ FDA とは相談しない案件だったため、EMA と日本の順番だけを検討した。結果的に EMA が 10 日間ほど先行する形となったが、こちらの意識としては同時のつもりだった
- ◇ 欧米の試験に日本が参画する計画で主として実施する地域の規制当局である FDA/EMA との相談を優先して実施した
- ◇ EMA と FDA はほぼ同時期であり、特に順番について理由はない。PMDA に関しては、タイムラインに比較的余裕があり、FDA 及び EMA の結果を踏まえて PMDA 相談の時期を設定することができたため
- ◇ できれば PMDA との相談前に、FDA/EMA の意見を確認できるようなタイミングを狙っていた
- ◇ PMDA との EoP2 相談後に実施した EMA との相談結果が EoP2 相談での PMDA との合意内容に影響したため、追加相談として実施した

Q10:FDA/EMA 見解との相違

Q8 で FDA/EMA の相談を受けた方(1~3 を選択)に伺います。PMDA の見解との相違はありましたか。FDA/EMA のいずれか一方でも相違があれば「1. あり」とご回答ください。

1. あり 2. なし 3. FDA/EMA の見解は本調査時点でまだ入手していない

「1. あり」を選択された方

見解の相違の内容, 最終的にどのようにご対応されたかを自由記載の欄にご回答ください。(例: 医療環境の違いにより主要評価項目の受入れが異なった, 日本は国際共同試験には参加せず国内試験を別途実施することにした, 等)

PMDA と FDA/EMA 間の見解の相違については, 「あり」が 52.1%, 「なし」が 47.9%であり, 「なし」の割合が前回に比べ増加した。「あり」とされた回答について, 見解の相違としては, 医療環境や承認要件の違い等による試験デザイン(主要評価項目, 選択除外基準, 対照群等)の受入れ可否に関するものが多かった。

見解の相違があった場合の最終的な対応は, 欧米当局の指示に従ったケースもあれば, PMDA の指示に従うケース, PMDA の了解が得られなかったため国際共試験による開発は断念し, 国内試験を別途検討するケースなど様々であった。



相違	2022 年度調査		前回調査 (2020 年度調査)	
	件数	(%)	件数	(%)
1. あり	50	(52.1)	27	(36.5)
2. なし	46	(47.9)	46	(62.1)
3. 本調査時点で 未入手	0	(0.0)	1	(1.4)
合計	96	(100.0)	74	(100.0)

PMDA と FDA/EMA 間の見解の相違があった場合の相違の内容及び最終的な対応は、以下のとおりであった。

《主要評価項目等の有効性評価》

- ◇ 試験実施中の試験デザイン・主要評価項目の変更について、各局の受入れが異なった
- ◇ 主要評価項目の受け入れ可否が異なった。対応については検討中
- ◇ FDA/EMA で受け入れられたものが、PMDA には受け入れられなかった
- ◇ 主要評価項目の受け入れが異なったが、日本は予定どおり国際共同試験に参加することとした
- ◇ 海外とは主要評価項目に関する見解に相違があったが、国際共同試験に参加する事は否定されなかったため、日本も国際共同試験に参加する事となった
- ◇ 主要評価項目及び評価方法に対する見解が異なった。試験デザインを変更せず実施することにした
- ◇ 主要評価項目が受け入れられなかった。他の当局では受け入れられたため、試験のデザインの変更はなし、副次評価項目を日本用に追加して対応した
- ◇ 主要評価項目が受け入れられなかった。Japan specific に副次評価項目を設定し、申請前相談にて申請可否を議論することとした
- ◇ 有効性評価項目の評価基準に変更あり。FDA/EMA からのコメントを反映した評価方法に変更することを PMDA にも一報した
- ◇ 臨床的意義を示すにあたり、FDA/EMA とは異なる評価指標における評価が求められた (PMDA が求めた評価指標が最も conservative であった)
- ◇ 有効性の指標について異なる見解が出された。PMDA からの見解の方がより受け入れやすいものだった

《症例数》

- ◇ PMDA は日本人症例の最低組み入れ数を設定するように求め、日本人最低組み入れ目標を立てた

《用法用量の設定》

- ◇ 用量設定に関する受入れについて見解が異なった。対応については検討中
- ◇ 第3相臨床試験における用量選択について、見解の相違あり。事後相談を実施し、新規に減量基準を設定した上で選択した用量で PMDA と合意に至った
- ◇ 医療環境の違いにより併用薬の用法用量の設定について見解が異なった。海外の用法用量に合わせる設定として日本も国際共同治験に参加した
- ◇ Dose Escalation の方法について見解の相違があった

《その他の試験デザイン関連》

- ◇ 対照群及び評価方法に対する見解が異なった。試験デザインを変更せず実施することにした
- ◇ Contribution of component に関して見解の相違があったが、対応については検討中
- ◇ FDA/PMDA からの見解で一部合意できない事項がそれぞれあったが、相談者の見解で試験を進めることとした
- ◇ 試験デザインについて見解の相違があったが、デザインを再考のうえ、各局と再度相談を実施した
- ◇ 各局の見解をもとに試験デザイン及び開発計画の見直しを行った

- ◇ CDx に関する見解の違いであり、治験の実施に影響するものではなく、特に問題は無かった
- ◇ 海外規制当局の指摘による試験デザインの変更が生じた。日本でも当該変更を実装するため、事前面談を活用し、PMDA と情報共有を進めた
- ◇ PMDA からは相談内容はすべて受け入れられたが、FDA からは主要評価項目を含め試験デザインについて相談～IND 申請中にかけてフィードバックを受けた。PMDA との相談終了後に FDA 見解に基づき治験実施計画書を改訂したが、改訂内容はいずれも機構見解に影響を与えるものではないと考えられたため、事前に PMDA に情報共有した上で、日本もそのまま試験に参加した
- ◇ PMDA からは指摘されなかった主要評価項目を含めた試験デザインについて、FDA からは EoP2～IND 申請中にかけてフィードバックがあった。PMDA 相談の後に治験実施計画書を改訂したが、改訂内容は機構見解に影響を与えないと考えたため、PMDA には CTN 提出前に事前に改訂内容を共有した上で、追加相談せず試験に参加した
- ◇ PMDA のみ指摘：青少年(12～17 歳)を含む試験計画であり、成人(18 歳以上)と合わせて評価可能である点は合意されたが、青少年での有効性安全性を評価するため、できる限り多くの青少年患者を組み入れるよう助言があった
- ◇ FDA/PMDA に受け入れられ、EMA に受け入れられなかった点があった。EMA と追加相談を実施して受入可能との見解を得たため、国際共同試験を開始した
- ◇ 医療環境の違いにより対照群の設定について受け入れ内容が異なったが国際共同試験の計画は変更していない
- ◇ FDA/EMA の相談結果を受け試験デザインが大きく変更となったため、追加相談を実施した

《臨床データパッケージ》

- ◇ 臨床データパッケージの合意はできていないが、臨床試験にはこのまま参加する
- ◇ FDA から追加のデータの提出を要求された
- ◇ 追加試験の実施を求められ、日本用に別途試験を実施することにした
- ◇ 日本では配合剤においては配合意義が求められるため、引き続きの重要な検討課題とされた
- ◇ P3 試験について、実施の根拠に関する見解が異なり、EMA では追加試験が必要と判断され、PMDA では追加試験は求められなかった

《その他》

- ◇ 欧州は試験の最終結果を示して改めて相談という助言であった
- ◇ 日本のみ申請時期を再考することとなった
- ◇ FDA の見解を優先した
- ◇ 非臨床(安全性)に対する見解が異なった
- ◇ 他の当局がその段階での情報でもある程度の見解を示している相談事項に対し、「成績が得られた段階で改めて相談すること」とされ、具体的な意見が全く得られなかった相談事項がいくつかあった。若しくは相談事項を事前に削除することを求められた
- ◇ 開発理由の受け入れ度合いやニーズに地域差があり、各当局での見解が異なった。対応は検討中
- ◇ accelerated approval 可否についての意見が分かれた。可能と判断された US のみ申請を行った
- ◇ ガイドラインや対象患者の違い等により、国際共同試験による開発計画は断念し、将来的に日本は国内試験を別途検討することとなった

- ◇ 医療環境は、海外と同じではないという観点での懸念点が示された
- ◇ 効能・効果について、一部他の当局と違う指摘があった
- ◇ PMDA からの助言に合わせ日本独自の安全性報告プロセスを構築し、予定どおり国際共同治験に参加することとした

2-1-3. 相談記録

Q11：相談記録のあり方についての意見・要望

相談記録のあり方全般について、意見・要望があれば、自由記載の欄にご回答ください。

相談記録のあり方全般について、挙げられていた意見・要望は以下のとおりであった(32件)。アンケート結果を踏まえると、対面助言当日の議論内容の相談記録への反映については改善要望が多く、当日の議論をどこまで／どのように議事録に反映させるかについてPMDA側と相談者側の考え方に温度差があると考えられる。また、相談記録確定までの期間の短縮、機構見解の背景の記載、相談記録の項立ての改善などの要望があった。

《良かった点》

- ◇ 相談記録確定まではスムーズで、記載内容も問題なかった(第5分野、第6分野の2、血液製剤、同様のコメントが各1件)
- ◇ 公平な記載であり満足している(第3分野の1)
- ◇ 以前と比べて、協議した内容が詳細に記録されており、当日どのような議論がなされたかを正確に把握できるようになった(第3分野の1)
- ◇ 相談者側の修正希望について細やかに議論することができ、最終的に相談者側の意向を汲み取って改訂いただき満足です(抗悪)
- ◇ Web面談になり、最近、相談記録の記載がシンプルになってきており、個人的には好ましい(抗悪)
- ◇ 相談者側の修正内容もある程度反映いただき、確定までの日数も問題なかった(第6分野の2)
- ◇ 機構意見のやり取りの結果、書面对応とすることが決まった後で、PMDAから口頭で追加のコメントがあった。このコメントは面談を要するものでなかったが、正式な記録とするため、相談記録に追加で残してほしい旨を依頼したところ、審査部内で議論いただき最終的には相談記録に記載していただけた。このような柔軟な対応をしていただける点はありがたかった(第2分野)

《改善要望》

- 1) 対面助言当日の議論の相談記録への記載について
 - ◇ 記録案v2では、当日の議論がかなり省略された／記載されていない内容であったので、議論した内容は記録に残していただきたい(第1分野、第4分野で各1件、抗悪2件)
 - ◇ 対面助言での議論が明確に相談記録に反映されず、行間を読むような記述に留められ、グローバルへの説明時等には不明瞭な内容となった(第1分野)
 - ◇ 相談記録に記載が適さない事項の判断が統一されているのか不明である(抗悪、同様のコメントが計2件)
 - ◇ 当日の議論がこみ入った場合でも、相談者として重要視している部分が記載されていなかったり、当日協議した際とニュアンスが異なる場合があるので、もう少し相談者側に寄り添った記録を作って欲しい(抗悪)
- 2) 相談記録の記載内容・項目について
 - ◇ 抗悪は相談品目が多いと言う状況は理解できるが、相談記録にPMDAが当該見解を出した背景も簡単に記載いただけると理解が確かになりありがたい(抗悪)

- ◇ 対面助言当日の PMDA の見解として当日明確に言及されなかった内容が議事録に記載された。相談記録案の確認の過程で、PMDA の担当者に複数回にわたり確認、削除の申し入れ等を行い最終的に当日の伝達事項とは区別して記載されたものの、面談後の伝達となったため相談者内で混乱が生じた。相談の議論の中で明確な見解を伝えていただきたい(抗悪)
- ◇ 書面回答の場合、電話で確認した質疑応答記録についても記録に残すことを検討してほしい(バイオ品質)
- ◇ 結論がはっきり出ているものについては、相談記録に明確な表現で記載して欲しい(海外担当者に説明する上で助かる)(ワクチン)
- ◇ 相談記録の項立て(面談前の機構見解や照会事項に対する回答のやり取りと、面談当日のやり取りの記載)が、わかりにくい。項立ての記号の使い方も細かく、英訳するとさらにわかりにくくなる(第1分野)
- ◇ 相談事項の大項目(相談事項 1,2,3…)毎に機構意見、相談者回答、当日議論の順番になっているが、小項目(相談事項 1-1, 1-2, 1-3)毎に、機構意見、相談者回答、当日議論で記載して頂けると相談記録がよりわかりやすい(第1分野、同様のコメントが計2件)

3) 相談記録の作成方法について

- ◇ PMDA が企業の対面助言資料や照会回答から抜粋した部分の誤記があり、その分は PMDA の方で QC していただきたい(抗悪)
- ◇ 機構見解への回答にて記載した内容について、相談記録の別添として使用するため、弊社での資料作成を別途依頼され、作成した(相談記録の別添作成は可能なかぎり PMDA にて対応いただきたい)(第3分野の1)
- ◇ 対面助言の実施要領通知 別添1 6. (2)には、「医薬品対面助言申込書の提出時に、同申込書の「相談内容の概略」欄の電子媒体…。なお、当該内容が A4 版複数枚にわたる場合は、別に A4 版 1 枚に要約を作成し、提出してください」とある。A4, 1 枚の提出は、相談記録の別紙に相談概要を添付するために要望されているのだと思うが、最近では、相当枚数のある相談資料概要が相談記録に添付されていることもあるので、A4 1 枚の提出が不要なら、通知を改訂して欲しい(抗悪)
- ◇ 相談記録の確認依頼はいつも PDF でいただくと思うが、Word でご依頼いただきたい。修正希望も Word でお伝えできるとお互い楽だろうと思う(血液製剤)

4) 相談記録確定までの日数について

- ◇ 書面開催の場合、相談記録は機構意見とはほぼ同じ内容なので、通常よりも少し早めに案を作成頂けると大変ありがたい(機構意見回答から案確認まで約1ヵ月かかった)(ワクチン)
- ◇ 相談日から時間が空くと、記憶が薄れるため、相談記録案をもう少し早く提供いただきたい(第5分野)
- ◇ 相談記録確定までの日数について、目安である一ヵ月程度での確定となっている。相談者側の修正希望がない場合や、1回の修正希望で追加のない場合などは確定までの期間の前倒しが可能と思われ、より早い時期に議事録が確定することを希望する(第5分野)

5) 相談記録作成後に協議できる仕組みについて

- ◇ 相談記録作成後にも柔軟に協議できる仕組みがあるとよい。例えば疑義が生じた際に気軽に相談できる機会(第5分野)

2-1-4. 満足度

Q12: 今後の方針が明確になったか否か

対面助言を実施した結果、今後の方針が明確になりましたか。

1. 明確になった 2. やや明確になった 3. どちらとも言えない 4. 明確にならなかった

「明確になった」が 189 件 (82.2%)、「やや明確になった」が 29 件 (12.6%)と前回の調査と同様、ポジティブな回答が 9 割以上であり、対面助言は今後の方針の明確化に有用であることがうかがえた。

明確化	2022 年度調査		前回調査 (2020 年度)	
	件数 (%)		件数 (%)	
1. 明確になった	189	(82.2)	227	(85.3)
2. やや明確になった	29	(12.6)	31	(11.7)
3. どちらとも言えない	8	(3.5)	5	(1.9)
4. 明確にならなかった	4	(1.7)	3	(1.1)
合計	230	(100.0)	266	(100.0)

Q13: 今後の方針が明確になったか否かの理由(複数回答可)

Q12 で選択した理由をお選びください(複数選択可)。

(明確になったと考える理由)

1. 会社の方針がすべての相談項目で受け入れられた
2. 会社の方針が受け入れられない項目があったが、PMDA との議論により今後の方針が決まった

(明確にならなかったと考える理由)

3. 受け入れられない項目があり、その理由の説明が得られなかった
4. 受け入れられない項目があり、PMDA との議論で今後の方針が決まらなかった

(上記以外)

5. その他(自由記載)

対面助言の実施により、会社の方針が受け入れられる、もしくは会社の方針が受け入れられない項目があったとしても、多くの場合で今後の方針が決まることが期待できると考えられる。また前回調査では見られた「3. 受け入れられない項目があり、その理由の説明が得られなかった」については、今回の調査では見られず、PMDA も理由の説明を心掛けていることがうかがえた。ただし、相談を実施したにも関わらず、今後の方針が決まらなかったとの回答が一部残っており、今後の改善が期待される。

方針の明確化 その理由(重複回答)	2022 年度調査	前回調査 (2020 年度調査)
	件数	件数
明確になったと考える理由 (複数選択可)		
1. 会社の方針がすべての相談項目で受け入れられた	107	96
2. 会社の方針が受け入れられない項目があったが、PMDA との議論により今後の方針が決まった	107	142
明確にならなかったと考える理由 (複数選択可)		
3. 受け入れられない項目があり、その理由の説明が得られなかった	0	2
4. 受け入れられない項目があり、PMDA との議論で今後の方針が決まらなかった	8	8
上記以外 (自由記載)		
5. その他	11	14
合計	233	262

「5. その他(自由記載)」で挙げられていた主な内容は以下のとおりであった。

Q12 の回答との関連	
1. 明確になった	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 相談項目以外の問題点について指摘され、その点に関するアドバイスをいただいたことから今後の方針が決まった ◇ 会社の方針が受け入れられない項目の論点が明確になった ◇ 会社の方針が受け入れられない項目があったが、PMDA との議論により何に対応しなければならないかが明確になった ◇ 微妙な Pivotal 試験結果をもって申請できるかを相談したが、相談事項に対してきちんとした回答が得られた
2. やや明確になった	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 議論は平行線であったが、少なくとも PMDA の懸念は明確ではあった ◇ 現時点での医療環境やエビデンスに基づくと、PMDA が受け入れないことを想定した上で面談を実施しており、PMDA の意見にかかわらず試験デザインは当初のものから変更せず進めた。一方、PMDA に継続して議論させていただくことに合意を得られたので、一定の成果はあったと考える
3. どちらとも言えない	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 保守的な意見であったため(同様のコメントが2つ) ◇ 提示した試験デザインの適切性については機構見解がある程度示されたが、相談した疾患領域の薬剤が国内で開発中であることを理由として、現時点で臨床データパッケージに関して明確な判断はできないという回答しか得られなかった
4. 明確にならなかった	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 臨床試験成績、データが十分に得られていない現時点では臨床データパッケージ等の妥当性を議論することは困難と言われ、相談内容の見直しを要求されたため ◇ 相談時点の Step での ICH ガイドラインでは議論ができないとのことで、対面助言で目的とした議論が全くなされなかった(事前面談では議論可能という見解だったので対面助言を実施した)

**Q14:Q13 で「1. 会社の方針がすべての相談項目で受け入れられた」以外を選択された方
相談者の意見が受け入れられなかった場合の PMDA からの代替案の提示について**

Q14-1:相談者の意見が受け入れられなかった際, PMDA から代替案の提示はありましたか.

1. あり 2. なし 3. その他(自由記載)

相談者の意見が受け入れられなかった場合の PMDA からの代替案の提示に関して、「提示あり」が 84 件 (75%), 「提示なし」が 21 件 (19%) であった. 相談者の意見が受け入れられなかった場合, 約 2 割のケースで代替案が提示されていなかった.

「その他(自由記載)」7 件(6%)で挙げられていた主な内容は以下のとおりであった.

- ◇ 代替案ではなく, 考え方についての提示がされた
- ◇ PMDA の懸念点が示された
- ◇ 相談事項としていなかったことに対するアドバイスが得られた

Q14-2:Q14-1 で「1.あり」を選択された方

PMDA から代替案が提示されたのはどのタイミングですか。

1. 照会事項
2. 機構見解
3. 対面助言当日
4. 事後相談
5. その他(自由記載)

代替案を提示されたタイミングは、「機構見解」が 60 件(71.4%)で最も多く、次いで「対面助言当日」16 件(19.0%), 「事前面談」4 件(4.8%), 「照会事項」3 件(3.6%), 「機構見解に対する回答提出後」1 件(1.2%)であった。約 7 割のケースで機構見解時に代替案が提示されていた。

代替案が提示されたタイミング	件数 (%)	
1. 照会事項	3	(3.6)
2. 機構見解	60	(71.4)
3. 対面助言当日	16	(19.0)
4. 事後相談	0	(0)
5. その他(自由記載)		
事前面談	4	(4.8)
機構見解に対する回答提出後	1	(1.2)
合計	84	(100.0)

Q14-3:Q14-1 で「2.なし」を選択された方

PMDA から代替案が提示されなかった結果、問題はありましたか。その理由も具体的にご回答ください(自由記載)。

1. 問題があった
2. 問題はなかった

PMDA から代替案が提示されなかった結果、「問題があった」が 8 件(38%)、「問題はなかった」が 13 件(62%)であった。問題があった理由としては、最終的な方針が決まらなかったこと等が挙げられていた。問題がなかった理由としては、相談者側から代替案を提示し、最終的に合意が得られたこと、代替案を出しようがない内容であったこと等が挙げられていた。

PMDA から代替案が提示されなかった結果、問題はあったか	件数 (%)	具体的内容 (自由記載)
1. 問題があった	8 (38)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 何が受け入れ可能なのかを模索して、度々相談者の提案を提示することになった ✓ PMDA 側の意向が分かりにくい部分もあり、事後相談を実施した ✓ 申請前相談であったが、申請に向けた方針が確定できずにいる ✓ 相談者側から代替案を提示したものの、それも受け入れられず、社内で引き続きの検討事項となった ✓ 追加試験の要否が明確にならなかった ✓ 今後の方針が決まらず、開発を一時中断することになった
2. 問題はなかった	13 (62)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 事後相談で企業としての方策を示した ✓ 相談者の考えていた課題が PMDA の見解により示されたため、代替案は不要であった ✓ 機構見解を受け、こちらから方針を示し、相談当日に合意できた ✓ 相談者から代替案を提示し、助言をいただいた ✓ 代替案を出しようがない内容であった
合計	21 (100)	

Q14-4:相談者の意見が受け入れられない場合の機構の対応に関して、意見・要望があれば、自由記載の欄にご回答ください。

相談者の意見が受け入れられない場合の機構の対応に関する意見・要望として、以下が挙げられていた。

《代替案の提示、内容について》

- ◇ より具体的な代替案を提示して頂きたい
- ◇ 相談者から提示した代替案についても受け入れられない場合、PMDA から落としどころについての提案、何らかのアドバイスを頂きたい
- ◇ 相談事項が受け入れられない場合、代替案を作成するのは相談者の責務であることは理解している。ただ、代替案を作成するにあたり方針の方向性等を提示いただけると、相談者での代替案の検討もスムーズに行うことができ、有意義な面談となる

《代替案の提示タイミングについて》

- ◇ 対面助言当日に代替案を提示頂いたが、機構見解等の事前のタイミングで提示いただけると、社内の方針が立てやすい
- ◇ 開発の是非に関わるようなクリティカルな指摘がある場合は、事前面談の場で強く言って頂きたい

《その他》

- ◇ 照会事項発出時に、照会内容の背景について補足説明してほしい(例:PMDA 内で●●に関する受け入れ可否を検討しているため、この照会を出している)
- ◇ 別途対面助言で詳細な議論が必要になる場合においても、事前見解に対する相談者の回答内容に対し、今後の検討課題や追加説明が必要な点等を示して頂きたい
- ◇ 対面助言当日に議論が込み入ることが多いため、PMDA 担当者とは別途オフラインで相談させて頂きたい

Q15:満足度

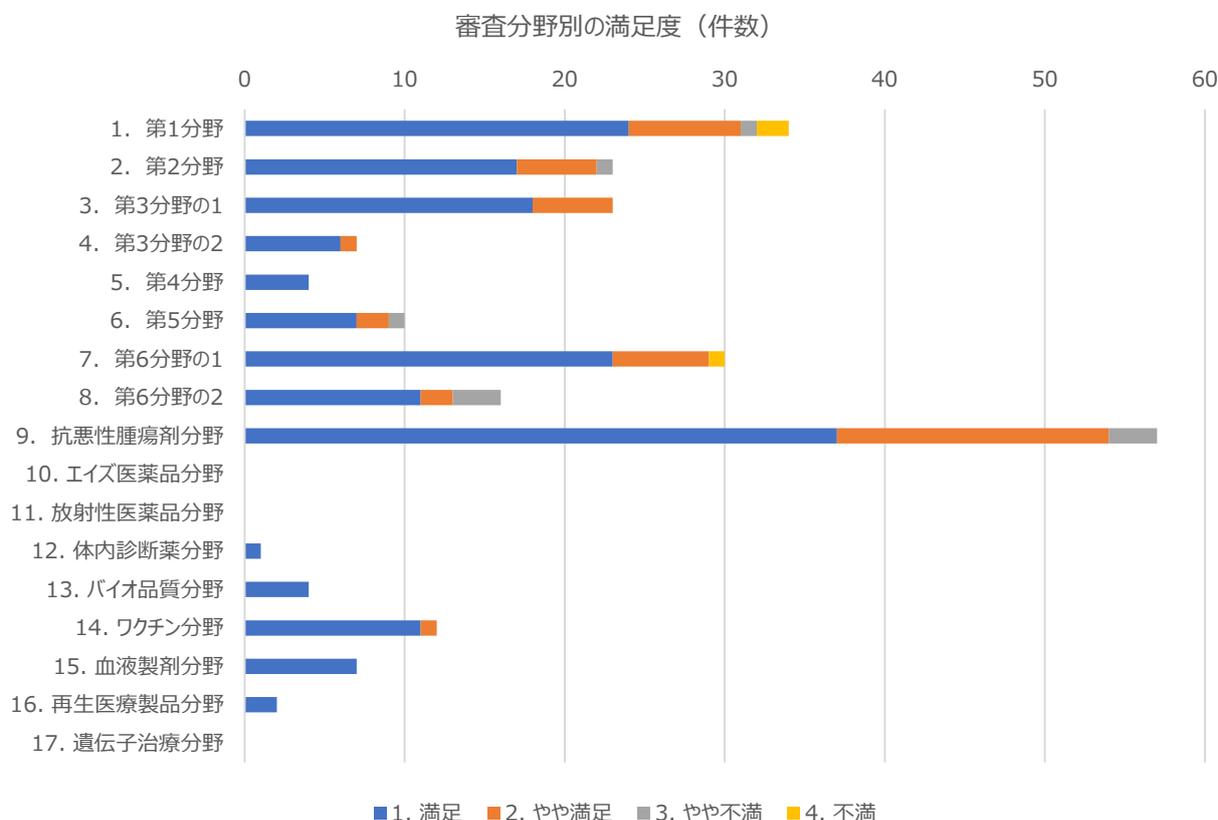
本対面助言の満足度をお選びください。

1. 満足 2. やや満足 3. やや不満 4. 不満

その理由を自由記載の欄にご回答ください。(例:治験相談を通して、相談者、審査チームの双方の理解は深化した / しなかった等)

「満足」が172件(74.8%)、「やや満足」が46件(20.0%)と、前回の調査と同様、対面助言の満足度が高いことがうかがえた。相談を通して今後の方針が明確になったので「満足」、相談者側の意見が一部受け入れられなかったので「やや満足」との回答が散見された。相談を通じたPMDA担当官とのコミュニケーションや機構見解の背景・理由の詳細な説明、PMDAによる代替案提示の有無が満足度に影響していると考えられる回答も見受けられた。

満足度	2022年度調査		前回調査 (2020年度)	
	件数	(%)	件数	(%)
1. 満足	172	(74.8)	192	(72.2)
2. やや満足	46	(20.0)	56	(21.1)
3. やや不満	9	(3.9)	14	(5.3)
4. 不満	3	(1.3)	4	(1.5)
合計	230	(100.0)	266	(100.0)



対面助言の各々の満足度における理由として挙がっていた主な内容は以下のとおりであった。

《満足》

- ◇ PMDA の考えが明確となった。PMDA から明確な回答が得られ、今後の対応方針が明確になった
- ◇ 完全に企業見解が受け入れられたわけではないが、十分な議論を経て、ある程度の譲歩はしてもらえたため、社内でも納得感のある結果となった
- ◇ 治験相談を通して、相談者、PMDA の双方の理解が深化した

《やや満足》

- ◇ 受け入れられなかった項目についても一定の説明がなされたため
- ◇ カメラオンにしてくれなかった点
- ◇ 相談者の意見が受け入れられない項目があったが、PMDA との議論により今後の方針が定まったため
- ◇ すべての点で合意を得られることはなかったが、一方で踏み込んでコメントいただけた相談内容もあり、実施してよかったと考えている
- ◇ 一部の相談項目については結論が出ず、今後も PMDA との継続議論が必要となったため
- ◇ 試験デザインに関する相談事項の一部は PMDA に受け入れられなかったが、当日議論の中で PMDA 代案について具体的に議論ができ、PMDA の考え方について理解を深めることができた

《やや不満》

- ◇ 担当官からの説明と、当日の審査役の剣幕とに差があった
- ◇ 照会事項の出された背景、回答として期待している内容がわかりやすい照会事項とするか、担当官から補足いただくなどの対応がほしい
- ◇ 機構見解、代替案、開発方針は明確になったが、機構見解の根拠がやや不明確にも関わらず、計画時よりも長期の試験実施を余儀なくされた

《不満》

- ◇ 機構見解で説明が不足していることが指摘されたが、追加説明を求める照会事項は発出されなかったこと
照会事項の内容が、機構見解や対面助言当日の議論に関係ないものだけであり、機構見解が唐突な内容であった
- ◇ 開発計画の見直しを勧めるという機構見解がでるほどの認識の乖離があれば、事前面談において合意は難しい旨の意見があっても良かった
- ◇ 相談事項に対する機構見解を何ら得ることができなかった

Q16: 対面助言の満足度をより上げるための要望

実施した相談について、満足度をより上げるために PMDA に求めるものは何ですか(プルダウン選択, 複数選択可).

1. 相談事項以外の部分に対する助言(自由記載)
2. 相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案(自由記載)
3. その他(自由記載)
4. 特になし

「4.特になし」以外を選択された方

選択した理由または具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

対面助言の満足度をより上げるための要望として、Q14 の PMDA からの代替案の提示、Q17 の担当官とのコミュニケーションに関する事項(背景などの補足説明)の他に、以下の要望が特徴的であると思われた。

- ◇ 相談事項が受け入れられない具体的な根拠説明
- ◇ どのようなデータ・説明があれば受け入れ可能となるかの助言
- ◇ 対面助言当日の議論の重視
- ◇ 前例にとらわれない科学的な議論・助言
- ◇ 相談事項以外の部分に対する助言

「1. 相談事項以外の部分に対する助言」の自由記載

《相談事項以外の部分に対する助言》

- ◇ 相談事項以外の部分に対する助言についても、可能な範囲で議事録に記載いただきたい
- ◇ 相談事項以外についても、親身に助言をくださり感謝している
- ◇ 現時点での開発パッケージ案に対する PMDA の考えなど、P1 開始に関する事項についても、指摘して欲しい
- ◇ 相談事項以外でも相談資料中に記載している内容で、気になる点があれば相談記録に残らなくても良いので教えてもらえると、開発の予見性を高めるために有益でありありがたい

《その他》

- ◇ 機械的な対応だけでは実りのある相談とは言い切れない。お互いよりよい相談後の対応が実現できるように時間をかけて柔軟な相談ができる自由さがあるといい
- ◇ 照会事項・機構見解/照会回答・会社見解など的大まかなスケジュールを先に示していただきたい

「2. 相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案」の自由記載

《受け入れられない理由》

- ◇ 受け入れられない場合の根拠をもう少し提示頂きたい
- ◇ 理想的な開発パッケージを揃えることが難しい中で、どのようなデータ・説明があれば受け入れ可能なのかを助言頂けるとありがたかった
- ◇ 過去に確認・合意した項目・内容とは異なる機構見解を発出される場合は、その背景及び理由を詳細に提示いただけるとありがたい

《代替案の内容》

- ◇ 代替案をもっと明確に示してほしい(同様の意見が他に 1 件あり)
- ◇ 考え方のみでなく、代替案も提示いただけるとありがたい

- ◇ 相談事項が受け入れられない場合は相談者側からも代替案を示してはいるが、その代替案も受け入れられない場合は、相談者側でそれ以上の対応を考え付くことは難しいため、今後の方針について何らかのアドバイスはいただきたい
- ◇ 代替案が出せるかは状況によるが、相談者側で Feasible と思われる代替案が提示出来るのであれば有難い
- ◇ 代替案の提案はあったが、至極まっとうで保守的な(相談者側でも一旦は検討したような)案であった。当該開発品目/対象疾患における有用性等も考慮のうえ、より効率の良い開発手法についても積極的に検討いただきたい
- ◇ 会社の方針が受け入れられなかった背景として、本剤に限らず別途行政対応を要する案件が含まれていたが、それらを取捨する形で適切な代替案について意見交換することができたことは有意義であった。代替案の検討に際しての意見交換こそが満足度の決め手となる
- ◇ 相談事項が受け入れられない場合、代替案を作成するのは相談者の責務であることは理解している。ただ、代替案を作成するにあたり方針の方向性等を提示いただくと、相談者での代替案の検討もスムーズに行え、有意義な面談となる
- ◇ 開発方針に課題が多いため、計画の見直しを勧めるというコメントのみであり、計画の問題を指摘されているだけでは、どのような改善策、方向性で考えればよいのか解決の糸口が見つけられなかった。終始平行線であり、建設的な議論にならなかった。原則論でもよいので代替案を示してほしい
- ◇ 現時点で、受け入れられないことは理解できるものの、将来的に受け入れ可能と判断するためにどういった情報が追加で必要なのか、また、治験デザインを多少工夫することで改善する代替案を具体的に提示していただくと大変ありがたい。FDA はそのようなコメントをされていた

《対面助言当日の議論》

- ◇ 追加の対面助言の要否は、事前見解の時点ではなく、対面助言当日の議論を踏まえ、判断して頂けると有難い
- ◇ PMDA からの代替案は概念的であったため、より具体的な代替案を機構意見に対する相談者回答内で示したところ、面談当日に PMDA から一部受け入れられないというご意見をいただいた。相談者回答に受け入れられない部分がある場合には、どこが面談での論点になりうるかを事前に相談者へ伝達いただくとありがたい(当日の建設的な議論の準備のため)
- ◇ Web 開催となり当日用スライドにバックアップを使用できなくなってしまったのが不便。当日スライドの事前提出の必要性は理解するが、当日バックアップスライドを提示することも許容してほしい

《その他》

- ◇ 相談事項に対し、現時点の Step の ICH ガイドラインで意見を述べるのが困難と考えているのであれば論点整理のための事前面談の段階でその旨、伝達してほしい
- ◇ 相談事項が受け入れられない場合、PMDA 側から代案を提示いただく時期を、照会事項や機構見解発出時など、早めていただきたい。早めていただくことで、相談者側も事前に代案を検討することができ、対面助言当日の議論がより有意義なものになると考える

「3. その他」の自由記載

《議事録》

- ◇ 今後の開発の参考にもなるため、少なくとも、参考とすべきガイドラインがない相談内容に対しては、相談者見解を了承した場合でも、「相談者の説明を踏まえ、受入れ可能」といった記載ではなく、了承した具体的な背景、根拠を記載して頂けると有難い

《機構見解》

- ◇ 現時点で、相談者の提案を否定するものでなければ、「受け入れの可能性はある」という主旨の見解はだしていただきたい
- ◇ 今回の事例は追加相談であるため書面での着地となり、比較的満足度が高かったが、実際にはその前の相談で多くのものが受け入れられていない。代替案の提示や、頑なに前例と同じことを要求する姿勢に終始し、もう少し現在の状況や科学的な観点で助言がほしい面はあった
- ◇ 疾患のおかれている状況により、医学専門家の先生(学会等)の見解を受け入れていただける余地があると、相談時の結論が少し柔軟になると思う
- ◇ 相談当日での機構意見を正しく理解できるための明確な説明をしていただきたい
- ◇ データや試験計画の詳細が決まっていない段階でも、それを踏まえた現段階の見解を可能な範囲でもらいたい
- ◇ PMDA の考えの背景に関して、対面助言までに、口頭でも良いので、もう少し丁寧な説明があると企業も検討がしやすいと思われる
- ◇ 現時点での PMDA 見解(将来的に変わる可能性があったとしても)を可能な限り示してほしい
- ◇ 申請パッケージに関する相談に対して、もう少し早い段階から相談に載ってほしい。Ph2 終了後相談の段階で、ph3の結果がないので回答できないと言われてしまう。「Ph3 の結果が予想とおり良い結果が得られたら」を前提にして、試験の種類や本数が申請に求められる requirement を満たしているかという観点で回答できるのではないかと思う

《スケジュール、プロセス》

- ◇ 照会事項発出から回答提出までの期間、機構見解発出から会社見解提出までの期間などタイムラインが非常に短い
- ◇ 相談資料中の記載では説明が足りないと考えるのであれば、照会事項を発出するなどして、追加の説明をする機会を与えていただきたい
- ◇ 照会事項の出された背景、回答として期待している内容がわかりやすい照会事項とするか、担当官から補足いただくなどの対応がほしい
- ◇ 対面での面談を復活することを検討してほしい

《相談実施後》

- ◇ 相談時から変更があった場合の確認が対面助言後相談でできるようにしていただきたい
- ◇ 対面助言での議論の内容を審査時にも参照して頂きたい

《事前面談》

- ◇ 対面助言前に相談内容の整理のために実施する事前面談において、対面助言資料中に追加で説明してほしい項目がかなり多く、メモを取るには限界があった。分量が多い場合には書面やメール等で補足いただくことを検討いただきたい
- ◇ 品質相談の場合事前面談を求められるので、品質相談の場合は原則事前を実施する旨を入れてもいいのかもしれない

2-1-5. 担当官とのコミュニケーション

Q17: 担当官とのコミュニケーション

担当官とのコミュニケーションについて気が付いたこと、あるいは、さらによりよいコミュニケーションのための改善点、提案があれば、自由記載の欄にその内容をご回答ください。

担当官とのコミュニケーションについての改善点、提案として挙がっていた内容は以下のとおりであった。ほとんどの事例でコミュニケーションに問題はないものと考えられたが、事前面談や対面助言での照会事項、機構見解のやり取りにおいて、相談者が PMDA の考えを適切に理解出来るよう、補足説明等、丁寧なコミュニケーションをお願いしたい。

《補足説明》

- ◇ きめ細やかにメールや電話で確認を頂けたため、対面助言当日までにもしっかりと準備ができ、当日も議論ができた(他に同様な意見 25 件あり)
- ◇ 照会事項や機構意見について、細やかな背景説明をいただけて双方の理解が深まり、対応がスムーズにできた。また、その後の事後相談においても、企業側の状況を踏まえて適切に対応いただけたのが非常によかった
- ◇ スケジュール等を明確にいただき、スムーズに対応できたと思います
- ◇ 担当官が変わらなかったことで、気軽に連絡が取れる。また、書面には記録として残らない情報も場合により聴取することができる
- ◇ 特定の照会事項に対して、回答作成に必要な情報として、口頭で追加聴取したが、意図や背景、あるいは期待する回答といった文言以上の追加情報は得ることができなかった
- ◇ 担当官がどの程度 PMDA 内の意見をフィードバックしてくれるかによって、企業側はこれ以上 PMDA と議論を続けるか(諦める)どうか、判断してしまう事になるため、担当官と企業の薬事担当者間のコミュニケーションの重要性をご理解いただき、引き続き密なコミュニケーションにご協力いただきたい
- ◇ 担当官からの説明と、当日の審査役の剣幕とに差があった。私を含めて多くの web 参加者は驚いていた。PMDA 側と相談者側双方の窓口担当の問題とは思いますが、お互い経験を積むしかないのでしょうか
- ◇ 問い合わせには丁寧に回答いただけるが、先方からも伝わりづらいと思った内容は補足連絡いただくなどあったら良い
- ◇ 照会事項のやり取りや機構意見発出の前後などに、チーム内での論点などをもう少し知らせていただくとありがたい

《Web 面談》

- ◇ 「Web 会議による対面助言等の実施に関する基本確認事項」の提出が面談の直前であったが、現状では申込時に提出をできることになり、改善された。当該書面を提出しないと Web 会議アドレスの送付ができないようなので、面談直前である必要はなかったかと思う
- ◇ Web 面談であるため、コミュニケーションが不足する
- ◇ Web 会議の設定等でも、細やかにサポートして下さりありがたかった

《連絡方法》

- ◇ 担当官が在宅勤務のため、電話が繋がらないことがあった。照会事項発出後の勤務予定を事前に教えていただけると連絡を取りやすくなるかと思います(他に同様な意見 3 件あり)

- ◇ 主に電話での連絡が多かったです。他の審査部のようにメールご連絡いただき、補足事項についてはお電話でご説明いただければ有り難い(指示内容を正確に把握確認するために)
- ◇ 機構意見に対する補足の説明(それなりに分量がある)をメールで頂けたのが良かった
- ◇ PMDA から架電にて対応を指示される場合があった。PMDA の意図を双方理解するために、急ぎでなければメール等で連絡してほしい
- ◇ 相談者の回答に対する質問がある場合、可能であれば口頭ではなく文章(メール)でいただきたい(相談者からはメールと電話両方で伝えるようにしていた)
- ◇ 照会事項の意図など、メールだけでなく、ニュアンスを確認するためには時に、電話も使いながら、コミュニケーションを図ることは重要だと思った

《面談方法》

- ◇ コロナ禍ではなくなった場合、F2F の面談を設定いただきたい
- ◇ 必要なコミュニケーションは取れたので特に問題はなかったが、対面でお話しできた方がお互いの様子もわかり、よりよかったのではないかとと思う
- ◇ 製剤のサンプルを写真で示したが、伝わりにくい点があったため、このような場合対面で実物を見ながらの方が建設的に議論ができる

《その他》

- ◇ 担当官によって同じ相談しても違う結論になる可能性があると感じた。PMDA 内で横断的な勉強会や情報共有の機会を設けて欲しい
- ◇ 主担当が経験の浅い若手になることは理解しているが、企業側とやり取りするに当たり最低限のビジネスマナーの教育をしていただきたい
- ◇ 同時期に実施していた別の相談などについても、同じ審査部内で情報共有の橋渡しをしていただき、大変助かった
- ◇ 薬事担当者としてこんなことを言ったら PMDA 担当者を困らせてしまうのではないかと悩んだ末での交渉であったが思い切って打診したところ、快く応じてくださり限界はないように感じた。他分野でも同様の事例が増えるとよいと思った
- ◇ 今回、二つの相談について、担当官が 2 名いたが、窓口は 1 名の方に集約されていた。そのため、まとめて連絡を取れ効率的ではあったが、一方で、直接やり取りをしたほうがスムーズだったこともあったので、工夫して連絡先を変えるなども必要と思った
- ◇ 照会事項回答後、対面助言までに電話ベースで担当者から照会事項に該当するような内容を頻回に問い合わせをいただいた。対面助言にあたり、事前に作成した回答を整理して読みあげ、滞りなくプロセスを完了させるためのものであることは理解できるが、対面助言での discussion をもう少し視野に入れて対応してもいいのではないかと感じた。会社側も対面助言で discussion ができるよう、必要なメンバーを揃えており、それぞれのエキスパートがそれぞれの意見を言い合える場は貴重な場として利用すべきだと思う
- ◇ 担当者とのコミュニケーションはとれたと考えるが、本音の部分を示してほしかった。相談者の意見は理解できるが、追加の情報が欲しいとされれば、相談者としては前向きだと感じると思う。今の方向性では、おそらく出口はない、と本音ベースの言葉があってもよかったのではないかと(機構意見への備えができる)。可能であれば、それは事前面談で述べてほしかったのもある
- ◇ 照会事項の発出タイミングについては、依然として直前に連絡が来たり、予告より遅れるということがあるので改善してほしい

2-1-6. PMDA 側の対応で良かった点, 悪かった点, その他(意見・要望)

Q18:PMDA 側の対応で良かった点, 悪かった点, その他(意見・要望)

全体を通じて, PMDA 側の対応で良かった点, 悪かった点, その他(意見・要望)があれば, 自由記載の欄にご回答ください.

全体を通じて, PMDA 側の対応で良かった点, 悪かった点, その他(意見・要望)として挙がっていた内容は以下のとおりであった. 相談内容への PMDA 側の真摯な検討・指導姿勢, 相談実施方法の柔軟な対応については「良かった」と回答される傾向が見受けられた.

1. 良かった点

《補足説明, コミュニケーション》

- ◇ 照会事項に関する問い合わせを実施した際, 具体的な回答内容についてご指示いただけたため, 迷うことなく照会回答を作成することができた(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ 相談者意見提出後に, PMDA による受け入れ可否を速やかに連絡して頂いた
- ◇ PMDA 側の主担当の方と, 相談者側の窓口担当者でどれだけ踏み込んで情報共有ができるかが, 求めている議論ができるかどうかにかかっている. その点, 本相談の担当官とのコミュニケーションは非常に有用であった
- ◇ PMDA の担当者のコミュニケーションが良かった(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ 電話やメールで丁寧にご対応いただき, スムーズにやり取りできた
- ◇ PMDA が明確にしたい点や疑問点等を照会事項伝達時に電話で事前に伝えていただけたので照会回答の作成方針が明確になった(他に同様な回答 2 件あり)
- ◇ 照会事項や機構意見, 記録作成まで, きちんと背景や補足情報を説明して下さった. 書面開催+フォローアップ面談の形式はとても有意義だった
- ◇ 対応, 説明は丁寧で, 相談者の疑問にたいしてもしっかりと確認してくれた
- ◇ 照会事項や PMDA 見解の背景について問い合わせた際, PMDA 内で議論になった点などをより詳細に伝達いただき, その後の議論(照会回答, 企業見解)がスムーズにできた
- ◇ 担当官と電話, email でコミュニケーションがとりやすく, 不明点などは電話で説明していただけた
- ◇ 提示案に対し照会事項で再考する考え方の方向性を PMDA が示してくれた
- ◇ 背景, PMDA 側の考えている懸念等を説明いただけたのがよかった
- ◇ 気軽に関連事項について質問できた
- ◇ 密なコミュニケーションを通じて, 対面助言当日に実りある議論があつてよかった
- ◇ レスポンスが早かった
- ◇ 照会事項, 記録案など, 自主的にあるいはこちらからの確認事項に対し丁寧に説明して頂けた. 面談での議論の理解に齟齬があつたものの, 記録案作成の段階でお互いの理解を詳細に確認することができた
- ◇ 照会事項受領の時点で PMDA の考える方向性について共有があり, 早い段階から目線合わせすることができた
- ◇ 論点に係る事項のやりとりで非常に柔軟に対応して下さった
- ◇ 非常に密にコミュニケーションを取ってくださり, 部内の検討状況等を互いに共有できた
- ◇ 終始丁寧だった

- ◇ 照会事項等以外のコミュニケーションで、こちらの意図を組んでくださり、重要な意見をいただけたと思う
- ◇ 照会事項発出が予告より一日遅れたが、遅れる旨の連絡を受けたときに、照会事項の内容を一部教えていただけ、検討を開始することができた
- ◇ これまでは、照会事項を渡すまで一言も漏らさない担当官ばかりだったので、ダメもとで聞いたが、結果としてよかった

《機構見解, 代替案》

- ◇ 機構意見において相談者の方針が受け入れられてなかったことが分かったが、書面に記載がなかったものの代替案の例を教えて頂いたので、その例を基に再度会社方針を固めることができ、対面助言の場で合意に至ることができた
- ◇ PII 相終了時相談に引き続いて行われた追加相談であったこともあるが、最終的には相談事項に対しては多くの点で合意することができ、書面での助言にて完結できた
- ◇ PMDA の考え方が明確になった
- ◇ 会社の方針が明確になるような説明の方法や妥当性の論拠立てに十分な意見を示してくれた
- ◇ 機構意見・議事録が整理されていて読みやすかった
- ◇ 機構意見回答後に「機構意見回答に対する機構意見」を送付していただき、その内容で合意形成を図ることができ、書面对応に持ち込むことができ、負担が小さくなった。さらに、一連の書面でのやり取りの内容が相談記録にも反映させたため満足度が高い(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ 今後の方針について建設的な意見を聞くことができ、方針を定めることができたことが良かった
- ◇ 今後予定している治験計画届の 30 日調査を見据えた助言をいただいた
- ◇ 会社の方針が受け入れられない項目について、その背景には、本剤に限らず別途行政対応を要する案件が含まれていましたが、それらを取捨する形で、適切な代替案について意見交換することができたこと
- ◇ 議事録案確認依頼の際に、「初回治験計画届コメント」も提供いただいた
- ◇ 相談事項以外の事項についてもご助言いただき、大変有意義だった
- ◇ 相談事項以外の内容に関して、PMDA チーム内での議論内容(用法に関して申請時までには検討してみてもどうかといった内容)について、記録なしではあるが Web で伝達事項として助言頂いたため、その意図や背景を理解することが出来た

《相談後の対応》

- ◇ 対面助言終了後にも当時の議論について再度確認することができた
- ◇ 対面助言自体が書面で完了したためか、相談者が希望していた相談区分以外の内容について、対面助言の時間を事前面談という形に変更して PMDA 側の考えを示していただいた

《連絡方法》

- ◇ メール、あるいは電話によりタイムリーに意思疎通がとれてよい相談につながった。資料の共有についてもメールを利用して弾力的に対応いただいた(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ 電話でご連絡いただいた内容を、メールでも改めてご送付いただいたこと
- ◇ 電話だけだと書き留められない場合もあるため、メールでも送付いただきたい
- ◇ 在宅勤務中でも柔軟に対応して頂けた

《当日》

- ◇ web 面談当日に PMDA 側のカメラが ON であったため、雰囲気分かりやすく良かった
- ◇ 通訳の有無の確認が事前であり、海外の出席者に配慮いただいた

- ◇ PMDA 側のカメラを付けていただけた
- ◇ 対面助言では企業側に考える時間を十分に与え、終始建設的に協議を進めようとする姿勢であった
- ◇ 当日の議論では形式的なコメントではなく、相談者側に寄り添った議論をして頂いたので、会社として非常に有用な機構見解を得ることが出来た。(とても具体的に懸念や見解を述べて頂いたおかげで、社内で Filing に対する Regulatory POS や Risk の抽出がしやすくなった。) (他に同様な回答 2 件あり)

《スケジュール》

- ◇ 事前に提示された照会/見解の発出予定日に予定とおりに発出頂けたので、社内の調整、回答作成を円滑に行うことができた(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ 終始スムーズな対応により、早期に Web 会議による助言から 書面による助言に切り替えることができ、速やかな報告書確定に至ることができた
- ◇ 照会事項、機構見解の発出タイミングが予定とおりであり、予定が立てやすかった(他に同様な回答 3 件あり)
- ◇ 申請まで時間がない中での実施であったが、審査予定事前面談等のスケジュール調整に相談に乗っていただき、また記録確定時期についてもこちらの要望を聞いていただけた
- ◇ スケジュール等、フレキシブルに対応いただけた。また、事後相談に向けての手順に際しご助言いただけた
- ◇ スケジュールや今後の流れなど、こちらから確認せずとも PMDA 担当者から先んじて連絡を頂けてとてもありがたかった
- ◇ スピーディーに対応いただいた(他に同様な回答 1 件あり)
- ◇ タイムラインを常に明確化いただき、遅延が見込まれそうな場合には事前の連絡があり、先が見通せた
- ◇ 日程調整等は、フレキシブルに対応していただけた(他に同様な回答 3 件あり)
- ◇ 本申込み及び資料搬入より数日前に照会事項、事前見解スケジュールを提示頂けた(他に同様な回答 1 件あり)

《事前面談》

- ◇ 事前面談にて助言を頂き、資料に必要な情報を盛り込み、質問内容をより問題点にフォーカスした記載に出来たため、論点が整理され当日の議論が不要となった
- ◇ 本相談前の相談事項の整理等を目的とした事前面談において、PMDA からのリクエストが読み上げられたが、話すスピードが適当で、メモを取るのに苦労せずに済んだ
- ◇ 論点整理のために実施した事前面談において、詳細に内容をご確認ください、助言いただけたため、本相談での議論がスムーズであった
- ◇ 事前面談においてある程度明確に課題を PMDA より示唆してもらい、十分な検討の後の相談申込、結論に至った
- ◇ この相談の事前面談の際、メールで事前に意見を頂けたので、面談当日に準備をして臨むことができた
- ◇ 事前面談の時点で論点を示唆いただけた、照会・機構意見の間で十分な議論を行えたことで、対面助言実施日より前に見解を確認できた
- ◇ 事前に複数回の事前面談を実施し、見解の相違が無い状態となってから臨んだことにより、スムーズに終わった。本件のようなアプローチを理解頂き、受け入れて頂いたのは良かった

《その他》

- ◇ PMDA 側の方針が明確に決まっていた(明確に会社側の方針は受け入れられなかった)ためか、照会事項発出がなく、回答作成にリソースを費やす必要がなかった
- ◇ 相談事項が多かったが、1回の相談で対応いただいた
- ◇ 治験実施中であったため、遮蔽データに関する照会回答に考慮いただけた

2. 悪かった点

《当日》

- ◇ 審査部の部長からのご質問に対して、弊社担当者の回答中に、回答を遮られてしまい、回答を最後まで聞いていただけなかった(質問に対する直接的な回答ではないと判断されて回答を遮断されたと思うため、弊社の回答の仕方にも問題があった部分もあるが)。回答を最後まで聞いていただくようにしていただきたい
- ◇ 通訳の方法について当初より相談していたが、社内で通訳の手配後に、PMDA より WebEx での自動逐次通訳について案内され、もっと早くご教示いただきたかった
- ◇ 面談にて PMDA 側から発言があった内容に対する理解が相談者と PMDA 側で異なっていたことが、記録作成時に判明した。相談者側からも発言の意図を詳細に確認すべきであった

《議事録, 機構見解》

- ◇ 機構意見と議事 PMDA 意見録の構成が悪く、非常に読みづらい文章だった。ポイントを絞って簡潔に記載してほしい
- ◇ 相談内容として解析方法の選択について示し意見をもらえたが、他の解析方法(類薬で選択されたもの、相談資料中に説明あり)を選択することも可能か聞いたところ、紋切型に「相談事項にないため回答不可」とされた。もともと相談事項としていた解析方法の選択を支持する理由があった上で意見を出されているのであれば、その他の解析方法を支持しない理由は説明できるのではないかと疑問だった
- ◇ 追加相談に至る前段の相談で、主要評価項目を海外で確立された評価手法(本剤の海外開発で用いられた評価方法)を用いることを提案していたが、国内の既存薬(競合薬)と同様の評価を求められたこと(国内の前例に従うことを求められたこと)
- ◇ 計画変更に伴うリスクは会社リスクであるはずだが、それを許容しない PMDA 側の姿勢に納得感はなかった
- ◇ 照会事項で疾患背景、治験デザイン等の詳細について問い合わせがあったにもかかわらず、当日の見解は非常にシンプルであった。提供した情報に基づき、PMDA として受け入れられない背景や、改善案をもっと踏み込んで提示いただけるとより充実した面談になると思う
- ◇ 本音を提示してほしかった

《スケジュール》

- ◇ 照会回答後の機構意見を受領したのが、金曜日の 16 時以降であり、その回答を翌週の火曜日午前までとされた。相談者の回答期間を考慮いただきたかった
- ◇ 照会事項の回答作成と Global の休暇(Thanks giving)が重複していたため、スケジュールを伝えられた直後に調整依頼をかけたが対応いただけなかった
- ◇ 夕方に発出をしてその日を 1 日カウントして 5 営業日で回答提出期限を設定されるので困った
- ◇ 照会事項発出のタイミングについて、発出予定日の午後「本日の発出はない」との連絡を受けたが、一転して夕方(18:00 頃)に急遽照会事項送付の連絡があった。金曜日の夕方であったため社内担当者に連絡がつかず、対応の着手が遅れた

《連絡方法》

- ◇ 担当官が在宅勤務だと電話連絡ができなかったこと. メールで連絡はとれるが, はやり口頭で補足説明ができた方がよい

3. その他

《補足説明, コミュニケーション》

- ◇ 照会事項や機構意見の内容についての背景や懸念点についての説明をしてほしい
- ◇ 提案が受け入れられない場合は, 照会事項の段階で回答してほしい

《スケジュール》

- ◇ 照会事項, 機構意見発出が当初の予定から何度か後ろ倒しになり, 業務予定が立てづらかったため, 可能であれば余裕を持った発出予定をご連絡いただきたい
- ◇ 照会や見解入手時間がわからず, 時間が遅くなることもあるので, 発出時間は 18 時まで, それ以降は翌日というようにしてくれると助かる(短い期間での対応なので, なかなか難しいとは思いますが)
- ◇ 社内関係者への連絡もあるため照会事項/事前見解の予定は, 少なくとも前日には確実な情報が欲しい
- ◇ 照会事項, 機構見解の発出日及び回答提出日の予定をあらかじめ教えていただきたい

《PMDA 意見》

- ◇ PMDA からは代替案ではなくて, 現状のように, 考え方を示してもらいたい
- ◇ レジストリの活用の際には多少なりとも改修が伴うが, 特にレジストリが使用可能かの判断に関わる部分は早い段階で PMDA 側の考えを伺えると有難い
- ◇ 開発品目の製剤規格について, PMDA から特別な患者集団に対する投与量(最小規格)の開発検討に係るコメントがあった
- ◇ 今回の対面助言だけでなく, 過去の経験や他社審査報告書からも同様の機構見解を発出している印象である
- ◇ 相談者側からすると PMDA がどこまでの開発を求めているか見極めが難しいため, PMDA の統一見解や方針があるならば明確にしてほしい
- ◇ 議事録案確認依頼の際に, 「初回治験計画届コメント」も提供いただけた. これを参考に, 治験届の準備を行うことができるので, 今後も部署横断的に継続して対応していただけるとありがたい

《当日》

- ◇ 対面では思い切って聞けるかな・・・と思ったこともあった
- ◇ 今後は感染状況を鑑みつつ, 対面と Web の Hybrid 開催ができると良い

《連絡方法》

- ◇ 相談者の回答に対する質問がある場合, 可能であれば口頭ではなく文章(メール)でいただきたい
- ◇ 容器の形や堆積物について写真で示したが, 伝わりにくい点もあったようなので, そういった場合は対面で実物を見ながら議論することもいいかもしれない
- ◇ 正式な照会事項ではない問い合わせを電話で受けることがあるが, PMDA が確認したいポイントがよく把握できないことがあるため, 簡単な確認事項以外は口頭ではなく要点をまとめたメールでの連絡をいただきたい

《事前面談》

- ◇ 対面助言前の事前面談において、伝達事項を電話で連絡頂いたが、30分以上も伝達内容を書き取る必要があったため、書面でその内容の交付などをご検討いただきたい
- ◇ 対面助言まで進んでしまったので対応が難しかったのではないかと理解するが、そうならないように事前面談で課題有と提示してほしかった
- ◇ 事前面談、本相談、事後相談において、機構意見は読み上げになるので、できれば読み上げるスピードを遅くしてほしい(他に同様な回答 1 件あり)

《相談後》

- ◇ 申請前相談の担当者と、実際の申請後の審査を担当される方が異なる場合、連携をとって頂きたい

2-2. 上記以外の相談

Q1:各相談に対する、問題点、意見要望

2021年10月～2022年9月までの1年間に下記の相談区分で実施した相談事例がある場合、相談区分を選択の上、個々の品目毎にご意見、ご要望、問題点など、背景も含め具体的な内容を自由記載欄にご回答ください。

調査の対象範囲は、対面助言日(又は書面での助言日)が2022年9月30日以前の実施分とし、相談記録作成のステップに入っていないものも含まれます。書面による対面助言の場合は対面助言日程調整依頼書提出後に日程調整された日で対象期間のご判断をお願い致します。

相談区分

1. 医薬品拡大治験開始前相談
2. 医薬品疫学調査手続相談
3. 医薬品疫学調査計画相談
4. 医薬品条件付き早期承認品目該当性相談(申請前相談あり)、(申請前相談なし) →Q2-1 または Q2-2 へ
5. 医薬品先駆け総合評価相談 →Q3-1 へ
6. 医薬品開発パイプライン面談(令和2年4月1日追加)
7. 医薬品革新的製造技術相談(令和2年4月1日追加)
8. 医薬品データベース活用相談(令和2年4月1日追加)
9. 医薬品/再生医療等製品レジストリ活用相談(平成31年4月26日追加)
10. 医薬品/再生医療等製品レジストリ信頼性調査相談(平成31年4月26日追加)
11. 医薬品申請電子データ提出方法相談
12. 医薬品申請電子データ提出免除相談(平成31年3月29日追加)
13. カルタヘナ関連相談(平成31年3月29日追加)
14. 新型コロナウイルスワクチン戦略相談(令和2年10月1日追加)
15. 医薬品のBCSに基づくバイオウェーバーに係る相談(令和2年12月25日追加)

2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した下記の相談について、個々の事例毎に回答を得た。回答数は、159件であったが、このうち119件が「新型コロナウイルスワクチン戦略相談」であった。PMDAとしてもコロナ対策に全力で取り組み、多忙を極める中で、通常の相談をこれまでとお受け付けて下さったことに敬意を表したい。

相談区分	件数	主な意見、要望等
3. 医薬品疫学調査計画相談	4	✓ いくつかピントがずれているような照会があった
6. 医薬品開発パイプライン面談法相談	4	✓ 事前面談と同じような立て付けにもかかわらず、対面助言に近いフィードバックを頂けたので、大変有意義であった。また1つの面談にPMDAの複数部門が参加いただけのため、効率的であった
7. 医薬品革新的製造技術相談	1	✓ 初めての相談・技術のため、多くの質問を依頼したが、丁寧に対応いただけ、相談者が必要な回答を入手することができた

相談区分	件数	主な意見, 要望等
10. 医薬品/再生医療等 製品レジストリ信頼性調 査相談	2	<ul style="list-style-type: none"> ✓ レジストリ利用の計画段階の相談のため提出できる文書などに限りがあった。準備の観点からは、より踏み込んだ助言がいただけると有難かった ✓ 他社で同一レジストリを使用する DB 調査を予定しており同時期に本相談を実施予定であったが、信頼性保証部より本相談枠は調査ごとに実施する必要があり、二社合同実施は不可との指示があった。本相談枠は調査内容そのものの相談ではなく、レジストリの信頼性に係る相談のため、今後は合同開催も可能とすることをご検討いただけるとありがたい
11. 医薬品申請電子 データ提出方法相談	17	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 申請間際の相談であったが、日程について柔軟に対応していただいた ✓ 申請電子データ提出方法相談実施後に追加で確認しなければならない事項がでてきたため、同一品目で再度同相談を実施した。申請電子データ提出方法相談の相談手数料は高額ではないが、同一品目の同じ申請電子データに関して追加で相談する場合のために、「追加相談」の枠を新設し、相談手数料を減額していただきたい ✓ レガシーデータの提出のみでは許容されず、CDISC 形式が必要であるとの見解であり急遽対応することとなった。一律に CDISC 形式を求めるのではなく、試験の状況も踏まえ柔軟に判断いただきたいかった ✓ クリアに回答していただき大変有難かった ✓ 状況を踏まえた見解を頂けて良かった。また、対応方法についてもアドバイスを頂けたので良かった ✓ 例外的な電子データについて、具体的な格納場所の指示をいただいた
12. 医薬品申請電子 データ提出免除相談	6	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 状況を PMDA に理解いただき、柔軟な見解をいただけてよかった ✓ 照会事項無しで書面にて相談が済むこととなったが、機構見解、議事録のスケジュールを前倒して進めていただけて助かった
13. カルタヘナ関連相 談	6	<ul style="list-style-type: none"> ✓ こちらの状況を考慮して親切に相談に乗って頂いた ✓ 第一種使用規程承認申請に係る事前審査前相談を実施し、本相談での機構意見に基づき申請資料を整備し、円滑に承認申請を行うことができた。当該相談事例に対する意見、要望、問題点等はない ✓ 以前に他品目で相談した際には専門協議時期含む全体のスケジュール感について教えていただけて非常に助かったが、本事例ではあまりスケジュールについて詳細を教えていただけなかったため、もし確定事項でなくてもある程度の目安についてご教示いただけるとありがたい ✓ 「Ⅱ 遺伝子組換え生物等の調製に関する情報」の「5 遺伝子組換え生物等の検出及び識別の方法並びにそれらの感度および信頼性」の項に関し、対面助言の実施の如何に関わらず、いつも詳細を求められるが、当局として求める要件をガイドライン等で示して頂きたい ✓ カルタヘナ相談時の相談事項に対する PMDA のご意見が、現時点では情報が不足しているとのことであった。本相談前には事前面談を実施しています。事前面談は対面助言を円滑に進めるために相談項目の整理等を行うものであり、上記ご意見も細かくデータをみないと結論が出せなかったのだと理解しているが、相談事項に対して情報が足りているのか、否かについては事前にアドバイスをいただけますと助かる
14. 新型コロナウイルス ワクチン戦略相談	119	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 常に迅速に面談設定や回答の準備を頂け早期開発に大変役立った ✓ 相談申込み、資料提出、実施までを柔軟に対応いただけ、タイムリーに課題解決でき早期開発につながった ✓ 治験から承認申請までのあらゆる相談（細かいものも含め）を受けてもらえ、助かった

相談区分	件数	主な意見, 要望等
		<ul style="list-style-type: none"> ✓ 無料なこともあり当局での議事録作成は行われませんが、その分担当者とのコミュニケーションにより臨機応変に実施日を含むスケジュールを決められるなど、自由度が高くよい制度だった ✓ 広い範囲の相談に対して迅速に対応くださっており、開発を進める上で非常に効果的な相談体制です。内容によっては議事録に残った方が良いものもあるが、迅速性や利便性を考慮すると難しいとは感じている ✓ 早期の日程調整、不明点の口頭での問い合わせへの対応など、臨機応変に対応頂けるので、非常に有用である ✓ 新型コロナ関連品目ということもあり、対面とWebのハイブリット型面談を希望し認められた。日程調整も柔軟に対応いただき大変ありがたかった

以下の Q2, Q3 の設問に対する事例の回答はなかった。

Q2-1: Q1 で「4. 医薬品条件付き早期承認品目該当性相談(申請前相談あり, (申請前相談なし))」を選択された方のうち, 医薬品条件付き早期承認品目該当性相談(申請前相談なし)に該当する方

当該相談より以前に承認申請計画を合意する相談を実施しましたか。

1. 実施した
2. 実施しなかった

Q2-2: Q1 で「4. 医薬品条件付き早期承認品目該当性相談(申請前相談あり, (申請前相談なし))」を選択された方のうち, 医薬品条件付き早期承認品目該当性相談(申請前相談あり)に該当する方

当該相談を実施するにあたり, 機構から医薬品申請前相談の実施を求められましたか。

1. 求められた(機構の指示で実施した)
2. 求められなかった(会社判断で実施した)

Q2-3: Q2-2 で「1. 求められた(機構の指示で実施した)」を選択された方

医薬品申請前相談を別途求められることに対する意見・要望または別途実施したことにより開発計画に影響があった場合は自由記載の欄にご回答ください(例:承認申請時期を遅らせた)。

Q3-1: Q1 で「5. 医薬品先駆け総合評価相談」を選択された方

当該相談を実施するにあたり, 機構から医薬品申請前相談の実施を求められましたか。

1. 求められた(機構の指示で実施した)
2. 求められなかった(実施しなかったまたは会社判断で実施した)

Q3-2: Q3-1 で「1. 求められた(機構の指示で実施した)」を選択された方

医薬品申請前相談を別途求められることに対する意見・要望または別途実施したことにより開発計画に影響があった場合は自由記載の欄にご回答ください(例:承認申請時期を遅らせた)。

総括及び提言

総括

第1部 『対面助言全般』

- ◇ 2022年度調査の総件数は452件であり、前回調査(2020年度)の367件から85件増加していた。今回調査の増加は、新型コロナウイルスワクチン戦略相談の増加によるものであった。それ以外の件数もやや増加している相談枠はあるものの大きな変動はなく、対面助言全般としては安定して数多く利用されている状況である。
- ◇ 第II相試験終了後相談が91件は、新型コロナウイルスワクチン戦略相談を除けば最も多く、その必要性を認識している傾向はこれまでの調査と同様であった。
- ◇ また、オーファン枠での相談は、開発前期で3件、開発後期で8件実施されており、これまでと同様開発後期でより多く実施されていた。
- ◇ 事前評価相談は、前回調査では実施した会社はなかったが、2022年度調査では4社(計18件)で実施されており、実施した4社すべて「メリットあり」と回答していた。事前評価相談に対する意見では、「積極的に受ける」及び「ケース・バイ・ケースで考える」が合わせて約8割であった。「何が改善されれば、医薬品事前評価相談を積極的に受けようと思いますか」の質問に対し、早期の承認取得や、審査の効率化など相談利用によるメリットの明確化を求める意見が多かった。
- ◇ 申請前相談について意見要望の有無を確認したところ、「1.あり」との回答が13社(21.7%)から寄せられた。前回調査では、第III相試験等、臨床試験結果が想定と異なった場合や、過去の相談等でPMDAから申請前相談の指示があった場合などで利用され、会社として申請資料内容に懸念がない場合や申請が遅れることを理由に利用しないと回答が多かった。今回調査では前回調査と同様に、審査期間の短縮、審査中の照会事項の削減、申請手数料の減額等があれば、さらに相談を積極的に受けたいとの意見があった。更に、条件付き早期承認品目該当性相談や先駆け総合評価相談(臨床)を実施する前に、医薬品申請前相談の実施を求められるが、承認申請直前に実施する対面助言については、並行して実施する、又はまとめて1つの相談枠で実施して欲しい、当局から推奨されるケースもあるらしいが高額で申請時期にも影響するため企業判断とさせてほしい、費用を減額してほしい、議事録は早期作成してもらいたいなどの運用に関する意見も寄せられた。
- ◇ 相談枠新設については、既に充足しているようで、新たな相談枠の設置希望は少なかった。一方で、前回調査で相談枠設置の要望があった「医薬品における記録ありの事前面談」の設置を希望する意見は多かった。
- ◇ 今回の調査期間は、COVID-19感染症拡大下のためWebでの面談が前提とされており、PMDA指定のWebExが多く使用されていたが、相談者からは、TeamsやZoomなどが使い慣れており、また接続にトラブルがないなどの理由から、WebEx以外のシステムの使用が望まれていた。Web面談について96.7%がメリットありと回答し、COVID-19感染症終息後もWeb面談の継続を望む意見が多く挙げられていた。一方で音声のみの実施を問題とする意見が多かった。関西支部の利用について少ないながらメリットが挙げられていたが、利用料が高額である、通常のWeb面談を上回るメリットはないとの意見もあった。
- ◇ 対面助言全般で挙げられた問題点・意見要望(一部抜粋)
 - ✓ PMDAからの代替案の提示や前例にとらわれない見解等、より積極的で柔軟な議論の実現
 - ✓ 照会事項や機構意見、相談当日のPMDA意見の伝達における、丁寧かつ分かりやすい説明

- ✓ 議事録への、PMDA 判断の背景、根拠の記載
- ✓ 相談枠の統廃合、事前面談の適用範囲の拡大

第2部 『個々事例』

- ◇ 一般的な治験相談区分での総実施件数は230件で、前回調査と比べ35件(13.2%)減少していた。
- ◇ 実施件数について相談区分別、相談分野別でみた結果は以下のとおり。
 - ▶ 相談区分：

前回調査と同様、第Ⅱ相試験終了後相談の割合が最も高く(98件, 42.6%)、前期第Ⅱ相試験開始前相談の割合が最も低かった(5件, 2.2%)。前回調査と比べて、第Ⅰ相試験開始前相談が9件(60.0%)増加しており、申請前相談が25件(49.0%)減少していた。これら以外は同様の傾向であった。
 - ▶ 相談分野：

前回調査と同様、抗悪性腫瘍剤分野の割合が最も高く(57件, 24.8%)、次いで第1分野、第6分野の1の順で高い傾向にあった。前回調査と比べて、第4分野が9件(69.2%)減少し、抗悪性腫瘍剤分野が23件(28.8%)減少していた。これら以外は同様の傾向であった。
- ◇ 2020年4月以降、新型コロナウイルス感染症緊急事態宣言を受けたWeb会議が導入されたことにより、今回調査では「対面による助言」の割合が大幅に減り(前回調査:21.1%, 今回調査:1.3%)、「Web会議による助言」(前回調査:26.8%, 今回調査:47.8%)が大幅に増えた。対面助言の多く(97.4%)がWeb会議又は書面による助言(前回調査:44.2%, 今回調査:49.6%)であった。「Web会議による助言」については、64.5%の相談でよかった点があったとの回答が得られ、具体的には、渡航制限下においても海外からの参加が可能となること、日本からの参加者の移動に関する時間的負担・手間の軽減、及びミュート機能を活用して社内協議で内容を整理した後回答可能であったことなどが挙げられた。一方で、参加者や発言者の分かりづらさ、システムや同時通訳の運用上の課題も挙げられた。
- ◇ 国際共同試験の場合のPMDA/FDA/EMAとの相談の順番について、FDA、EMA、PMDAの順番が3極で相談を実施した場合の79%を占めた。FDA/EMAとの相談がPMDAより先行される理由としては、欧米での開発が先行されたため、欧米での申請が優先されたためが多く挙げられた。相談の時期については、FDA/EMAとの相談を実施した場合で集計したところ、「同時期(3ヶ月以内)」に実施される割合が最も多く、理由としては、実施各規制当局の意見をプロトコール・開発戦略に反映させたかったため、欧米と同時開発であったためなどが挙げられた。世界同時開発が進む中、各規制当局の意見を開発戦略に適切に反映させるため、3極との相談を同時期に行うケースが増えていることが示唆された。
- ◇ 相談記録のあり方に対する意見として、対面助言当日の議論を記録に残して頂きたいといった意見が多くあった。また、相談に参加していない人(相談者側(海外含む)関係者など)にも当日の議論内容が理解できる記載としてほしいとの意見や、相談記録確定までの期間の短縮、機構見解の背景の記載、相談記録の項立ての改善などの要望があった。
- ◇ 相談者の意見が受け入れられなかった際のPMDAからの代替案の提示は「あり」が75%、「なし」が19%であり、約2割のケースで代替案が提示されていなかった。また、代替案を提示されたタイミングは、「機構見解」が71.4%で最も多く、次いで「対面助言当日」19.0%であり、約7割のケースで機構見解時に代替案が提示されていた。PMDAから代替案が提示されなかった結果、「問題があった」が38%、「問題はなかった」62%であった。問題があった理由として

は、最終的な方針が決まらなかったこと等が挙げられていた。代替案の提示がなかった結果、その後の方針を確定できず、開発を一時中断することになったとの意見もあった。問題がなかった理由としては、相談者側から代替案を提示し、最終的に合意が得られたこと、代替案を出しようがない内容であったこと等が挙げられていた。相談者の意見が受け入れられない場合のPMDAの対応に関する意見・要望としては、より具体的な代替案の提示や、機構見解等のより早いタイミングでの代替案の提示を求める意見が挙げられていた。

- ◇ 担当官とのコミュニケーションについては、概ね良好であると考えられた。今後も、事前面談や対面助言での照会事項、機構見解のやり取りにおいて、相談者がPMDAの考えを適切に理解出来るよう、補足説明等、丁寧なコミュニケーションをお願いしたい。
- ◇ 対面助言の満足度をより上げるための要望として、上述の代替案の提示や担当官とのコミュニケーション以外では、相談事項が受け入れられない具体的な根拠説明、どのようなデータ・説明があれば受け入れ可能となるかの助言、対面助言当日の議論の重視、前例にとらわれない科学的な議論・助言、相談事項以外の部分に対する助言などが挙げられた。
- ◇ 全体を通じてのPMDA側の対応で良かった点、悪かった点の中でも、相談内容へのPMDA側の真摯な検討・指導姿勢、相談実施方法の柔軟な対応については「良かった」と回答されていた一方、不十分な議論や画一的な見解については「悪かった」との回答もあった。
- ◇ また、本アンケートでは、2021年10月～2022年9月までの1年間に実施した相談を対象としたが、寄せられた回答だけでも、この間に119件の「新型コロナウイルスワクチン戦略相談」が行われていた。PMDAとしてもコロナ対策に全力で取り組み、多忙を極める中で、通常の相談をこれまで通り受け付けて下さったことに敬意を表したい。

提言

今回の調査結果から、対面助言の満足度は前回同様高かったものの、対面助言全般に対する問題点、及び、満足度をより上げるための意見要望「あり」と回答した企業は24社(40%)あり、改善すべき点はいまだに残されているものと考えられる。具体的な根拠説明、今後の開発に関する建設的な意見交換を求める意見が特徴的であったと考える。今後は、相談者とPMDAの考え方に大きな乖離が見られるような場合には、相談初期の段階でその時点でのPMDA側の懸念点を伝えていただくとともに、相談者の意見を受け入れられない場合には、より具体的な代替案や落としどころを提示いただきたい。相談者側としては、PMDAの判断や結論のみでなく、結論を導き出すための理論や考え方、前例にとらわれない、より科学的な議論や助言を重視している。

具体的には、相談者とPMDAの考え方に大きな乖離が見られるような場合には、機構見解のタイミングではなく、照会事項発出時や事前面談における論点整理時などの早いタイミングで代替案を提示いただき、より建設的な議論を行うなどの選択肢も選べるようにしていただきたい。

相談記録のあり方に対する意見として、依然として対面助言当日の議論を記録に残して頂きたいといった意見が多数あった。意見の中には、記録案のやり取りの中で、最終的に記載頂けた事例もあったものの、相談者側が重要と考えて要望した内容について、記録に残して頂けなかったとの事例も散見された。相談に参加していない人(相談者側(海外含む)関係者など)にも理解できるよう、当日の議論内容及び結論に至るまでの過程を明確にするための追記・修正要望に対しては、可能な限り反映することを考慮いただきたい。なお、PMDA側と相談者側が納得した形で、かつ記録の作成をスムーズに行うために、例えば、当日の議論について記録に残すか否か、どの程度詳細に記載するかの方針について、対面助言の場でPMDA側と相談者側で予め確認しておく、また、FDAのmeetingのように対面助言の場でメモを作成するといったやり方など、何らかの新たな対策を講じる必要があると考える。

最後に、PMDA相談とFDA/EMAの相談時期について、前回同様、今回の調査でも「同時期(3ヶ月以内)」との回答が全体の5割を占めており、FDA/EMAと同時期にPMDA相談を実施しているケースも多い傾向にあった。この実態を鑑み、相談者側としては効率的な当局相談として、今後は多国間での共同相談の可能性についても検討いただきたい。国際共同試験のプロトコールに関する相談について、評価項目や評価基準など、早期からPMDAがFDAやEMAと協議して各極の相談結果を積極的に活用することや試験単位での共同相談の導入も有用と考える。

以上

【アンケート及び報告書検討メンバー】

日本製薬工業協会 薬事委員会申請薬事部会第1グループ

◇ グループメンバー:

林武史(あすか製薬株式会社), 東尾真理(アストラゼネカ株式会社), 西山啓史(アムジェン株式会社), 中村和重(EA ファーマ株式会社), 小川勝(科研製薬株式会社), 橋本美紀(杏林製薬株式会社), 秋元和美/徳弘雅子(サノフィ株式会社), 千田俊彦(参天製薬株式会社), 竹原麻衣子(ノバルティス ファーマ株式会社), 船造正英(ファイザー株式会社), 野尻瑠美(丸石製薬株式会社), 長谷川泰宏(ユーシービージャパン株式会社)

◇ サブグループリーダー: 山野井龍彦(アステラス製薬株式会社), 岡本卓子(第一三共株式会社)

◇ グループリーダー: 杉原正(大塚製薬株式会社)

日本製薬工業協会 薬事委員会申請薬事部会 部会長: 高山裕典(エーザイ株式会社)

日本製薬工業協会 薬事委員会 委員長: 柏谷祐司(武田薬品工業株式会社)

【ご協力】

日本製薬工業協会 事務局: 塚田純子、二星美香、宮城香織