

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

2026 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』.....	4
1-1. 相談区分毎の件数.....	4
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	12
1-3. 事前面談に対する企業の考え方	17
1-4. 相談枠の新設／統廃合	20
1-5. 対面助言全般	23
第 2 部 『個々事例』.....	28
2-1. 新医薬品に関する一般的な治験相談	28
2-2. 上記以外の相談.....	72
第 3 部 『新たに設置された治験相談区分について』.....	76
総括及び提言	78

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 11 回目の調査となる。

今回の調査では 2024 年 11 月 1 日から 2024 年 11 月 29 日の期間で製薬協薬事委員会に所属の 66 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 3 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』についてのアンケート (1 社 1 回答)

- ✧ 2023 年 10 月から 2024 年 9 月までの 1 年間(先駆け総合評価相談及び事前評価相談は 2022 年 10 月～2024 年 9 月の 2 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
- ✧ 事前面談に対する企業の考え方
- ✧ 相談枠の新設／統廃合
- ✧ 対面助言全般に対する問題点／意見要望

➤ 第 2 部 『個々事例』についてのアンケート (事例ごとに 1 回答)

- ✧ 2023 年 10 月～2024 年 9 月の 1 年間(先駆け総合評価相談及び事前評価相談は 2022 年 10 月～2024 年 9 月の 2 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について
 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
 - ✓ 医薬品拡大治験開始前相談, 医薬品疫学調査相談関連, 医薬品条件付き承認品目該当性相談, 医薬品先駆け総合評価相談, 医薬品開発パイプライン面談, 医薬品革新的製造技術相談, 医薬品データベース活用相談, 医薬品/再生医療等製品レジストリ相談関連, 医薬品申請電子データ提出相談関連, カルタヘナ相談関連, 医薬品のBCSに基づくバイオウエーバーに係る相談の個々事例について

➤ 第 3 部 『新たに設置された治験相談区分について』(1 社 1 回答)

- ✧ 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談, 小児用医薬品開発計画確認相談

アンケートを依頼した 66 社中 65 社 (98.5%) から回答があり, 該当事例がなかった 1 社を除く 64 社の調査結果をまとめた. 第 1 部の対面助言全般については 64 社から, 第 2 部の個々事例については 259 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、2023年10月～2024年9月の1年間(先駆け総合評価相談及び事前評価相談は2022年10月～2024年9月の2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、事前面談に対する企業の考え方、相談枠の新設／統廃合、対面助言全般に対する問題点／意見要望について64社から回答を得た。

1-1. 相談区分毎の件数

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

2023年10月～2024年9月の1年間(先駆け総合評価相談及び事前評価相談は2022年10月～2024年9月の2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を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ますが、該当がない場合は空欄のままで構いません。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】78 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)、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(ICH S1B(R1)ガイドラインに係る相談)、品質相談、BCS 相談/(追加相談)、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)、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)、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/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)、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(承認申請/再審査申請)/(オフファン/オフファン以外)/(追加相談)、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)、希少疾病用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)、小児用開発計画確認相談、ファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談(適格性評価/試験計画要点確認)/(追加相談)、対面助言事後相談(記録あり)、開発パイプライン面談、GCP/GLP/GPSP 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 5 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, 再生医療等製品等の品質及び安全性に係る追加相談, 開発計画等戦略相談	

本アンケート調査の調査に回答のあった 64 社で, 2023 年 10 月～2024 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(2022 年度)の結果(調査対象期間:2021 年 10 月～2022 年 9 月)とともに示す. なお, 事前評価相談については, 実施件数を多く収集するために 2022 年 10 月～2024 年 9 月の 2 年間を調査の対象とした.

相談区分		2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
		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		9	6	0	4	3	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	0	0	0
	記録なし	—	—	—	—	—	—
医薬品申請電子データ提出方法相談		4	3	3	17	8	1
医薬品申請電子データ提出免除相談	オーファン以外	0	0	0	4	3	0
	オーファン	3	3	1	2	2	0
医薬品生物学的同等性試験等相談		7	5	0	5	3	0
医薬品安全性相談		18	14	0	9	6	0
医薬品安全性相談 (ICH S1B(R1)ガイドラインに係る相談)		4	3	0	—	—	—
医薬品品質相談		23	8	0	13	8	1
医薬品BCS相談		0	0	0	—	—	—
医薬品BCS追加相談		0	0	0	—	—	—
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	オーファン以外	13	7	4	22	15	7
	オーファン	0	0	0	2	0	0
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	オーファン以外	2	1	2	4	2	0
	オーファン	0	0	0	1	0	0
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	オーファン以外	10	7	6	21	11	12
	オーファン	0	0	0	0	0	0
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	オーファン以外	109	42	67	94	37	61
	オーファン	5	2	4	4	1	2

相談区分		2024 年度調査 調査対象期間： 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間： 2021/10～2022/9		
		総件 数	書面	国際 共同	総件 数	書面	国際 共同
医薬品申請前相談	オーファン以外	40	17	7	21	11	1
	オーファン	6	5	0	4	1	0
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)		0	0	0	—	—	—
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)		1	1	0	—	—	—
医薬品製造販売後臨床試験等計画相談		0	0	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	0	0	0
医薬品追加相談	オーファン以外	20	8	9	28	16	10
	オーファン	2	2	1	1	0	1
医薬品追加相談(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)		0	0	0	—	—	—
医薬品追加相談(医師主導治験による開発品)		0	0	0	—	—	—
医薬品レジストリ使用計画相談		2	0	0	2	1	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		5	4	0	4	1	0
医薬品疫学調査追加相談		2	2	0	5	1	0
医薬品添付文書改訂事前確認相談		6	3	0	13	5	1
医薬品添付文書改訂相談		7	6	0	10	8	1
医薬品信頼性基準適合性調査相談		0	0	0	2	1	1
医薬品再審査適合性調査相談		1	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		4	3	0	5	1	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	0	0	0	1	0	0
	オーファン	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)(追加相談)	オーファン以外	0	0	0	0	0	0
	オーファン	0	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)		0	0	0	1	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	0	0	0
	オーファン	0	0	0	0	0	0

相談区分		2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
		総件 数	書面	国際 共同	総件 数	書面	国際 共同
医薬品データベース信頼性調査相談 (再審査申請)		0	0	0	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	0	0	0
	オーファン	0	0	0	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	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)		0	0	0	1	1	0
医薬品事前評価相談(品質)※		3	2	0	2	1	0
医薬品事前評価相談(非臨床:毒性)※		1	1	0	4	2	0
医薬品事前評価相談(非臨床:薬理)※		2	2	0	4	2	0
医薬品事前評価相談(非臨床:薬物動態)※		1	1	0	2	1	0
医薬品事前評価相談(第Ⅰ相試験)※		0	0	0	2	1	0
医薬品事前評価相談(第Ⅱ相試験)※		0	0	0	2	1	0
医薬品事前評価相談(第Ⅱ相／第Ⅲ相試験)※		3	2	0	2	1	0
医薬品優先審査品目該当性相談		1	1	1	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)		0	0	0	2	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	0	0	0
小児用医薬品開発計画確認相談		1	1	0	—	—	—
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
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
対面助言事後相談	記録あり	10	5	0	7	5	2
	記録なし	—	—	—	—	—	—
新医薬品パイプライン相談		4	0	0	4	0	1

相談区分	2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
	総件 数	書面	国際 共同	総件 数	書面	国際 共同
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	0	0	0	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	0	0	0
合計	329	167	105	452	163	108

※:2022 年 10 月～2024 年 9 月の 2 年間

ー:相談枠なし、あるいは調査対象外

《傾向・考察》

- 2024 年度調査の総件数は 350 件であり、前回調査の 452 件から 100 件以上減少しているが、前回は、新型コロナウイルスワクチン戦略相談で 8 品目 119 件の実施があったため、これを除けばこれまでの実施件数と同様と考えられた
- 今回の調査でも、第Ⅱ相試験終了後相談が 114 件と最も多かった
- 事前評価相談について、2020 年度調査では実施した会社はなく、前回 2022 年度調査では 4 社(計 18 件)で実施があったものの、その実施数が少なかったため、今回の調査では 2022 年 10 月～2024 年 9 月までの 2 年分を調査の対象としたが、その実施数は 2 社(計 10 件)に留まった
- オープン枠の活用状況については、全体の 4%(16 件)であり、全て第Ⅱ相試験終了後以降の相談で、開発前期の相談はなく、引き続き開発前期での相談が少ない実態が窺えた
- 国際共同治験に関する相談件数は 111 件であり、前回調査 108 件と同様で、全体で 3 割程度の割合を占めていた。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、2024 年度調査で 62%(71 件/114 件)であり、前回調査 64%(63 件/98 件)と同様の高い比率であった
- レジストリやデータベースに関する相談枠は全部で 15 区分が設けられているものの、その実施は 2 件であり、引き続き活用されていない相談枠が目立った

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 11 件であった。参考として前回調査(2022 年度)の結果(調査対象期間:2021 年 10 月～2022 年 9 月)を示す。実施件数は、前回調査と同様であった。

	2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
相談区分	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)	1	1	0	0(1)	0(1)	0(0)
再生医療等製品 品質相談	2(1)	1(1)	0	1	1	0
再生医療等製品 探索的試験開始前相談	3	2	2	3(1)	1(0)	2(0)
再生医療等製品 探索的試験終了後相談	2	0	1	2(1)	2(1)	1(0)
再生医療等製品 申請前相談	1	0	1	3	2	0
再生医療等製品 事前面談(相談記録あり)	1	0	1	0	0	0
合計	11	5	5	12	8	3

():「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、医薬品で3件、再生医療等製品での実施はなかった。

参考として前回調査(2022年度)の結果(調査対象期間:2021年10月～2022年9月)を示したが、前回調査では相談の実施がなかった。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、年度毎で増減が起こり得ると考えられるが、近年ではその動向が低調と考えられる。

	2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
相談区分	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	0	0	0
医薬品先駆け総合評価相談(非臨床)	1	1	0	0	0	0
医薬品先駆け総合評価相談(臨床)	1	1	0	0	0	0
医薬品先駆け総合評価相談(信頼性)	1	1	0	0	0	0
医薬品先駆け総合評価相談(GMP)	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(品質)	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(非臨床)	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(臨床)	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(信頼性)	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品先駆け総合評価相談(GCTP)	0	0	0	0	0	0
合計	3	3	0	0	0	0

RS 戦略相談

RS 戦略相談の総件数は 7 件であった。参考として前回調査(2022 年度)の結果(調査対象期間:2021 年 10 月～2022 年 9 月)を示す。実施件数は前回調査と同様と考えられた。

	2024 年度調査 調査対象期間: 2023/10～2024/9			2022 年度調査 調査対象期間: 2021/10～2022/9		
相談区分	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	0	0	0
再生医療等製品戦略相談	0	0	0	0	0	0
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談	7	7	0	5	3	0
開発計画等戦略相談	0	0	0	0	0	0
合計	7	7	0	5	3	0

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

2022 年 10 月～2024 年 9 月の 2 年間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。

2 社(計 10 件)で実施され、実施した 2 社は「メリットあり」と回答し、うち 1 社は「審査期間短縮に繋がった」とした。

メリットありとする具体的な内容

- 申請前にデータを評価いただくことにより、事前に照会事項の対応ができ、審査期間の短縮に繋がったと考える
- イレギュラーな状況があり、PMDA から事前評価相談を利用するよう要請された

Q3:医薬品事前評価相談に対する問題点, 意見要望

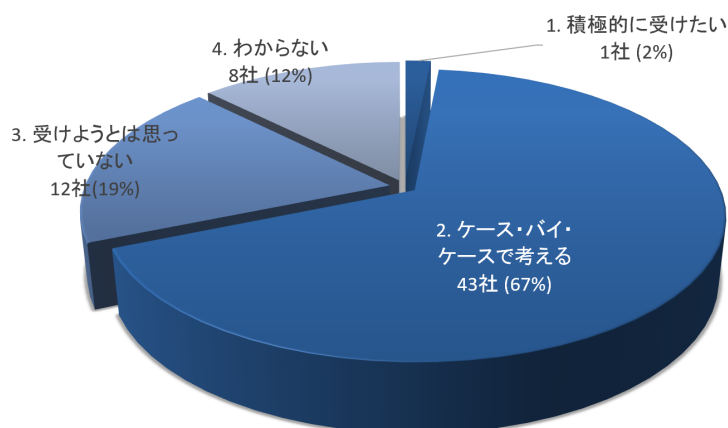
貴社の医薬品事前評価相談の実施に対する考え方についてお聞きます。

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 43 社(67.2%), 「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 12 社(18.8%)であり, この傾向は前回調査(2022 年度調査)と同様であった。

考え方	2024 年度調査		前回調査 (2022 年度調査)	
	企業数(%)		企業数(%)	
1. 積極的に受ける	1	(1.6)	2	(3.3)
2. ケース・バイ・ケースで考える	43	(67.2)	46	(76.7)
3. 受けようとは思っていない	12	(18.8)	6	(10.0)
4. わからない	8	(12.5)	9	(10.0)
合計	64	(100)	60	(100)



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。

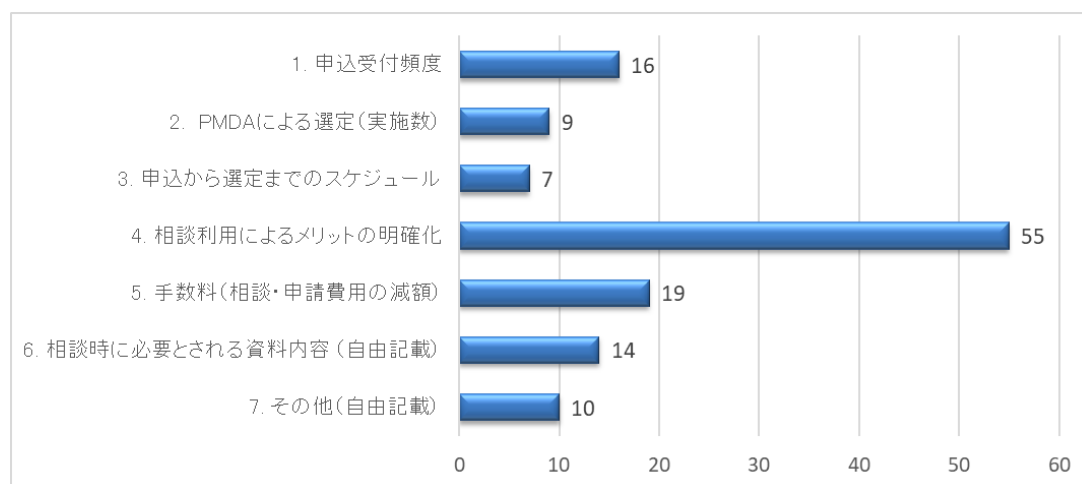
Q3-2:Q3-1 で「1. 医薬品事前評価相談を実施できる状況にある場合, 積極的に受けたい」以外を選択された方

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 55 件で最も多かった。「5. 手数料(相談・申請費用の減額)」は 19 件であった。これらの順位は前回調査(2022 年調査)とほぼ変わらなかった。



「6. 相談時に必要とされる資料内容」や「7. その他」の具体的な内容

- 申請資料の形ではなく, より簡便な資料形式
- 相談対応と申請準備が重なることから, 必要とされる資料の軽減や段階的な資料提出(主要な成績のみ先に提出し, 付随的な解析や, 試験成績に対する詳細な解釈は相談実施中に提出できる等)の許容
- 受付に対するフレキシビリティが増すと良い
- 照会事項の整理(申請後に同一照会がないこと, 重複した照会がないこと), 早期承認の確実性向上
- Top line result の提出のみで受付
- 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)

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 43 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」の回答が 50 件, 「2. 申請後の照会事項数の減少が期待できる」との回答が 51 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 43 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	43	4	3	50
2. 申請後の照会事項数の減少	4	27	20	51
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	8	20	15	43
4. 承認申請時の提出資料を減らせる	0	4	14	18
5. その他 (自由記載)	1	0	2	3

「5. その他」などの具体的な内容

- 早期承認が期待できる, でなく早期承認の明確な目標値を定めた運用 (数件あり)
- 事前評価から承認までの全体を通して, 承認審査対応の効率化
- 照会事項に関して内容が整理されず, 結局は最終結果・データが出てから再度照会発出となることが多い
- 事前評価相談と本申請で内容変更のない CTD に関して, 事前評価相談時に機構より問い合わせ・指示の無かった事柄について, 本申請時に照会事項が発出, 追加データの取得が必要とされた経験がある

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。

「あり」が 12 社 (18.8%)、「経験がないためわからない」が 17 社 (26.6%)であり、「なし」と回答した会社は 35 社 (54.7%)であった。

「1. あり」の具体的な内容

- 申請時に含めるべき内容が伝達される場合、申請タイムラインへの影響が大きくなるため、照会事項対応とすることも許容いただきたい
- 現状のタイムラインでは、申請前相談実施の影響で申請時期が遅れる可能性が高いため、タイムラインの短縮を考慮いただけると良い
- 先駆的品目において、先駆け総合評価相談(臨床)と合わせて医薬品申請前相談が求められた場合は、相談費用の減額を検討いただきたい
- 当局側から相談実施を推奨されるケースがあるが、申請時期に影響するため、企業判断とさせてほしい
- 相談実施によるメリットをもっと明確化してほしい。例えば、効能効果、用法用量、RMP、PMS に関しての一定の見解をもらえるようになるとよい
- 米国の RTOR (Real-Time Oncology Review) のように、より審査に直結したやりとりを行いたい

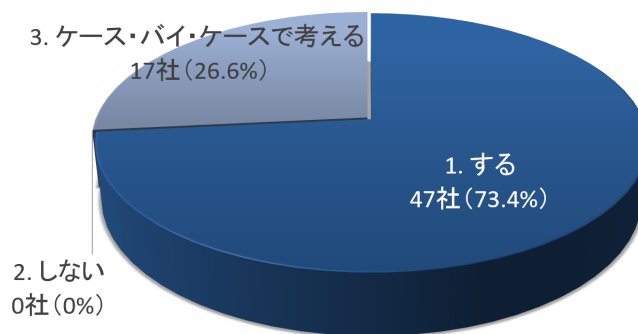
1-3. 事前面談に対する企業の考え方

Q5:事前面談に対する考え方

Q5-1:通常、対面助言の実施前に、事前面談を実施しますか(プルダウン選択).

1. する 2. しない 3. ケース・バイ・ケースで考える

その理由を自由記載の欄にご回答ください.



「1. する」との回答が 47 社 (73.4%), 「3. ケース・バイ・ケースで考える」との回答が 17 社 (26.6%) であり, 「2. しない」と回答した会社はなかった.

事前面談を実施する理由は, 論点整理, 相談資料の充足, 審査部への事前説明や相互理解のため, などであった. 事前面談の実施は必須ではないと考えている会社がある一方, 実施しないと PMDA から実施を求められるため原則実施としていると回答した企業もあった.

事前面談を実施する理由

- 原則として実施する
- 論点が整理できる
- 相談の背景や相談事項を事前に説明することで, PMDA に会社側の考えを正しく理解してもらうため
- 相談資料・説明内容の充足性や構成を整理でき, 議論に必要な資料やデータが確認できる
- 相談を効果的, 効率的に実施し充実させるため
- PMDA の考え方, 見解, 懸念点, 感触を得られる
- PMDA とのコミュニケーションのきっかけとして利用しやすい
- 対面助言でもめるより事前面談でもめた方がまし
- 当局から事前面談の実施を求められる

ケース・バイ・ケースで考える理由

- 事前に論点や相談資料に含めるべき内容について PMDA と確認すべきと判断される場合には実施する
- 論点を整理することが有用と思われる場合は実施する
- 事前面談を実施するケースが多いが, 事前面談の実施を必須とまでは考えておらず, スケジュール上, 難しい場合も想定される

Q5:事前面談に対する考え方

Q5-2:事前面談全般に対する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 32 社 (50.0%), 「2. なし」との回答が 32 社 (50.0%) であった.

事前面談全般に対する意見要望

メールやメモを含む書面での見解の提供を希望する意見が多く挙げられた. (20/32 社)

書面で提供を希望する内容は以下のとおりで、事前面談時に読み上げられる見解／伝達事項の提供を希望する声が多かった.

- 読み上げられる見解／伝達事項 (15 社以上あり)
- 相談資料に関する指示 (複数あり)

書面での見解提供を希望する理由

- メモを取るために何度も読み上げてもらう、復唱して確認するなど時間を要している
- メモを取る時間がなくなれば面談時間を有効に使え、議論に集中できる
- 聞き間違い、内容の認識不足からミスコミュニケーションが生じる

提供時期については事前の希望が多かったが、直前や当日、事後でもよいとの意見もあった.

書面に限らず事前見解を希望する意見が複数あった.

- 企業側で面談時の確認事項を事前に整理することができ、面談時間をより有効に活用することができる
- 機構側からは「事前に提示されていないので回答できない」と回答を断られるケースも多いが、企業側としても、予測していないことを面談当日にコメントされても、有益な議論をすることが難しい
- 面談当日に機構見解が伝達され議論が生じないこともある

その他の要望

- PMDA 側の出席者を教えて欲しい
- 受付時間を広げて欲しい
- 申込から 1 週間程度の日程で実施できるようになるとありがたい
- 対面助言までに解決していないと進められない問題点や取得しておくデータがあれば、事前面談の段階で明確に指示してほしい
- 記録に残らない非公式な面談という位置づけと認識している. 正論や教科書的なことをコメントするのではなく、可能性が広がる建設的な協議を希望する. お互いの考えを本音で話し合う、踏み込んだディスカッションができることを期待する
- 対面助言前の貴重な意見交換の場とも理解しているが、近年はフレキシビリティが少なくなっている感じがある. 実例として、事前面談では掘めなかった大きな論点に対面助言時の機構見解で浮上し

てきたケースもあった。そういったことを避ける意味でも、事前面談では柔軟な対応をお願いしたい

- データ判断を伴わない場合、対面助言ではなく、事前面談で処理可能な場合もある。良い制度であり柔軟に対応していただきたい
- ディスカッションに関しては、担当の部によって程度が異なる(踏み込んだディスカッションができる部とできない部がある)印象があるので、全ての部で積極的なディスカッションができるようにして欲しい
- 事前面談で受け入れ可能と取れるようなアドバイスを受けた後、対面助言で一転否定された事案もありました。事前面談の特性上、回答できない場合があることは承知していますので、回答できない場合はより明確にその旨示して頂けると大変助かります
- 複数回の事前面談を求められるケースがあり、相談者側の説明不足によることも多く、本相談の負担を減らすこともご配慮いただいていることは理解しているが、その後のタイムラインへの影響が大きい。最終的な見解を得られるのは対面助言(本相談)とすれば、追加の議論は対面助言の質疑応答で行っていただくか、追加の事前面談を行う場合は、例えば資料提出(1回目の事前面談資料の補足や追加考察に基づくもの)は後日提出でも受け入れ可能として日程調整は先に進めていただく等、ご検討いただけるとありがたい
- 事前面談のスクーブを拡大してほしい(Top line report 程度のレビューを可能とする, Open discussion できる有料の相談枠)

1-4. 相談枠の新設／統廃合

Q6:その他の相談枠設置希望

Q6-1: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 9 社 (14.1%), 「2. なし」との回答が 55 社 (85.9%) であった.

新たに設置して欲しい対面助言の相談枠（相談事項）の具体的な内容

- 添付文書改訂を目的とした臨床試験、臨床研究等に関して計画段階での相談枠
- 再審査期間の予見性の相談
- 体外診断薬審査室と新薬審査部と合同で、CDx 開発の要否などを相談できる相談枠
- 再生医療等製品における条件及び期限付き承認の該当性相談
- 申請電子データ関連相談を一度実施した後に追加の相談が生じた場合の相談枠(追加相談, 事後面談等)
- 設定された枠外で自由な内容について相談できる枠
- 販売名に関する相談

Q6:その他の相談枠設置希望

Q6-2: 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)
5. 利用しない／わからない

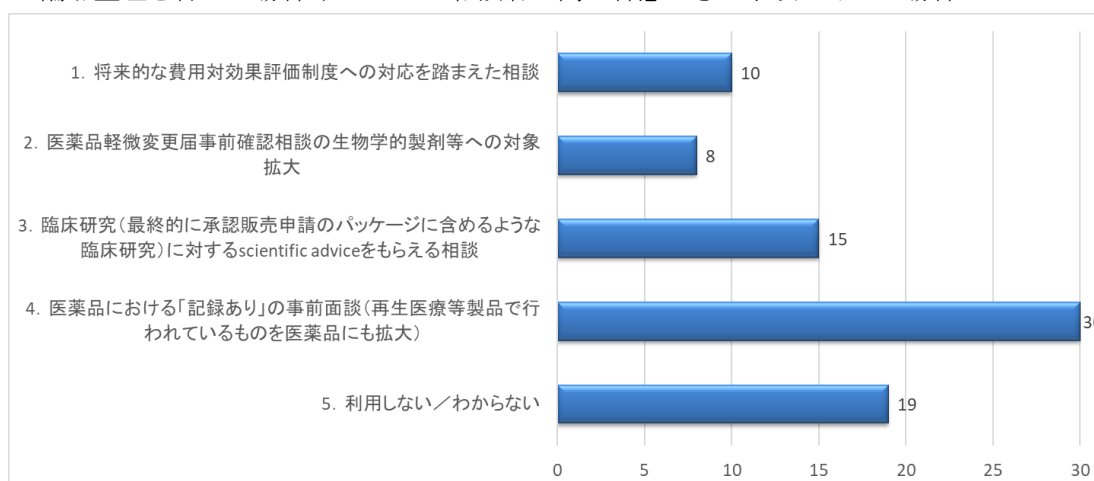
「4. 記録ありの事前面談」を選択された方

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 30 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 15 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 10 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 8 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

- 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(複数件あり)
- 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(複数件あり)
- PMDA 主担当が読み上げるメモの共有, 録音の許可(数件あり)
- 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(複数件あり)
- 事務手続きに関する事前面談
- 対面助言の前提となる助言を事前面談で頂いた際, 継続的な議論として記録に残すことで有益になる場合
- 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



Q6:その他の相談枠設置希望

Q6-3. 統廃合して問題ないとする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／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（9.4%），「2. なし／わからない」との回答が58社（90.6%）であった。

統廃合して問題ないとする相談枠の具体的な内容

- 医薬品添付文書改訂相談について、相談資料はほぼ同じ内容であるため、統合してシンプルな手続きにして頂きたい（数件あり）
- 第Ⅱ相試験開始前の相談で、前期・後期別に相談枠を設定する必要性について検討の余地がある
- 現状の相談枠は多すぎる
- 適合性や PMS に関連する相談枠が多すぎると思われる。類似の相談枠はできるだけまとめてしまっ
てよいと思われる。
- 体外診断薬を含め臨床試験で医療機器を使用して患者選択や臨床評価を行う場合の部署横断的な
相談スキームを確立できないか

1-5. 対面助言全般

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 1 社 (1.6%), 「2. なし」との回答が 8 社 (12.5%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 55 社 (85.9%) であった。

メリットありの具体的な内容

- 会社に関西圏にあるため、活用しやすい

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 4 社 (6.3%), 「2. なし」との回答が 8 社 (12.5%), 「3. 経験がないためわからない」との回答が 52 社 (81.3%) であった.

問題点・意見要望の具体的な内容

- 利用時の費用が高い. Web 形式でも相談できるため, 関西支部を使うメリットが感じられない
- 関西支部にも, PMDA の審査担当者が配置され, 対面とリモートのハイブリッドで協議できると, 利用のメリットが見いだせるかもしれない
- 利用用途が, 承認審査中の急な面談等にも広がると, 利用を考える機会は増えるかもしれない

Q8:対面助言全般に対しての問題点, 意見要望

Q8-1:対面助言全般に対する問題点はありますか(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 22 社 (34.4%), 「2. なし」との回答が 42 社 (65.6%) であった.

問題点・意見要望の具体的な内容

- 相談の対応・相談の範囲
 - ✓ 相談事項に関わらず, 開発全体を見通す積極的なアドバイスを頂きたい助言内容の背景・経緯等についてのより具体的・丁寧な説明と相談記録への反映をお願いしたい
 - ✓ 前例や既存のガイドラインによるのみでなく, 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お願いしたい
 - ✓ 英語を用いた相談業務の柔軟化(提出書類, 議事録等)に対応頂きたい
 - ✓ FAX や電話ではなく, やり取りの完全電子化
- 相談当日:PMDA 意見の伝え方
 - ✓ 相談当日の読み上げている見解の共有など口頭伝達の廃止をお願いしたい
- 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発出のタイムラインの明確化や厳守をお願いしたい(複数件あり)
- 相談枠の整理
 - ✓ 相談枠のシンプル化
- コミュニケーション
 - ✓ WEB 会議の場合に, 会議室の映像は見えるが, カメラの方を見てお話しただけでない. 担当官の表情が見えず, 発言者以外の表情も含め雰囲気伝わって来ない
 - ✓ Web 面談の場合, 機構側の建前に隠れた本音を引き出しにくい(例えば, 会議後のフリーな時間を利用しての担当官との雑談等から)
- その他
 - ✓ 相談申込時期の緩和を検討頂きたい
 - ✓ 審査部ごとの要求の相違を改善頂きたい(事前面談要否, プレゼンテーション要否, 再生医療等製品の治験相談や RS 戦略相談における相談内容のサマリー提出等)
 - ✓ 実施まで時間を要する相談枠や品目制限の改善
 - ✓ 手続対応の簡素化(対面助言申込書に「Web 会議による対面助言等の実施に関する基本確認」に対応した旨のチェック箇所設定)
 - ✓ Web 面談の種類の充実(Teams や Zoom 等)

Q8:対面助言全般に対しての問題点, 意見要望

Q8-2: 将来を見据えた際にどのような対面助言(実施方法, 書面のやり取り, 助言内容等々)であれば良いと考えますか. 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.

問題点・意見要望は以下のようなもので, Q8-1 の問題点と重なる内容がほとんどであった.

なお, 現状の実施方法, 助言内容で満足しているや, 柔軟性のある対応を行ってもらっている状況の継続を願う意見もあった. また, 相談区分の多さから統廃合ではなく, もう少しわかり易くする工夫(相談区分へのアプローチの図式化など)はできないかとの意見もあった.

➤ 相談の中身

- ✓ 正論や教科書的な考え方は企業も重々承知した上での相談であることを理解いただき, 前例踏襲主義や, 言質を取られまいとするような相談ではなく, 臨床現場ファーストのもと, 専門医も含めて開発戦略を協議できる相談を希望します
- ✓ 開発早期であっても, フェーズ 3 の評価項目等, 開発全体を通した助言が今よりも得られるようになることを期待する
- ✓ 相談内容に対する見解だけでなく, 現実的な代替案の提示をいただきたい

➤ コミュニケーション

- ✓ 書面で終了の場合でも PMDA と企業の意見交換ができるような環境が欲しい
- ✓ コミュニケーションが少ない相談に危機感を持っている. 会って話す価値のある部長審査役主任を取り揃えて欲しいという思いがある
- ✓ 書面実施, web 実施は相談実施の易さから歓迎する一方で, 担当官とは対面機会があった方がやり易さを感じるの正直なところです

➤ 運用面

[申し込み]

- ✓ 日程調整依頼は, 月 2 回はあると望ましい
- ✓ 日程調整の受付期間を柔軟にしてほしい. 月初 1 週間などであると有難い
- ✓ 相談申込から実施までのリードタイムの短縮ができると, 利便性がより高まるのではないかと感じます

[タイムライン]

- ✓ 照会や機構見解の発出の時間が分からなかったり, 直前に変更されることがある. 相談者側の回答日時は指定されるのに, 公平感がないのではないかと. スケジュールは事前に確約してほしい
- ✓ 照会事項の発出時間を営業時間内としてほしい

[音声]

- ✓ 音声品質の改善(会議室機器の改善)

〔記録・説明〕

- ✓ 助言内容の背景や懸念点は、詳しく説明いただけると、その後の会社方針の検討や開発にも役立つ
- ✓ 提出資料の解釈に双方の齟齬があり、追加データが必要となった経験もあるため、相談記録の内容をもう少し詳細してほしい
- ✓ 機構意見について、機構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
- ✓ 機構見解に至った背景や理由等が記録等で分かるようにして頂けると大変助かる
- ✓ 機構意見内に「相談事項に対するどの部分が受け入れ不可なのか、受け入れ不可である理由」などを詳細に記載するようにして頂きたい
- ✓ 海外バイオフィーマなどの参入を促進するため、英訳を見据えた文章を検討いただきたい

〔その他〕

- ✓ 日本人データの必要性 日本人データなしでの承認事例を着実に増やして欲しい
- ✓ 相談事項の修正削除を求められるケースがあり、相談事項に対して適切に回答いただきたい
- ✓ Gateway のさらなる利活用
- ✓ 事前面談などでのメモの事前共有による面談の効率的実施(メモ共有により面談のキャンセルもあり得る)

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 259 件で, 前回調査と比べ 29 件増加(前回調査比 12.6%増)していた。

2024 年度調査			前回調査(2022 年度調査)		
実施年月	件数(%)		実施年月	件数(%)	
2023 年 10 月	34	(13.1)	2021 年 10 月	23	(10.0)
2023 年 11 月	24	(9.3)	2021 年 11 月	22	(9.6)
2023 年 12 月	20	(7.7)	2021 年 12 月	16	(7.0)
2024 年 1 月	10	(3.9)	2022 年 1 月	11	(4.8)
2024 年 2 月	19	(7.3)	2022 年 2 月	16	(7.0)
2024 年 3 月	19	(7.3)	2022 年 3 月	23	(10.0)
2024 年 4 月	29	(11.2)	2022 年 4 月	19	(8.3)
2024 年 5 月	25	(9.7)	2022 年 5 月	14	(6.1)
2024 年 6 月	16	(6.2)	2022 年 6 月	23	(10.0)
2024 年 7 月	18	(6.9)	2022 年 7 月	12	(5.2)
2024 年 8 月	26	(10.0)	2022 年 8 月	19	(8.3)
2024 年 9 月	19	(7.3)	2022 年 9 月	32	(13.9)
合計	259	(100.0)	合計	230	(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(114件、44.0%)。

前回調査と比べて、第Ⅰ相試験開始前相談、前期第Ⅱ相試験開始前相談、及び後期第Ⅱ相試験開始前相談の相談件数が減少(11件[45.8%減]、3件[60%減]、11件[52.4%減])していたのに対し、第Ⅱ相試験終了後相談や申請前相談の実施件数が増加(16件[16.3%増]、20件[76.9%増])していた。

相談区分	2024年度調査		前回調査 (2022年度調査)	
	件数(%)		件数(%)	
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	13	(5.0)	24	(10.4)
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	2	(0.8)	5	(2.2)
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	10	(3.9)	21	(9.1)
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	114	(44.0)	98	(42.6)
医薬品申請前相談	46	(17.8)	26	(11.3)
医薬品追加相談	22	(8.5)	29	(12.6)
医薬品安全性相談	22	(8.5)	9	(3.9)
医薬品品質相談	23	(8.9)	13	(5.7)
医薬品生物学的同等性試験等相談	7	(2.7)	5	(2.2)
合計	259	(100.0)	230	(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(76件, 29.3%), 次いで第6分野の1, 第1分野の順で高い傾向にあった。

前回調査と比べて、第2分野の実施件数が8件(34.8%)減少し、抗悪性腫瘍剤分野の実施件数が19件(33.3%)増加していた。これら以外は同様の傾向であった。

相談分野	2024 年度調査		前回調査 (2022 年度調査)		備考
	件数 (%)		件数 (%)		
第 1 分野	31	(12.0)	34	(14.8)	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	15	(5.8)	23	(10.0)	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	21	(8.1)	23	(10.0)	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	9	(3.5)	7	(3.0)	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	(1.5)	4	(1.7)	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, 抗原虫剤, 駆虫剤
第 5 分野	9	(3.5)	10	(4.3)	泌尿生殖器官・肛門用薬, 医療用配合剤
第 6 分野の 1	42	(16.2)	30	(13.0)	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	15	(5.8)	16	(7.0)	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	76	(29.3)	57	(24.8)	抗悪性腫瘍薬
エイズ医薬品分野	2	(0.8)	0	(0.0)	HIV 感染症治療薬
放射性医薬品分野	1	(0.4)	0	(0.0)	放射性医薬品
体内診断薬分野	2	(0.8)	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	2	(0.8)	4	(1.7)	バイオ品質, バイオ後発品
ワクチン分野	22	(8.5)	12	(5.2)	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	8	(3.1)	7	(3.0)	血液製剤
再生医療製品分野	0	(0.0)	2	(0.9)	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	259	(100.0)	230	(100.0)	

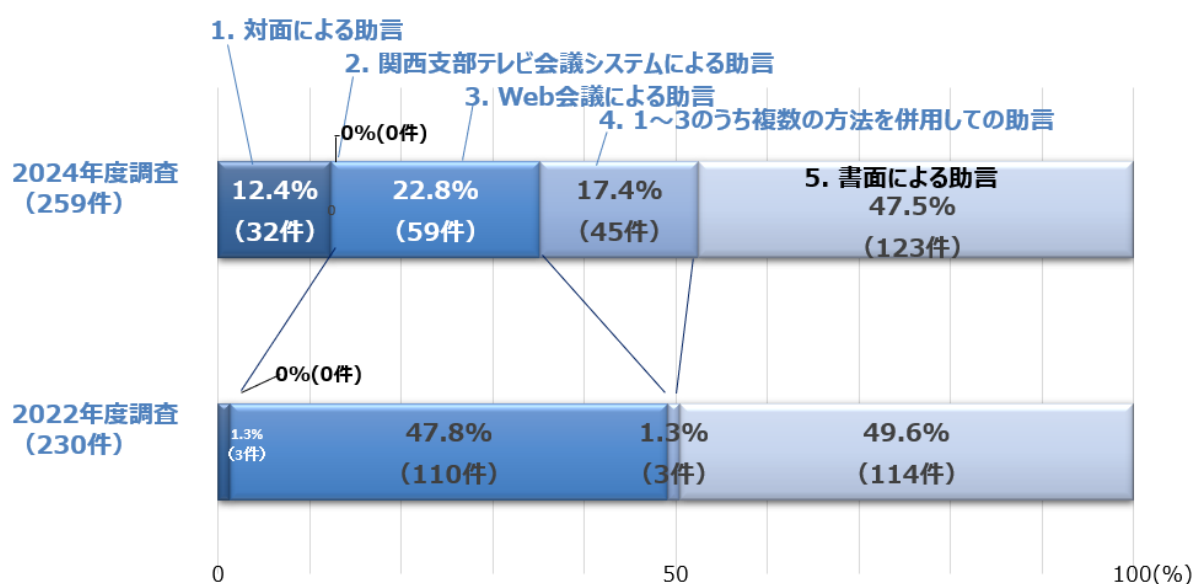
Q4:実施方法(対面／関西支部テレビ会議システム／Web 会議／書面)

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」(前回調査:1.3%, 今回調査:12.4%)及び「複数の方法を併用しての助言」(前回調査:1.3%, 今回調査:17.4%)の割合が大幅に増え,「Web 会議による助言」が大幅に減っていた(前回調査:47.8%, 今回調査:22.8%).「書面による助言」は減少していた(前回調査:49.6%, 今回調査:47.5%).

また,「関西支部テレビ会議システムによる助言」(前回調査:0%, 今回調査:0%)は前回と変わらなかった。



2-1-2. 対面助言実施

Q5: 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。

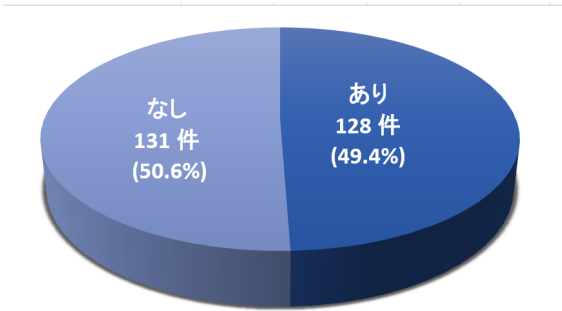
1. あり 2. なし

「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 128 件(49.4%)、「なし」は 131 件(50.6%)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、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に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。



2024 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	19	13	32
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	40	19	59
4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言	37	8	45
5. 書面による助言	32	91	123
合計	128	131	259

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》

- コミュニケーションの円滑性: Webと比較してコミュニケーションが円滑に進み、より詳細な意図の伝達やPMDAの考え方の詳細な確認が可能であった。発言の意図がくみ取りやすく、表情や発言の間を含めたコミュニケーションがしやすかった(複数件あり)
- 議論の活性化: 議論が活発に行われ、PMDAの専門家を含めて議論ができた。その場で機構の意見を確かめることができた(複数件あり)
- PMDA担当官との関係構築: 初対面のPMDA担当官に挨拶ができ、コミュニケーションを深めることができた(数件あり)
- 機構の温度感: 面談日までに解決していない事項について、顔を合わせてディスカッションすることで機構の温度感も含めて確認できた。機構の受け入れの程度が分かりやすく、本音の部分の意見も伺うことができた(数件あり)

《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》

- 参加者の利便性: 海外からの参加者が来日不要で相談に参加できる点が良い。Global関係者もWebを通じて参加できた(10件以上あり)
- 日程調整の容易性: 相談者側の日程調整が容易であった。候補日程を多く提示できる(10件以上あり)
- 効率的な時間活用: PMDAへの訪問が不要なため時間を有効活用できる。移動時間をロスすることなく、必要な協議を終えることができた(複数件あり)
- 社内連携の容易性: 簡単に社内での意思疎通も行いながら、PMDAと議論ができた(複数件あり)
- 参加人数の柔軟性: 対面では人数を制限することがあるが、必要なメンバーに出席していただけた(複数件あり)
- コスト削減: 海外HQからの参加について、経費が節減できた(複数件あり)

《4. 1～3のうち複数の方法を併用しての助言》

- 柔軟な参加方法: 面談当日の主要な論点に応じて各出席者の出席方法を決められた(10件以上あり)
- 参加者の制限緩和: ハイブリッド形式とすることにより相談者側の出席者人数の制限がなくなり、出席希望者全員が出席できた(複数件あり)
- 効率的な議論: コアメンバーは対面で密な議論ができ、サブメンバーはWeb参加とすることで日程調整がしやすかった(10件以上あり)
- 海外との連携: 対面での細かい議論に加え、webでつなぐことにより海外との共有も可能であった(複数件あり)

《5. 書面による助言》

- 迅速な結論: 早く結論が得られた(複数件あり)
- リソース削減: 双方合意のもと書面開催となったためリソースが削減できた(複数件あり)
- コスト削減: 対面よりも時間及び経費の節約になった(複数件あり)

Q6: 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

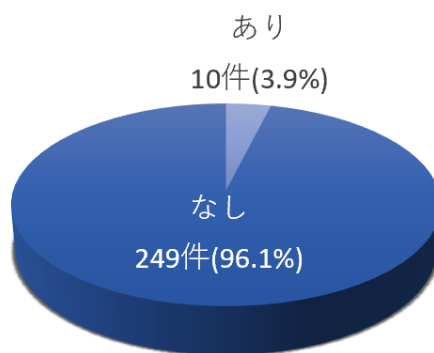
「1. あり」を選択された方

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(96.1%)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



2024 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	1	31	32
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	3	56	59
4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言	5	40	45
5. 書面による助言	1	122	123
合計	10	249	259

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》

- PMDA が用意する同時通訳システムに不具合がある可能性があり、相談者側で急遽同通システムを用意する必要があった
- Web 会議のため、参加者の表情が見えず発言タイミング等が読みづらい場合があった
- PMDA 側の音声聞き取りにくい場面があった

《4. 1～3 のうち複数の方法を併用しての助言》

- 会議冒頭、KOL のコメントの英語翻訳が Global 関係者に届いておらず、KOL に同じコメントを 2 回依頼することになった
- PMDA 会議室で投影したプレゼンテーションスライドを Web 参加者からも閲覧可能にするため相談者側 PC でも Web 会議に参加が必要となり、ネット環境接続のため準備に時間を要した
- Web で参加された PMDA 参加者の方の電波状態が悪く、重要な部分で繰り返し聞き直しが必要な状況になった。Web 参加を併用する場合にはネットワーク環境の向上をご検討いただきたい
- Web 参加も可としたが、質疑対応が求められるだろう参加者は対面参加が望ましかった

《5. 書面による助言》

- 判断した根拠について詳しく知ることができない

Q7: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. 国際共同試験開始前の日本人第Ⅰ相試験の実施要否
10. 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減っていた(前回調査:47.0%, 今回調査:39.4%)。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。「10. 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)	2024 年度調査		前回調査(2022 年度)	
	件数(%)*		件数(%) *	
1. 開発計画全体の相談	62	(23.9)	49	(21.3)
2. 試験デザインに関する相談	140	(54.1)	155	(67.4)
3. ブリッジング戦略に関する相談	35	(1.9)	3	(1.3)
4. 国際共同試験に関する相談	102	(39.4)	108	(47.0)
5. 申請パッケージの妥当性に関する相談	172	(66.4)	141	(61.3)
6. 非臨床試験(薬物動態, 薬理, 毒性)に関する相談	47	(18.1)	39	(17.0)
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	25	(9.7)	12	(5.2)
8. 生物学的同等性に関する相談	9	(3.5)	5	(2.2)
9. 国際共同試験開始前の日本人第Ⅰ相試験の実施要否	12	(4.6)	NA	NA
10. その他	25	(9.7)	34	(14.8)
合計	599	—	546	—

*: ()は総相談件数(2024 年度は 259 件, 2022 年度は 230 件)に対する割合

Q8:事前面談

Q8-1:対面助言の論点整理や相談資料の構成のために事前面談を実施しましたか.

1. 実施した

2. 実施しなかった

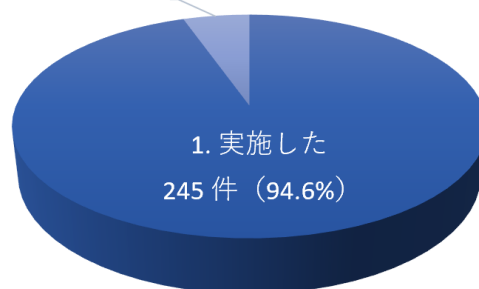
「2. 実施しなかった」を選択された方

理由を自由記載の欄にご回答ください.

94%以上の対面助言で事前面談が実施されていた.

2. 実施しなかった

14 件 (5.4%)



1. 実施した

245 件 (94.6%)

事前面談を実施しなかった理由

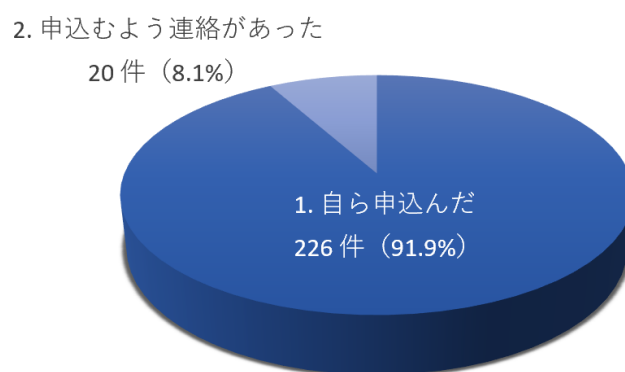
- 事前の確認や論点整理の必要がないと判断した(複数件あり)
- 事前面談を要請され、申し込んだが、プロトコル等、通常、対面助言時に提出する資料を求められ、事前面談では提出できない旨の返答をしたところ、キャンセルとなった
- 類似疾患について対面助言済で、相談対象の開発計画も定型的なものであったため
- 同じ品目で同時期に対面助言を実施する別効能と一緒に事前面談を実施したから
- 試験のタイムラインを考慮し、最短で相談を実施したかったため
- パイプライン面談を事前に実施していたため
- 承認申請の照会対応において疑義が生じ、機構より品質相談を申し込むように指示があったが、事前面談については指示がなかったため申し込まなかった
- 開発計画全体について、別途相談していたため、本対面助言に特化した事前面談は実施しなかった
- 先の相談で論点が明らかであったため。また、追加相談を行う旨及び実施時期については事前に口頭で伝達していた
- 社内都合で事前面談を行う時間を確保することが出来なかったため

Q8:事前面談

Q8-2:事前面談は、相談者側が自ら申込みましたか、もしくは機構から申込みよう連絡がありましたか。

1. 自ら申込んだ
2. 申込みよう連絡があった

90%以上が自ら事前面談を申込んでいた。

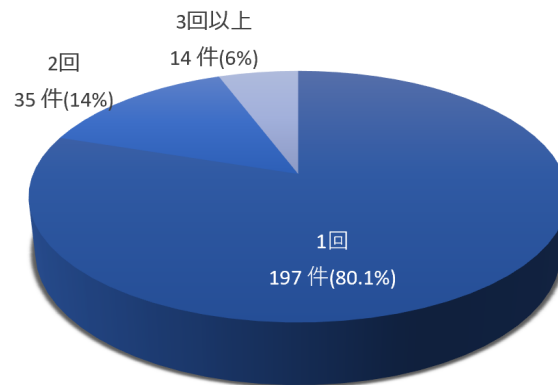


Q8:事前面談

8-3:事前面談は何回実施しましたか.

1. 1 回
2. 2 回
3. 3 回以上

80%以上が 1 回の事前面談で完了していたが, 6%は 3 回以上事前面談を実施していた.

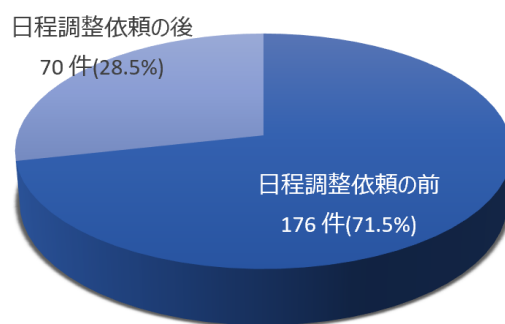


Q8:事前面談

8-4:事前面談の実施時期は日程調整依頼の前後どちらでしたか。複数回実施している場合は、最後の事前面談について回答ください。

1. 日程調整依頼の前
2. 日程調整依頼の後

70%以上が対面助言の日程調整依頼の前に事前面談を実施していた。

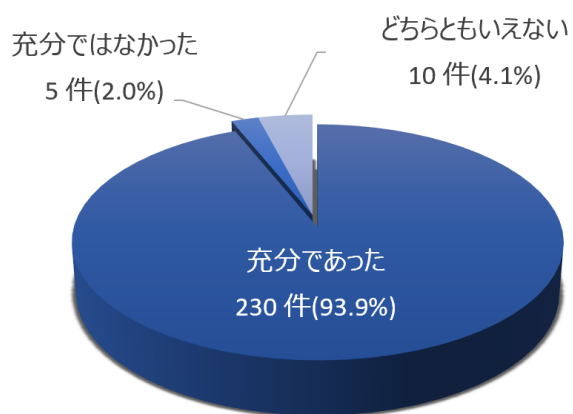


Q8:事前面談

8-5:対面助言の結果を踏まえた際に、事前面談での議論や審査チームとのコミュニケーションは充分であったと思いますか.

1. 充分であった
2. 充分ではなかった
3. どちらともいえない

90%以上が事前面談でのコミュニケーションは充分であったと回答した.



Q9: PMDA/FDA/EMA 相談の時期(国際共同試験の場合)

Q7 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)

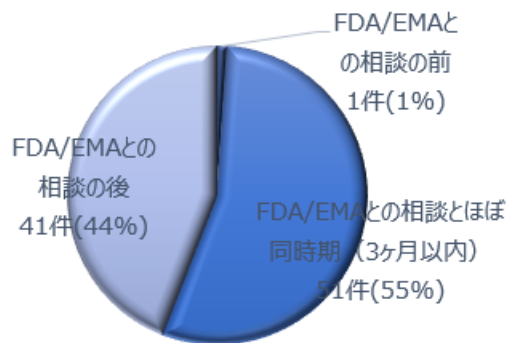
PMDA 相談と FDA/EMA の相談時期について、今回の調査では、前回同様「2. 同時期(3 ヶ月以内)」との回答が全体の 4 割を超え、比較的高い割合で FDA/EMA と同時期に PMDA 相談を実施している結果であった。また、「3. FDA/EMA との相談の後」の割合が前回と比べ増えており、「4. FDA/EMA との相談を実施していない」の回答が減っていた。

PMDA 相談の時期	2024 年度調査		前回調査 (2022 年度調査)		理由
	件数 (%)		件数 (%)		
1. 前	1	(1.0)	3	(2.8)	✓ 製品固有の戦略のため
2. 同時期 (前後 3 ヶ月以内 を目安)	51	(50.0)	52	(48.1)	✓ 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 ✓ 国際共同第 3 相試験に日本が参加できるタイミングを考慮して相談時期を決めたら結果的にほぼ同時期になった ✓ 海外本社からの指示
3. 後	41	(40.2)	41	(38.0)	✓ 欧米当局の見解を反映させた計画で PMDA 相談を行うため ✓ 日本を含めたアジア国際共同治験の相談であり、米国試験は別に先行して実施 ✓ 会社の基本戦略のため ✓ 日本は途中から国際共同第 I 相試験に参加する計画であるため ✓ 海外での開発が先行して進んでいたため ✓ 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 ✓ 小児開発に関する相談であり、FDA/EMA は各国規制に準じて成人開発中に小児に関する相談を開始していたため

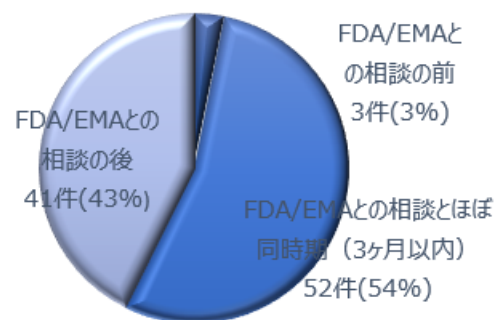
					✓ 欧米での相談時に日本での開発が決定していなかったため
4. 実施なし	9	(8.8)	12	(11.1)	✓ アジア試験に関する相談であったため ✓ 日本独自の相談内容であったため
合計	102	(100.0)	108	(100.0)	

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。

【2024 年度調査】



【2022 年度調査】



Q10: 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

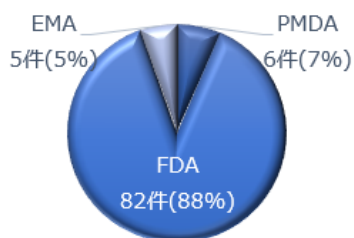
その順番とした理由を自由記載の欄にご回答ください。(例: 日本が主導する試験であったため PMDA との相談を最初に実施した, 欧米の試験に日本が参画する計画で主として実施する地域の規制当局である FDA/EMA との相談を優先して実施した, 等)

1 番目に相談した当局としては、FDA が最も多く(88%), PMDA とした回答は 6.5%で前回調査より減少した(前回調査 12%)。2 番目に相談した当局は EMA が 51%で最も多く、3 番目に相談した当局は PMDA が 55%で最も多かった。

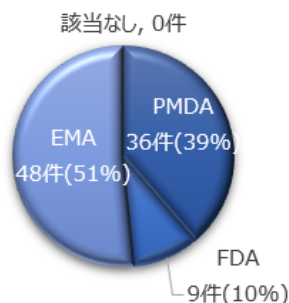
相談の順番としては FDA, EMA, PMDA の順番が最も多く(47 件)、これは 3 極で相談を実施した場合(合計 93 件)の 51%であった。

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、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。

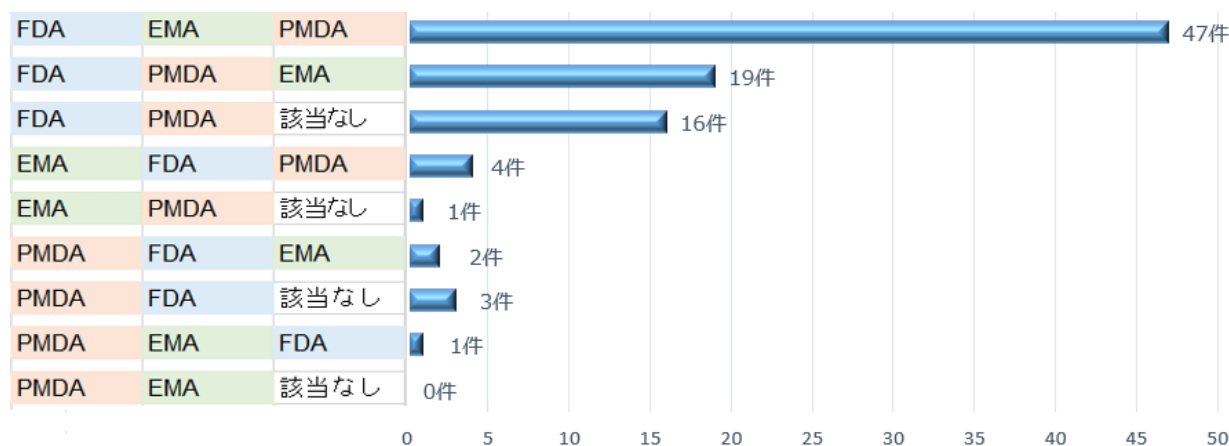
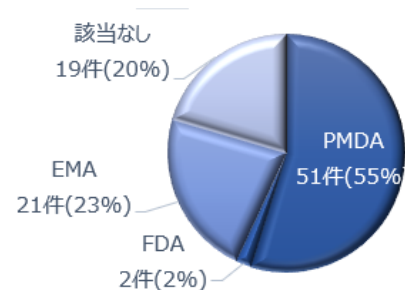
1 番目に相談した当局



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》

- 品目固有の戦略のため
- 同時期に調整を試みたが結果的に PMDA を先に実施する日程となった
- FDA と PMDA でほぼ同時期となったが、日程調整の結果 PMDA の見解が先に得られた
- 日本のフィードバック(PMDA 意見)をプロトコールに反映するため、海外当局に先行して日本の相談を実施した
- EMA/FDA/PMDA にほぼ同時期に相談資料を提出した結果、PMDA→FDA→EMA の順番でフィードバックが得られた

《1 番目が FDA のケース》

- Global でのリソース状況を考慮し、FDA の面談の後に EMA、その合間に PMDA の相談を実施した
- 欧米の試験に日本が参加する計画で、FDA/EMA の相談を優先した(複数件あり)
- 同時期の相談を予定していたが、資料作成スケジュール等により FDA を先行した(複数件あり)
- FDA/EMA の見解を反映した計画で PMDA 相談を行うため、FDA/EMA の後に実施した(10 件以上あり)
- 既に欧米では承認済みの製品で、日本は遅れて開発開始・相談となった
- 導入品のため(数件あり)
- 欧米の相談資料等を参考に日本向け資料を作成したため(複数件あり)
- 諸外国(FDA/EMA)の相談結果から試験デザインを調整し、日本での相談内容に反映した(複数件あり)
- FDA/EMA/PMDA いずれも同時期に相談準備開始し、資料作成やフィードバック等により順番が決まった(複数件あり)

《1 番目が EMA のケース》

- ほぼ同時期に申し込んでいるので順番としては日時が決定した順となった
- 欧州にて先行開発中の導入品目であり、既に欧州において開始が予定され、加えて FDA へも相談済であった試験に日本が参画する場合の相談であったことから、導出元と EMA 及び FDA との相談が実施済であった。
- 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(複数件あり)

Q11: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

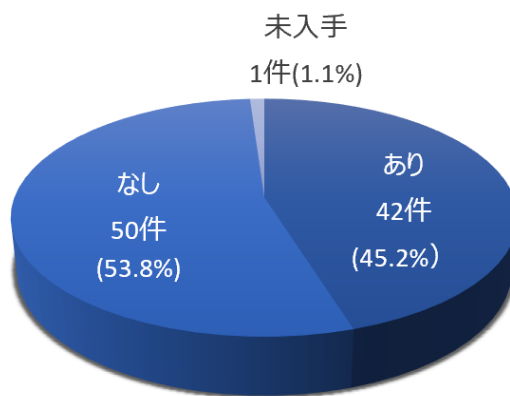
「1. あり」を選択された方

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 45.2%、「なし」が 53.8%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同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。

	2024 年度調査		前回調査 (2022 年度調査)	
相違	件数 (%)		件数 (%)	
1. あり	42	(45.2)	50	(52.1)
2. なし	50	(53.8)	46	(47.9)
3. 本調査時点で 未入手	1	(1.1)	0	(0.0)
合計	93	(100.0)	96	(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》

- 主要解析計画の受け入れについて見解に相違があった (PMDA は受け入れたが FDA は受け入れなかった)。FDA の見解を反映して主要解析計画を変更することとなった
- 検定手順について、見解の相違があり、日本特有の手順を提案し、機構の合意を得た
- 試験の主目的に対する考え方に相違があったものの、最終的に米国の考え方が採用された
- 欧米での主要評価項目では、本邦での適応が限定される可能性があり、主要評価項目の追加検討を要するとの機構意見に対し、開発遅延につながるとの導出元の強い意向により変更が困難であったことから、当該機構意見を理解した上でそのまま実施することにした
- 主要評価項目の中央判定/責任医師判定について意見が割れた。また、治験デザインの一部について、日本では明確な回答が得られなかった。主要評価項目は、当初の予定通り責任医師判定を採用することにした。明確な回答が得られなかった項目については、後日追加相談を実施した

《その他の試験デザイン関連》

- PMDA の検証試験における比較対照群設定の考え方に相違があったが、FDA と合意し、既に進行中であった試験デザインのまま日本からも参加することになった
- 医療環境の違いにより併用薬の選択肢について指摘があった。プロトコール・ICF への明記により解消した (数件あり)
- 医療環境の違いにより併用薬の使用方法について異なる見解であった。US からも Protocol review 時に指摘があり、Global 全体で Protocol 改訂がされた
- 当局間によって主要評価項目、対象集団、対照群の設定について懸念点が異なった。日本では対面助言時に提示した試験計画から変更せずに試験を実施した
- 当局間の考え方の違いにより試験デザインに対して見解の相違があった。各局の見解を踏まえ、対面助言時に提示したのとは異なる試験計画で実施した
- 当局間の考え方の違いにより申請データパッケージ及び試験計画に対して見解の相違があった。FDA 見解を基に試験計画を変更した
- FDA 見解を考慮し試験デザインを変更した
- Ph1 試験デザインが FDA には受け入れられず、PMDA では受け入れられた。まずは日本のみで Ph1 試験を開始することにした
- 非介入試験から GP3 に同一患者をトランスファーし、同一患者内前後比較を行う試験計画の受け入れが異なった (日本は受け入れられていたが、グローバルは受け入れられていない状況)。グローバルの指摘を受けて試験計画を変更し、PMDA と合意した
- FDA からは試験デザインに概ね同意が得られたが、PMDA からは再度対面助言やり直しの指示があった
- 日本の承認申請のための別 Cohort を含めた試験デザイン及び統計解析計画で PMDA と合意した
- 海外では受け入れられている製剤が日本では事例が少なく難しい点
- 本追加相談の前の対面助言にて、用法用量について当局間の見解の相違があり、その時の PMDA 見解を踏まえ国際共同治験デザインを変更し、本相談を実施した

- 統計解析上の対応が異なった(海外の方が厳しく設定されたため等に問題にならなかった)

《臨床データパッケージ》

- Ph3 試験で使用予定の主要評価項目は FDA や EMA には EoPh2 の段階で受け入れられたが, PMDA は EoPh2 の段階では明確な回答は得られず, Ph3 試験に基づく申請の可否は Ph3 の結果入手後に申請前相談で議論するよう提案された
- 相談時点及び追加データ取得時での申請可否のコメントのニュアンスが異なっていた. 現段階では対応は結論づいていない
- 申請パッケージの適切性については申請時点での医療環境に基づき議論するので申請前相談の実施が必要とされた(現時点では合意できていない. FDA/EMA は言われていない)
- 国内試験を実施
- 臨床試験の位置づけに対する見解が異なった. 日本は国際共同試験に参加し, 試験結果取得後の相談事項(もしくは審査での Review Issue)とした
- 配合剤開発に関する基本的な考え方の相違があり, 欧米の臨床開発プログラムでは国内開発は困難と判断された

《その他》

- FDA の見解をプロトコールに反映した
- 開発戦略を再検討した(複数件あり)
- 日本や EMA が OK だった点について FDA が NG だった. 最終的には FDA の要求に合わせるようになった
- 日本が国際共同試験に途中から参加する際に対応が必要な点について相談したため
- EMA との見解には相違があったが, FDA/PMDA 間では大きなギャップはなかったことを踏まえて, EMA に対して継続協議を実施した
- PMDA の指示の通り対応した
- 一番大きな変更を要する安全性評価を採用し, 治験実施計画書の Fix 時期が当初の予定より遅れた
- Ph3 を開始する前の次回相談タイミングについて意見を受領し, 合意した
- 会社リスクとして一部当局と未合意の箇所もそのまま進めることにした
- 開発戦略について, FDA では EMA/PMDA とは異なる判断がされ, 米国は本試験に参加しないこととなった

2-1-3. 相談記録

Q12：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た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

Q13: 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 227 件 (87.6%)、「やや明確になった」が 29 件 (11.2%)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	2024 年度調査		2022 年度調査	
	件数 (%)		件数 (%)	
1. 明確になった	227	(87.6)	189	(82.2)
2. やや明確になった	29	(11.2)	29	(12.6)
3. どちらとも言えない	3	(1.2)	8	(3.5)
4. 明確にならなかった	0	(0.0)	4	(1.7)
合計	259	(100.0)	230	(100.0)

Q14: 今後の方針が明確になったか否かの理由(複数回答可)

Q13 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)

対面助言において会社の方針が受け入れられ、会社の方針が明確になったという回答が多かった。たとえ会社の方針が受け入れられない項目があったとしても、多くの場合では PMDA との議論によってほとんどは今後の方針が決まったと回答されており、議論によって方針が決まらなかったケースはわずか 1 件であったことから、対面助言における PMDA との十分な議論は重要であると考えられる。

方針の明確化 その理由(重複回答)	2024 年度調査	前回調査 (2022 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	131	107
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	119	107
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	3	0
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	1	8
上記以外 (自由記載)		
5. その他	7	11
合計	261	233

「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。

Q13 の回答との関連	
1. 明確になった	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 提案は受け入れられず、科学的な観点からの建設的な議論が展開されなかった。回答に合意できない部分はあったが、PMDA のスタンスは明確になった ◇ 会社の方針が受け入れられなかったため、当該開発の議論がいったん止まることになった。その後の方針は明確になったが、PMDA との議論により方針が決まったわけではない
2. やや明確になった	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 相談のタイミングの関係で、回答を得られない項目があった ◇ 会社の方針が受け入れられない項目があり、PMDA の懸念点は明確となったが、今後の方針については、結果が得られた後での相談事項 Review Issue (もしくは審査での Review Issue)となった ◇ 相談者から提示可能な情報に制限があった
3. どちらとも言えない	<ul style="list-style-type: none"> ◇ 1 回の相談では結論に至らなかった ◇ 申請前相談であり、特にその後の方針に影響は与えなかった
4. 明確にならなかった	なし

**Q15:Q14 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**

Q15-1: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 102 件 (79.7%)、「提示なし」が 23 件 (18.0%) 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。

前回調査と比較して、代替案の提示割合は僅かに増加していた。

代替案提示の有無	2024 年度調査		前回調査(2022 年度)	
	件数 (%)		件数 (%)	
1. あり	102	(79.7)	84	(75)
2. なし	23	(18.0)	21	(19)
3. その他(自由記載)	3	(2.3)	7	(6)
合計	128	(100.0)	84	(100)

「その他(自由記載)」3 件(2.3%)で挙げられていた主な内容は以下のとおりであった。

- 代替案はないが、機構見解にて受け入れ不可な点が明確に示され、対面助言当日の議論を経て、解決方法がある程度整理できた
- 企業の提案に対して変更するよう指示がされた
- 免除可、不可の 2 択であるため、代替案の提示はない

Q15-2:Q15-1 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 63 件(61.8%)で最も多く、次いで「対面助言当日」28 件(27.5%),「照会事項」5 件(4.9%),「事後相談」2 件(2.0%)であった。約 6 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	2024 年度調査		前回調査(2022 年度)	
	件数 (%)		件数 (%)	
1. 照会事項	5	(4.9)	3	(3.6)
2. 機構見解	63	(61.8)	60	(71.4)
3. 対面助言当日	28	(27.5)	16	(19.0)
4. 事後相談	2	(2.0)	0	(0)
5. その他(自由記載)				
事前面談	1	(1.0)	4	(4.8)
相談事項により照会事項, 機構 意見, 対面助言当日のいずれか	1	(1.0)		
対面助言後の当日	1	(1.0)		
機構見解に対する回答提出時	1	(1.0)		
機構見解に対する回答提出後			1	(1.2)
合計	102	(100.0)	84	(100.0)

Q15-3:Q15-1 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 1 件(4.3%)、「問題はなかった」が 22 件(95.7%)であった。問題があった理由としては、承認申請や審査のポイントが明確にならなかったことが挙げられていた。問題がなかった理由としては、PMDA から助言や見解は提示されているため、社内の判断が可能であったこと、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、代替案を期待する相談内容ではなかったこと等が挙げられていた。

前回調査と比較して、問題ありとの回答割合は減少していた。

問題はあったか	2024 年度調査		前回調査 (2022 年度)
	件数 (%)	具体的内容 (自由記載)	件数 (%)
1. 問題があった	1 (4.3)	✓ 有効性評価の見解について、欧米当局との違いがあるのかどうかを明確にされず、承認申請や審査のポイントが明確にならなかった	8 (38)
2. 問題はなかった	22 (95.7)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 機構からの助言を基に社内で検討した結果、当初の申請方針を変更することなく申請することとなった ✓ 現在実施している試験の Primary endpoint も発展途上であるのは相談者側も理解しており、今後の状況を踏まえて判断されるという PMDA 見解も理解はできる ✓ 申請前相談が必要なのかの理由がクリアであった ✓ 社内で再検討し、代替案を提案したところ、機構に受け入れられた ✓ 今後の方針が明確になった(複数件あり) ✓ 現時点において PMDA が受け入れるか入れないかの明確な判断が得られた ✓ 「代替案」という形式ではなかったが、何の評価が必要か提示があった ✓ 検証的試験の結果の捉え方について、機構の姿勢が明確に示されたため、今後の開発計画の参考とするには十分であった ✓ 相談事項について、代替案の提示を期待して 	13 (62)

		<p>いなかった</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 具体的な代替案の提示がなされなかったというよりは、機構の立場上できなかったと思われる、一方で面談当日のトーンから今後の社内方針はある程度明確になった ✓ 小児適応取得に向けて、訴求方針が固まった ✓ 主要評価項目の追加について、治験実施計画書の補遺ではなく、統計解析計画書の補遺として記載することの是非を追加確認したところ、具体的な記載案に基づいて、再度治験相談等で確認することを勧められ、代替案検討の余地は多少なりとも残された ✓ 代替案は提示されなかったものの、PMDAが求めている要件は明確に提示された ✓ 無事申請はできた 	
合計	23 (100.0)		21 (100)

Q15-4: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》

- 引き続き対面助言時に可能であれば代替案等を提案頂きたい(数件あり)
- 受け入れられない点について、必須要件であるとの見解を明確に頂けたことにより、その後の海外を含めた調整を円滑に行えた
- PMDA として受け入れられない事項に関して、理由の説明を明確にしてほしい。特に前例がない事項に対しての説明が不十分である
- 明確な根拠をもって見解を出してほしい(複数件あり)
- 何がYesで何がNoなのかをはっきりして頂きたい

《代替案の提示タイミングについて》

- 具体的にどの点に対してどのような理由で受け入れられないのか、何の情報・説明が欲しいのかを早めに提示してほしい

Q16:満足度

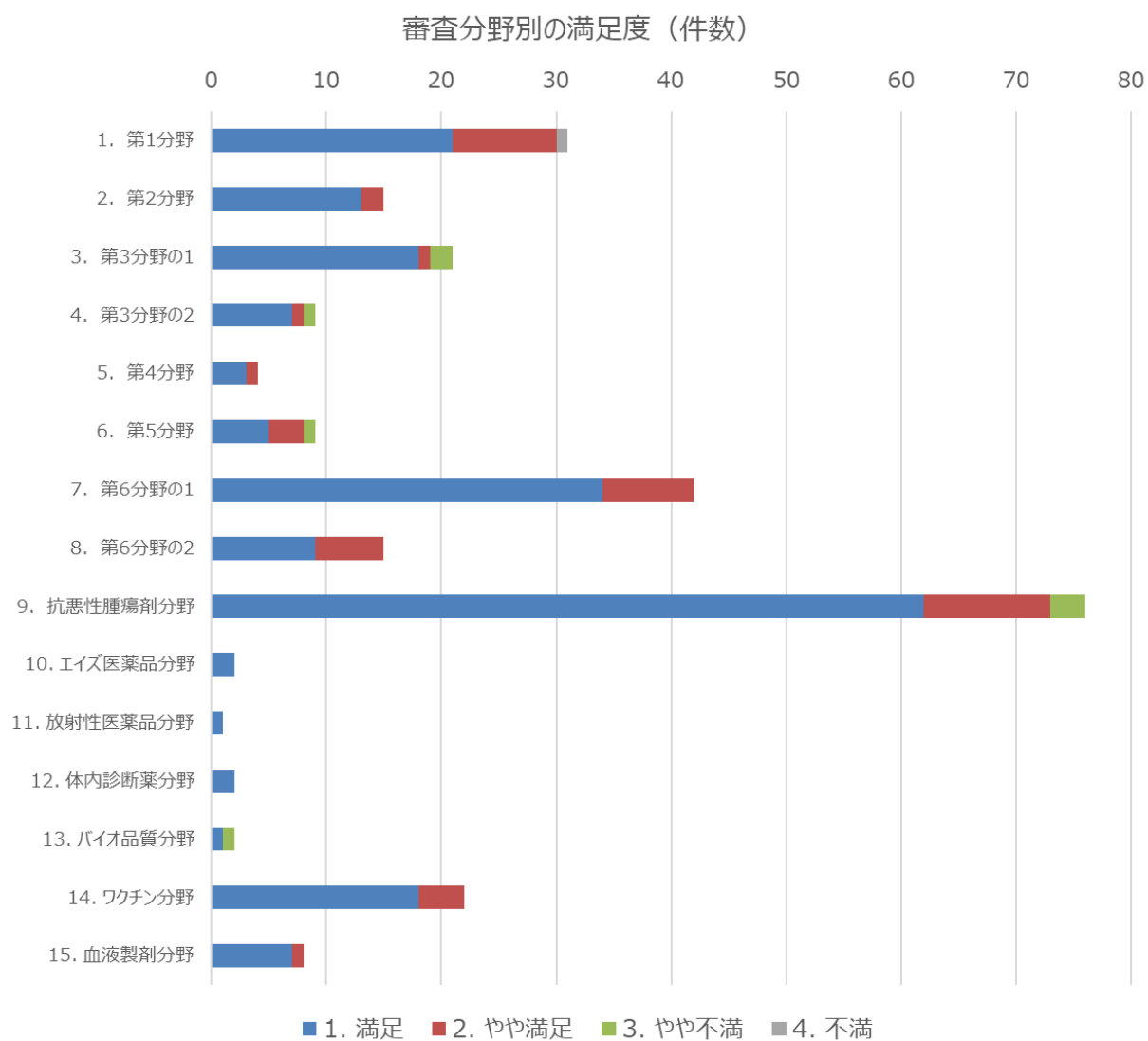
本対面助言の満足度をお選びください。

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 203 件(78.4%)、「やや満足」が 47 件(18.1%)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・機構意見・開発戦略が明確になったので「満足」、相談事項が受け入れられないことについて納得できる理由がなかったため「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・理由の詳細な説明が必要であると考え。また、「やや不満」、「不満」には対面助言当日に開発計画の見直しを勧められた、相談者側の前提と PMDA 側に認識が異なったまま PMDA コメントとなったケースがあり、事前面談を通じて論点整理することの重要性が改めて認識された。

満足度	2024 年度調査		2022 年度調査	
	件数 (%)		件数 (%)	
1. 満足	203	(78.4)	172	(74.8)
2. やや満足	47	(18.1)	46	(20.0)
3. やや不満	8	(3.1)	9	(3.9)
4. 不満	1	(0.4)	3	(1.3)
合計	259	(100.0)	230	(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》

- 今後の方針・機構意見・開発戦略が明確になった(10 件以上あり)
- 相談者と審査チームの理解が深まった(10 件以上あり)
- 面談の実施方法・スケジュールについて柔軟に対応された(複数件あり)

《やや満足》

- 相談事項が受け入れられないことについて、納得できる理由がなかった(複数件あり)
- 申請に必要な資料以外は照会対応にして欲しい(複数件あり)
- 質問に対し「審査マターなので答えられない」との回答だった
- EMA・FDA は認めている事項について、PMDA のみが受け入れられなかった
- 「今後得られる結果次第」と回答された(複数件あり)

《やや不満》

- 追加解析を必要とする照会事項が非常に多かった
- ICH ガイドラインに基づくコンサバな判断ではなく、既存のデータ等からの議論を期待したい
- 認識違い等で合意までに時間がかかった。本相談より前に確認できていれば、より早く合意できたと考え
- 受け入れが困難な場合は、その背景や根拠を示してもらいたい
- 対面助言当日に開発計画の見直しを勧められたが、事前面談の時点で意見が欲しかった

《不満》

- 相談者側の前提と PMDA 側の認識が異なり、相談者の想定と異なる前提での PMDA コメントとなった

Q17: 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(複数選択可)。

1. 相談事項以外の部分に対する助言
2. 相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案
3. その他
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、相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案を求めるとの回答が多かった。

また、相談事項としていない内容であっても、懸念やリスクになりうることなど、審査過程で論点になる可能性がある場合には PMDA から積極的に助言して欲しいというコメントも挙がった。形式的でなく、より専門的に十分なディスカッションを求めている。

満足度をより上げるために PMDA に求めるもの	件数
1. 相談事項以外の部分に対する助言	9
2. 相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案	33
3. その他	29
4. 特になし	188

《「1. 相談事項以外の部分に対する助言」の自由記載》

相談事項以外の助言の具体的な内容

- 相談事項以外の内容でも、承認審査の過程でリスクになりうる点や論点になりそうな点がある場合、懸念や疑問がある場合には、照会事項や機構見解で助言して欲しい（数件あり）

その他

- 以前よりは応じていただけるケースも増えたと思うが、仮定の話にはごく一般論的な返答しか得られない
- 機構意見の理由説明が十分でなく、理解ができないことがあるため、その結論となった背景も十分説明いただけると助かる
- こちらの質問に対しては、「審査マターなので答えられない」の一点張りであったが、実際の審査でトライしたところ、受入れられたので、対面助言の段階でもご回答いただけたのではないかと考える
- 照会事項発出タイミングの変更は、特に外資系企業にとってインパクトがあるため、なるべく正確な予定日と時間を提示してほしい

《「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》

選択した理由

- 事后面談や追加相談を実施すると開発計画が遅延し、日本からの国際共同治験への参加の機会を逸するリスクが高まるため

- 今後の方針を検討する際に参考となるため(複数件あり)
- 代替案の提示があれば、事後面談なしで進むことが可能であったと思うため

代替案提示に関する具体的な要望

- 相談者の説明から合意に至る可能性が低いと想定される場合は、その理由を含め早いタイミング(たとえば機構意見の発出前など)に教えてほしい
- 理由とともに代替案を提示してほしい
- 提案が受入れ不可の場合「回答できません」「判断できません」とコメントされ、書面对応で終わってしまうことが多くみられる。企業と一緒に代替案の構築までを議論いただきたい
- 国際調和を前提に複数の代替案を提示いただけるとありがたい
- 参考として機構が考える代替案を聞ければ、より良かった
- 代替案を提示するタイミングの判断は難しいと思うが、面談当日よりも早い段階で示されると助かる(数件あり)
- 通知解釈一辺倒ではなく、既存データに基づいた科学的かつ建設的な議論を望む

«「3. その他」の自由記載»

PMDA 見解の提示

- 試験実施の前提に関わるような特に重大な点については、担当官からの補足としてでも、曖昧にではなく明確に懸念点や重大さを伝えていただけると、双方の理解が深化する
- 企業意見が受け入れられない場合、その明確な理由や代替案を提示してほしい(数件あり)
- PMDA の懸念や意図が分かるようにしていただきたい。また、機構意見においても、意図や提案を明確に提示していただきたい
- 判断根拠を詳細、明確に説明してほしい(数件あり)
- 記録に残さない内容でも構わないため、本音で何を考えているか教えてほしい
- 他品目でも適応可能な PMDA の考え方を共有いただければ満足度は上がると思う
- 事前面談と対面助言の意見が一致することが望ましい(数件あり)
- 機構意見の背景や意図を発出時により明確にしてほしい。回答提出後の面談当日に説明されても、今更感がある
- 対面助言では相談者側の提案について受け入れ可能であることを口頭で示唆されたものの、記録としては明記されていない。より具体的な記載を希望する

PMDA との議論

- 技術的・専門的なフリーディスカッションができると良い
- 機構意見が前例踏襲主義に基づくものであった。FDA と見解が異なるため、ドラッグラグにつながる懸念を面談時に指摘したが、各当局が独自に判断することであるため、そのような事態も想定しうるとの回答であった
- 機構見解後に PMDA の意見があまり変わらず、面談が形式的になってしまっているように考えられる。面談で議論した内容に基づき、柔軟に対応できる体制になることを望む
- 第 2 相試験終了後相談の時点で申請臨床パッケージを相談すると、第 3 相試験結果が得られてから改めて対面助言を実施するよう求められる。通常、同じ質問に対して海外当局は回答をしているという印象があり、日本の当局ももう少しフレキシブルな対応ができるのではないかと感じることもある(数件あり)

り)

照会事項

- 追加解析を必要とする照会事項が多いため、必要最低限のものに絞ることを検討してほしい
- 通常、対面助言では発出されないような内容の照会事項によってデータ提出が求められ、回答期限及び機構見解発出時期の延期につながった。一方で、これに関して機構見解及び面談において議論になることはなかった。当該照会事項で求められたデータが、治験薬概要書から得られる情報以上の価値があったか不明であった
- 照会事項を懸念点に絞って発出できないか検討いただきたい。詳細説明を求める照会事項が多いが、海外では変更検討を求めることに対して照会事項が出るため、照会事項の意図に理解を得るのが難しく、形式的なものであれば省略してほしい

その他

- 事前に共有されるスケジュールの遵守
- スケジュールに関する早めの情報共有
- Geteway のさらなる利活用(照会回答や、当日説明資料の提出等)(複数件あり)
- 照会事項に対する補足などを電話ではなくメールで送付してほしい(数件あり)
- 事前面談時に伝えられる、対面助言資料に含めるべき項目等について、メール等により書面で事前に送っていただき、事前面談で補足説明をしてほしい
- 対面助言で挙げた課題のフォロー体制の充実(事後相談や事前面談の活用)

2-1-5. 担当官とのコミュニケーション

Q18: 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。

《良かった点》

- 丁寧にコミュニケーションをとっていただき、照会事項等の疑問点を電話でクリアにできた(複数件あり)
- メールと電話により、コミュニケーションが良好に行われた(複数件あり)
- 相談終了後に担当官との雑談も、お互いの理解が深まった(数件あり)
- 追加データ提出等についても柔軟に対応いただいた
- 照会事項や機構意見を事前に伝達されたタイミングで受領でき、社内検討がスムーズであった
- 照会事項や機構見解の発出が予定より遅れたが、事前に連絡があり、どこが論点になりそうかコミュニケーションをとっていただいた。また、照会事項の意図を口頭で補足いただいた(数件あり)
- 事後相談の活用により、対面助言の結果を踏まえた代替案の受け入れ可能性について確認できた
- 担当者より機構の検討状況など伝達いただけたので、照会事項対応などがスムーズであった(数件あり)
- 機構見解を受領後、会社側が気にしていた点について、機構内でどのような議論が生じていたのかを問い合わせた際、教えてもらえて理解が深まった

《改善点、提案》

- 事前面談における、PMDAからの指導や提案は口頭ではなく書面でいただきたい(数件あり)
- WEB会議の場合に、カメラの方を見ていただけると、表情がみえてよい
- 機構意見の内容から書面对応を予定していたが、電話での追加コメントが申請時期に関わる重要なことであったため、慌てて面談を希望した。申請前相談では申請準備に直結するため、早めに教えてほしいかった
- 問合せや連絡等は、メールも活用いただけると電話での確認もより効率的である(複数件あり)
- 照会事項以外の問合せについて、ある程度まとめて問い合わせいただきたい
- 担当官が機構側意見の背景を理解していない
- 電話の声が聞こえづらい時がある。(原因として、担当官の在宅勤務、電話機の違いなどが推測される)(数件あり)
- Web面談で音声聞き取りにくい時があり、機器が常設された会議室を希望したい
- 照会事項や機構見解の内容に関して、適宜電話等で補足いただきたい。対面助言当日に論点になると考えられる点があれば事前にお知らせいただきたい
- 照会事項発出当日の夕方になっても発出時間が明確にならなかった。発出時間の目安を連絡いただけると、担当官への問合せも減り、社内調整も円滑になる

- 照会対応は短期間となるため、照会発出前の検討段階においても論点を共有する等、効果的な面談になるようなコミュニケーションをお願いしたい
- 照会発出のスケジュールを可能な限り守っていただき、変更がある場合は早めに教えていただきたい（数件あり）
- 試験実施の前提に関わるような重大な点については、照会発出時等に補足として明確に伝えていただきたい
- 照会事項は午後の早い時間にいただきたい
- 機構意見で大きな問題がなく、相談者側は書面对応を考えていたが、機構側の意向で対面となった面談で議論できたのは結果として良かったが、なぜ書面ではダメか理由は明確に伝えていただきたかった
- 主担当によってコミュニケーションの質（連絡の頻度、PMDA 側の事情、各種発出が遅れる際の事前のインフォメーションの丁寧さ、回答までの時間等）がかなり異なる

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)

Q19: 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。

《良かった点》

対面助言の質

1. 現時点の考えや率直な意見

- 対面助言の場で、現時点の考えということで、多くのコメントをいただけたことはよかった(数件あり)
- POC 試験の結果の捉え方に対して、対面助言の場で率直な意見を頂くことが出来た(数件あり)

2. 代替案や追加コメント

- 代替案を提示して頂けた点 メインの相談以外についても意見を頂けた点(数件あり)
- 照会事項や機構見解において、会社の方針が受け入れられない場合も、機構の意図を提示頂いた上で意図に則って代替案を提示頂いた点(数件あり)

3. 将来を見据えた助言

- 次相(P2b)治験のことだけではなく、その先の NDA 時の評価のポイントが推測できるような機構意見であった(数件あり)
- 再審査期間などについてもコメントを頂いた(数件あり)

4. 品目固有の対応

- PMDA 専門家の意見を聞けたこと。審査の論点を示していただけたこと(数件あり)
- 当該品目の状況が複雑であったが、機構内で内容を整理し、場合分けをして機構見解で提示いただけた(数件あり)

5. 相談事項以外の意見交換

- 書面でも非公式な意見交換の場を設定いただき、機構見解の理解が深まった(数件あり)
- 相談事項以外に対する意見交換で議論した内容は正式な議事録には残らないものの、当局の懸念点が明確になったことで、対応方針を早期に検討することができた(数件あり)

良好なコミュニケーション

1. 電話・メールでの丁寧な説明

- 電話上で、照会事項の背景や意図を丁寧に話していただけた(数件あり)
- メールでのやりとりに加え、電話でも意図を丁寧に説明していただき、スムーズなコミュニケーションをとれた(複数件あり)

2. 対面での率直な回答

- 面談時にこちらからの質問に対し、多くの時間を割いて正直ベースで回答してもらえた(数件あり)
- 対面助言の場で、現時点の考えということで、多くのコメントをいただけた(数件あり)

3. 双方向の議論・意図の共有

- 会議にて双方に質疑を重ねることにより、機構の考えや根拠をより多角的に掘り下げることができた(数件あり)
- 照会事項や機構意見発出後に、その意図や PMDA での考察点など共有いただけて、より深い議論ができた(数件あり)

4. 率直な意見

- 記録に残らない部分で本音ベースで意見をもらえたことで、PMDA の考えを深く理解できた(数件あり)

5. コミュニケーション全般の良好さ

- 良好なコミュニケーションが取れた(複数件あり)
- 明確かつタイムリーなコミュニケーション(数件あり)

柔軟な対応

1. 期限・スケジュール調整

- 回答提出期限に間に合わなかったが、柔軟に対応していただけた(複数件あり)
- 照会事項回答書の修正指示の対応に時間を要してしまったが、柔軟に受け入れていただけた(数件あり)

2. 面談形式・要望への対応

- 書面对応になったが、直接質問したい点があったため、面談を希望したところ、承諾いただいた点(数件あり)
- 対面と Web のハイブリッド形式による対面助言の実施を円滑に進めていただけた。海外メンバーの参加や座席表について、直前の変更を認めていただけた(数件あり)

3. 計画変更への対応

- 一度合意したデザインを大きく変更したが、柔軟に対応いただけた(数件あり)
- FDA 見解を踏まえて試験デザインを変更したため対面助言後に変更点を伝達したところ、改めて内容を検討しコメントするなどの PMDA 側の配慮があった(数件あり)

4. 国際共同試験や外部要因への配慮

- FDA/EMA とも並行して相談していることを理解していただけており、配慮いただけた(数件あり)
- 国際共同試験に参加できるタイミングの時間的制約があり、機構の皆様にご不便を掛けられたところがあったと思うが、柔軟に対応して頂けた(数件あり)

5. 相談者の事情への配慮

- 相談者の要望や治験スケジュールを考慮し、前向きに議論いただけた(数件あり)

スピード・効率性

1. スケジュール遵守・早期共有

- 照会事項発出スケジュールなどを早い段階で教えてもらうことができ、また、実際にスケジュール通りに進めていただけた(複数件あり)
- 相談資料提出の翌日に、照会事項・機構意見の発出予定日が提示され、その通りに進んだため、予定が立てやすかった(数件あり)

2. 対応の迅速さ

- メール・電話いずれにおいてもレスポンスを迅速にいただけたことは助かりました(数件あり)
- 担当官の対応が早く、不明点等も確認するとすぐに回答が得られた(数件あり)

3. 議事録の早期提供

- 相談記録案を予定より早く送付いただけたため、相談記録確定に向けて対応を円滑に進めることができた(数件あり)
- 事前面談の当日伝達事項を事前にメールで連絡して頂いたことが、効率的で良かった(数件あり)

4. タイムリーな対応

- 限られた時間でタイムリーに対応いただきました。また、当社側の問題で、メール送信が一時的にできなくなった際もフレキシブルに対応いただきました(数件あり)
- 架電でのやり取りを含めタイムリーかつ適切にご指示頂きありがたかったです(数件あり)

《悪かった点》

対面助言の質

1. 実行性の低い助言

- 「べき論」でどの Option も取れない状況になったときは、その優先順位や相談者のアクションに結びつくような助言を面談中にいただけたとよかった(数件あり)
- 相談の前提と異なる、PMDA 見解に基づく前提での回答となり、実際の今後の開発計画と異なる回答であったため(数件あり)

2. 回答の網羅性不足

- 相談者側で設定した質問事項全てに回答を得ることが出来なかった(数件あり)

3. 説明・確認不足

- 過去の事例と異なる結論であったにも係わらず、その違いの説明が不十分であった(数件あり)
- 添付資料や過去に提出済みの資料にて説明済みの内容について、確認されずに照会や見解が述べられていると感じる内容が見受けられた(数件あり)

スケジュール・公表タイムラインとの乖離

1. 回答期限が短い

- 照会事項回答期限が3日間と短かった(数件あり)
- 照会回答の納期が短く大変であった点(数件あり)

2. スケジュール遅延

- 照会事項、機構意見の発出が予定より遅れたこと(数件あり)
- 面談日がGW直後だったため、照会事項や機構見解のタイミングを事前に調整いただいたが、結果的に予定より発出が遅れた(数件あり)

3. 公表タイムラインとの乖離

- PMDA のサイトに記載の資料提出日では審査日数が足りないとのことで、提出日の前倒しを打診された。また、その際に PMDA 指定の提出日にも Gateway で再度の資料提出をするように求められた(数件あり)

- 公表されているタイムラインと異なり、相談資料提出を早めるよう要望があったこと(状況にもよるが、要望通りに対応することが困難な場合もあり得る)(数件あり)

《その他》

- 照会事項及び機構意見の発出日時を先に決めてほしい。その時間が決まっていないのに、相談者の回答提出時間だけ決まっているのは不公平。PMDAの担当者もいつ発出できるのかという相談者からの問合せを受けるよりも、PMDAと相談者の共通認識で時間を決めておく方がストレスがないと思う
- 事前見解段階で、双方合意された場合に、面談のキャンセルありきになるケースがみられています。しかしながら、実際面談を行うと双方の考え方(背景)をより理解できることも少なくありません。面談日程も事前に確保しているため、基本的には実施する前提にて、不要と企業が判断した場合にのみ、書面对応として頂けると有難いです
- 相談事項を記載した文書以外の添付資料について、英語での受入れ
- 国際共同試験に対して各当局の見解が異なり対面助言後に試験デザイン変更になるケースは多い。今回対面助言後も担当官とコミュニケーションできたことは大変有意義であったため、今後もこのような機会を継続してほしい
- 照会事項の内容をもう少し明確にしていただけると助かると思いました

2-2. 上記以外の相談

Q1:各相談に対する、問題点、意見要望

2023年10月～2024年9月の1年間(先駆け総合評価相談は2022年10月～2024年9月の2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、個々の品目毎に意見要望、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2024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。また相談数が多く、回答欄が不足する場合には適宜、欄を追加してご記入ください。下記の相談事例がなければ空欄で構いません。

なお、下記の相談を利用した事例がなく、意見要望がある場合は第1部1-5, Q8にご回答をお願いします。

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/再生医療等製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. 医薬品のBCSに基づくバイオウエバーに係る相談(令和2年12月25日追加)

2023年10月～2024年9月までの1年間に実施した以下の相談について、個々の事例毎に回答を得た。回答数は、22件であった。

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	5	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 面談終了後にもフォローアップの連絡をいただき大変助かりました ✓ 疫学相談の日程確定連絡を電話でなく、メールなどの文章で通知してもらうことは可能か？ ✓ 背景：照会事項日程調整から確定連絡などを電話で進めた場合、双方の認識確認のため、再度担当官に確認することがあります。確定情報は誤りがないよう、本相談ではメールでの日程確定通知を検討して頂ければと思います ✓ 第1部で述べたとおり、実施要項から想定していた事前面談と、実際の疫学調査計画相談前の事前面談とにギャップがあった。実施要項で必要事項を補足いただく、あるいは、上記相談に関する留意事項を周知いただくことなどで、上記相談が円滑に行えるものとする ✓ また、上記相談で確定した実施計画の主要な内容を変更する場合には「医薬品疫学調査追加相談」の利用が必要であると考えますが、既存の計画に変更はなく、探索的な解析を追加するような軽微な変更を行いたい場合、「医薬品疫学調査追加相談」の要否が不明瞭である。「医薬品疫学

相談区分	件数	主な意見, 要望等
		調査追加相談」が必要と考えられる主な事例を参考として提示いただくとありがたい
5. 医薬品/再生医療等製品先駆け総合評価相談	1	—
6. 医薬品開発パイプライン面談	4	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 開発早期における開発計画に関する情報共有のために利用。データを踏まえた議論はできないものの、企業から提出した情報の範囲内で、現時点での当局の考えを示していただけたため非常に有用であった ✓ 幅広い視点から助言いただき有益な相談となった。また、対面に加えて海外参加者を Web でつないだ Hybrid 形式で実施したが、問題なく面談を実施することができた ✓ 開発パイプライン面談の目的として「機構担当者と面談希望者がクローズな環境で自由に意見交換するための面談の場を提供するもので、面談希望者より開発パイプラインについての説明を受け、共有することを目的とします。」とあるが、「具体的な状況にならないと議論できない」というコメントが多く、自由な意見交換による建設的な議論があまりできない。確定的なコメントでなくとも、よりディスカッションとしてのオープンな意見交換ができるとよい
10. 医薬品/再生医療等製品レジストリ信頼性調査相談	1	—
11. 医薬品申請電子データ提出方法相談	4	—
12. 医薬品申請電子データ提出免除相談	3	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 希少疾病用医薬品に関し、CDISC 標準形式が免除される申請電子データ提出免除相談実施後に、2020 年（令和 2 年）4 月 1 日より前に開始されていた試験が新たに判明しました。本件、事前面談にて確認を試みましたが、対面助言での議論になるとのご意見でした。ですが、追加で確認を行う際の相談区分がなく、再度、申請電子データ提出免除相談を実施しましたが、通知で CDISC 免除が明確な範囲の内容であれば、事前面談やフォローアップ面談等を受け入れて頂きたいです。また、CDISC を含めた電子データを承認審査でどのように活用しているのか基本的な考え方を公表頂けると助かります。CDISC 免除範囲の確認を追加で行う際、適切な相談区分がない。事前面談やフォローアップ面談で対応希望 ✓ CDISC を含む電子データを承認審査でどのように活用しているか、基本的な考え方を公表希望
13. カルタヘナ関連相談	5	<ul style="list-style-type: none"> ✓ カルタヘナ法関連事項相談でしたが、相談の申し込み前に、事前相談で複数回資料内容について打ち合わせができたことから、実際には大きな問題点を指摘されることなくスムーズに完了できました。会社側からの質問や疑問点に対しても丁寧に対応していただいたと思います。なお、相談は対面ではなく、書面での対応となりました ✓ カルタヘナ法事前審査前相談（第 1 種）でしたが、相談の申し込み前に、事前相談で複数回資料内容について打ち合わせができたことから、

相談区分	件数	主な意見, 要望等
		<p>実際には大きな問題点を指摘されることなくスムーズに完了できました。会社側からの質問や疑問点に対しても丁寧に対応していただいたと思います。なお、相談は対面ではなく、書面での対応となりました</p> <p>✓ 事前面談の時点で相談者の提案に対して機構の考え方の方向性を示していただけると効率的にできるのではと考える（事前面談の時点で無いと伝えていたデータを機構としては必須と考えているのであれば事前面談の時点でその方向性を明示いただきたかった。）</p> <p>✓ RS 戦略相談の品質の相談と内容的に重なる点も多いので品質の相談の一部として対応いただけると良い。事前相談で複数回打ち合わせできたことで、スムーズに完了できた</p> <p>✓ 事前面談時点で機構の考え方の方向性を明示してほしい</p> <p>✓ RS 戦略相談と品質相談の内容が重なるため、品質相談の一部として対応希望</p>

以下の Q2 の設問に対する事例の回答はなかった。Q3 の設問に対する事例で 1 件回答があった。

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)

主な意見, 要望等	件数
✓ 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)	1

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)。

第3部 『新たに設置された治験相談区分について』

第3部では、小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置(2024年7月)に伴い新たに設置された希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談及び小児用医薬品開発計画確認相談に対する企業の考え方について64社から回答を得た。

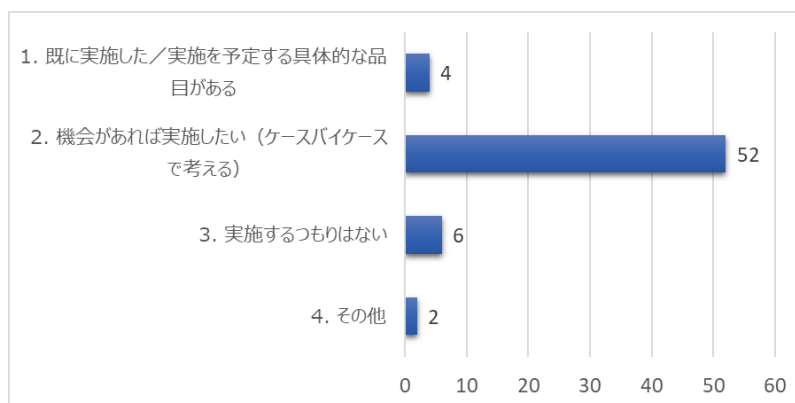
Q1: 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

新たに設置された希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談に対する、現時点での貴社の考え方をご回答ください。

1. 既に実施した／実施を予定する具体的な品目がある
2. 機会があれば実施したい(ケースバイケースで考える)
3. 実施するつもりはない
4. その他

当該相談における意見要望、問題点などがありましたら具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

本相談は2024年7月から受付が開始されたことから、「1. 既に実施した／実施を予定する具体的な品目がある」と回答したのは4社のみであった。「2. 機会があれば実施したい(ケースバイケースで考える)」が52社(81.3%)と最も多く、「3. 実施するつもりはない」は6社であった。



主なコメント・要望

- 優先審査非該当品目について、競合よりも早く上市したいなどの理由がある場合や開発過程で優先審査の要件に該当する可能性が生じた場合は当該相談区分を利用したい(数件あり)
- 今後実績・成果の共有を行い、本相談の有用性やメリットが発信されることを期待する(数件あり)
- 優先審査の該当・非該当の区分を廃止し、希少疾病用医薬品として指定された品目は全て優先審査・優先相談の対象としてほしい(複数件あり)
- 優先審査に該当しなくても希少疾病用医薬品はすべて優先的な相談を実施いただきたい。昨今では申請に必要な有効性データが得られた時点でしか「優先品目」に該当すると判断いただけず、優先的な相談を受けられる機会がほとんどない
- 個別の相談枠とする必要があるか疑問(数件あり)

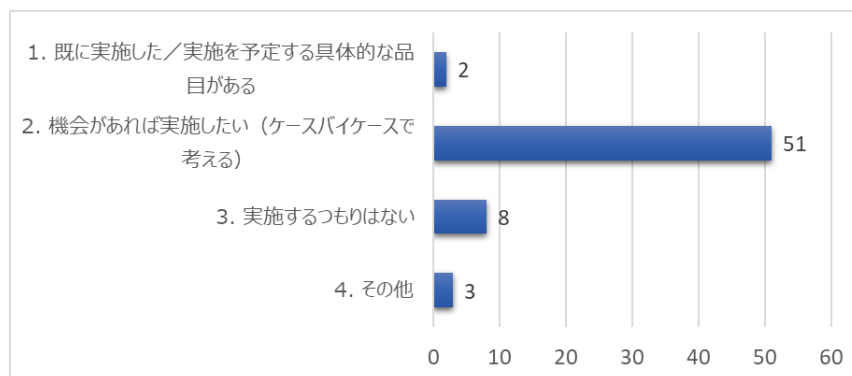
Q2:小児用医薬品開発計画確認相談

新たに設置された小児用医薬品開発計画確認相談に対する、現時点での貴社の考え方をご回答ください。

1. 既に実施した／実施を予定する具体的な品目がある
2. 機会があれば実施したい(ケースバイケースで考える)
3. 実施するつもりはない
4. その他

当該相談における意見要望、問題点などがありましたら具体的な内容を自由記載の欄にご回答ください。

本相談は 2024 年 7 月から受付が開始されたことから、「1. 既に実施した／実施を予定する具体的な品目がある」と回答したのは 2 社のみであった。「2. 機会があれば実施したい(ケースバイケースで考える)」が 51 社 (79.7%) ともっとも多く、「3. 実施するつもりはない」は 8 社であった。



主なコメント・要望

- 臨床試験デザインや申請パッケージの妥当性の相談ができないことや、CTD への記載で代替可能な場合があることなどから現時点で当該相談の活用ケースは限られる(複数件あり)
- 手数料の見直しまたは費用補助の拡充を検討いただきたい(数件あり)
- FDA/EMA と共同相談のフレームワークの立ち上げや英語での相談資料の受付も可能にいただきたい
- 小児開発計画を適切に立案し実施している場合に、本相談を実施していないという理由で小児加算の加算率が高くないということであれば、制度として適切かどうかという疑問が生じる。また実施要綱に必要な相談資料をもう少し具体的に記載していただければありがたい。既に小児試験を実施中の場合等は、資料が大幅に簡略化できると考える

総括及び提言

総括

第1部 『対面助言全般』

- 2024年度調査の総件数は350件であり、前回調査(2022年度)の458件から100件以上減少していた。この減少は、前々回の調査では367件であったことを考えれば、新型コロナウイルスワクチン戦略相談がなくなったことによるもので、平時の状態に戻ったと考えられた。個々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が続いている
- 第Ⅱ相試験終了後相談が114件と最も多く、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
- オープン枠での相談は、開発前期で0件、開発後期で11件実施されており、これまでと同様、開発後期で実施されていた
- 国際共同治験に関する相談件数は111件であり、前回調査108件と同様で、全体で3割程度の割合を占めていた。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、2024年度調査で62%(71件/114件)であり、前回調査64%(63件/98件)と同様の高い比率であった
- 事前評価相談は、前々回2020年度調査では実施した会社はなく、前回2022年度調査では4社(計18件)で実施されていたものの、実施件数が少なく、今回は2022年10月～2024年9月の2年間で調査対象とした。しかしながら、その実施は2社(10件)と前回調査の1年間と同様の件数に留まった。実施した2社は、前回同様「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、「積極的に受けたい」及び「ケース・バイ・ケースで考える」が合わせて約7割で、実施を考慮する会社は多かった。「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引き続き多数であった
- 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12社(18.8%)から寄せられた。その意見は、これまでの調査と大きな変化はみられず申請のタイムラインに影響しない取扱いや、複数枠実施などでの費用低減を求める内容であった
- 事前面談は、実施しないと回答した会社はなく、ケース・バイ・ケースで考える会社を含め、全ての会社で実施を考慮するとする回答であった。実施理由として挙げられた内容は、論点整理、相談資料の充足、審査部への事前説明や相互理解のためとされていた。また、事前面談の実施は必須ではないと考えている会社がある一方、PMDAから求められるため原則実施すると回答した会社もあった
- 事前面談全般への意見要望としては、書面での見解提供を希望する内容が多く、多くの会社で挙げられ、メモへの労力低減や、議論への集中など効率的・建設的な相談が望まれていた。また、面談内容の柔軟化など事前面談で取り扱う内容の拡大などもあった。さらに、対面助言時との不整合や、事前面談の複数回実施など、コミュニケーション不足ではないかと思われる内容もあった
- 相談枠新設／統廃合については、引き続き「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。また、現在多くの相談枠があり、利用の無い相談も数多く存在するが、統廃合して問題無いとする相談枠があると回答した会社は6社であった
- 対面助言全般で挙げられた問題点・意見要望や、対面助言の在り方については引き続き以下のような内容が挙げられた

- ✓ 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
- ✓ 照会事項や事前に発出される PMDA 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
- ✓ PMDA 側の照会や意見発出、相談者見解提出に関する公平なタイムライン
- ✓ 申込期日や手続の緩和や簡素化・柔軟な取扱い



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 259 件で、前回調査と比べ 29 件 (12.6%) 増加していた
- 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 (114 件, 44.0%)、前期第Ⅱ相試験開始前相談の割合が最も低かった (2 件, 0.8%)。前回調査と比べて、第Ⅰ相試験開始前相談、前期第Ⅱ相試験開始前相談、及び後期第Ⅱ相試験開始前相談の相談件数が減少 (11 件 [45.8% 減]、3 件 [60% 減]、11 件 [52.4% 減]) していたのに対し、第Ⅱ相試験終了後相談や申請前相談の実施件数が増加 (16 件 [16.3% 増]、20 件 [76.9% 増]) していた
 - ✓ 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 (76 件, 29.3%)、次いで第 6 分野の 1、第 1 分野の順で高い傾向にあった
- 今回調査では前回調査と比較し、「対面による助言」(前回調査: 1.3%, 今回調査: 12.4%) 及び「複数の方法を併用しての助言」(前回調査: 1.3%, 今回調査: 17.4%) の割合が大幅に増え、「Web 会議による助言」が大幅に減っていた (前回調査: 47.8%, 今回調査: 22.8%)。前回調査と同様、対面助言の約半数が「書面による助言」であった (前回調査: 50.0%, 今回調査: 47.5%)
- 94% 以上の対面助言で事前面談が実施されていた。また、そのうち 90% 以上は自ら申込みされていた。90% 以上が事前面談での議論や審査チームとのコミュニケーションが「充分であった」と回答された一方で、「充分ではなかった/どちらともいえない」との回答も 6% 程度認められた
- 国際共同試験の場合の PMDA/FDA/EMA との相談の順番について、前回調査と同様に FDA, EMA, PMDA の順番が 3 極で相談を実施した場合の過半数を占めた
- 対面助言の実施によって、その後の方針が「明確になった」あるいは「やや明確になった」という回答された事例は 9 割を超えていた。会社の方針が全て受け入れられることにより会社の方針が明確になったという事例が多かった。一方、たとえ会社の方針が受け入れられない事項があったとしても、多くの場合では PMDA との議論によってほとんどは今後の方針が決まっており、PMDA と議論によっても今後の方針が決まらなかった事例はわずか 1 件であった。対面助言は開発方針を明確にするために有用であり、対面助言における PMDA との十分な議論が重要である。対面助言の満足度をより上げるための要望として、相談事項が受け入れられない場合の代替案の提案を求める意見が多かった。また、相談事項としていない内容であっても、懸念やリスクになりうることなど、審査過程で論点になる可能性がある場合には PMDA から積極的に助言して欲しいというコメントも挙がった。形式的でなく、より専門的に十分なディスカッションを求めている
- 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 79.7%、「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 61.8%で最も多く、次いで「対面助言当日」27.5%であり、約 6 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 4.3%、「問題はなかった」が 95.7%であった。問題があった理由としては、承認申請や審査のポイントが明確にならなかったことが挙げられていた。問題がなかった理由としては、PMDA から助言や見解は提示されているため、社内の判断が可能であったこと、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、代替案を期待する相談内容ではなかったこと等が挙げられていた。前回調査では、問題ありとの回答が 38%であったのに対し、割合は大幅に減少していた

- 対面助言の満足度は非常に高く、「満足」が 78.4%、「やや満足」が 18.1%であった
- 「満足」の主な理由は、方針・機構意見・開発戦略の明確化と、相談者と審査チーム間の理解深化である。「やや満足」の理由として、相談事項が認められなかった時の理由の説明不足が複数見られた
- 「やや不満」「不満」の要因は、追加解析を要する照会事項の多さ、認識違いによる合意の長期化、事前面談時の意見提示不足（対面助言時での計画見直しや PMDA との認識相違）であった。「やや不満」「不満」は、事前面談をより活用し、双方のコミュニケーションを強化することで改善可能と考える
- 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

第 3 部 『新たに設置された治験相談区分について』

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- 本相談は 2024 年 7 月から受付が開始されたことから、「1. 既に実施した／実施を予定する具体的品目がある」と回答したのは 4 社のみであった。「2. 機会があれば実施したい（ケースバイケースで考える）」が 52 社（81.3%）ともっとも多く、「3. 実施するつもりはない」は 6 社であった
- 優先審査の該当・非該当の区分を廃止し、希少疾病用医薬品として指定された品目は全て優先審査・優先相談の対象としてほしいとの意見要望が複数あった

小児用医薬品開発計画確認相談

- 本相談は 2024 年 7 月から受付が開始されたことから、「1. 既に実施した／実施を予定する具体的品目がある」と回答したのは 2 社のみであった。「2. 機会があれば実施したい（ケースバイケースで考える）」が 51 社（79.7%）ともっとも多く、「3. 実施するつもりはない」は 8 社であった
- 臨床試験デザインや申請パッケージの妥当性の相談ができないことや、CTD への記載で代替可能な場合があることなどから当該相談利用のメリットが明確ではないとの意見が複数あった。また手数料見直し、FDA/EMA との共同相談のフレームワークの立ち上げや英語での相談資料の受付に関する要望があった

提言

本調査では、2023 年 10 月から 2024 年 9 月（先駆け総合評価相談及び事前評価相談は 2022 年 10 月から 2024 年 9 月）までに 350 件の対面助言が実施され、企業の医薬品開発において PMDA との議論の場として広く活用されていることが確認された。個々の相談に対する満足度はこれまで同様に高かった。

前回の提言で、特に相談者と PMDA の考え方に大きな乖離がある場合において、事前面談などの相談初期の段階でのより建設的な議論の必要性を要望したことを踏まえ、今回の調査では、事前面談の実態を把握するための項目を追加した。その結果、相談資料の完成度や対面助言の充実度を上げる観点などから、多くの企業が事前面談を重視し、対面助言前に実施していることが明確になった。また、データ判断を伴わない相談内容を事前面談で対応いただいた事例もあり、その柔軟な対応を維持いただきたいとの意見もあった。審査チームとの議論やコミュニケーションも、多くが十分であったと回答した一方で、「相談者側と PMDA 側の認識が異なったまま対面助言が実施された」、「より踏み込んだ本音での議論をしたい」といった事前面談でのより柔軟かつ建設的な議論を求める意見もみられた。さらに満足度が「やや不満」、「不満」と回答したコメントには、事前面談で十分なコミュニケーションをとることで解決できる内容が含まれていた。

本調査結果を踏まえ、双方向のコミュニケーションを強化することが、対面助言の更なる充実化に繋がると考える。

- 事前面談の段階から積極的かつ丁寧な双方向のコミュニケーションを推進する
- 相談者は事前面談で懸念点や考えを明確に示し、PMDA はその時点での見解をメリハリをつけて提示することで、相談者は PMDA の要求を理解し、適切に反映した相談資料を作成する
- PMDA 側及び相談者側の双方が十分に準備した上で事前面談の場を迎えられるよう、PMDA が事前に用意したコメントを面談前に相談者側に共有する仕組みを検討いただきたい

また、対面助言が更に活用しやすい制度となるよう、以下の点についても引き続き PMDA と議論させていただきたい。

- 機構見解内容の背景や根拠、対面助言当日の議論内容の相談記録への記載。例えば相談記録に記載したい内容、特に当日議論の記録の残し方などについて、対面助言の場で予め PMDA 側と相談者側で確認することも一案と考える
- 新設された相談枠（希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談、小児用医薬品開発計画確認相談等）の運用の最適化（優先審査／優先相談非該当の早期廃止）及び活用実績の公表
- 企業側がグローバルの相談予定を事前面談で示すことを前提に、PMDA、FDA、EMA 間での見解調整や共同相談の実施
- 相談申込期限の緩和や受付方法の柔軟化（例えば、月初から 1 週間など）や速報結果（Top line result）のみを用いた相談受付

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), 岡部裕美(アムジェン株式会社), 中村和重(EA ファーマ株式会社), 東一寿枝(エーザイ株式会社), 小川勝(科研製薬株式会社), 北原真理(キッセイ薬品工業株式会社), 種子島梨絵子(バイオジェン・ジャパン株式会社), 山本誠司(扶桑薬品工業株式会社), 野尻瑠美(丸石製薬株式会社), 森川祐子(マルホ株式会社), 栗下雅仁(ユーシービー・ジャパン株式会社)

➤ サブグループリーダー: 岡本卓子(第一三共株式会社), 中野恭嗣(塩野義製薬株式会社)

➤ 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, 梅田真紀子