

日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較 —2019年承認実績を中心に—

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉田昌生
主任研究員 澁口朋之

医薬産業政策研究所では、日本、米国、及び欧州の医薬品の承認情報及び審査期間に関して、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）、U. S. Food and Drug Administration（FDA）、及び European Medicines Agency（EMA）がそれぞれホームページ等で公表している情報をもとに、継続的に収集、分析している¹⁾。政策研ニュース第58号²⁾では2018年の承認実績を中心に、日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較を、政策研ニュース第59号³⁾では2019年に日本で承認された医薬品情報に関する分析結果を報告した。今回のニュースでは、2019年に日本、米国、および欧州で承認された新薬の承認品目数、審査期間等に関して調査した。

調査方法

PMDA、FDA 及び EMA のそれぞれのホームページに公表されている情報をもとに、標準的な統計解析ソフト Stata/IC 14.0 for Windows（Stata Corp LP, College Station, TX, USA）を使用し、審査期間は承認申請日から承認日までの期間として

算出した。

日本は、政策研ニュース第59号と同様、対象は PMDA ホームページの「新医薬品の承認品目一覧」⁴⁾に掲載されている医薬品とし、品目数は審査報告書ごとにカウントすることを基本に、同一成分の品目を複数企業が同時申請した場合や併用薬物療法にて複数成分が承認された場合は1品目として集計した。New Molecular Entity（NME）の集計は、申請区分が新有効成分含有医薬品に該当するものを対象とした。

米国は、FDA Center for Drug Evaluation Research（CDER）が承認した「CDER Drug and Biologic Approvals for Calendar Year」⁵⁾に掲載されている New Drug Application（NDA）及び Biologic License Application（BLA）に該当する医薬品を対象とした。NME の集計は、「New Molecular Entity（NME）Drug & Original BLA Calendar Year Approvals」に掲載されている医薬品を対象とした。

欧州は、EMA が中央審査方式にて承認し、「European Medicines Agency Annual Reports」⁶⁾

- 1) 医薬産業政策研究所. 「日本における新薬の臨床開発と承認審査の実績」リサーチペーパー・シリーズ No.69（2016年11月）
- 2) 医薬産業政策研究所. 「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較—2018年承認実績を中心に—」政策研ニュース No.58（2019年11月）
- 3) 医薬産業政策研究所. 「2019年に日本で承認された新医薬品とその審査期間」政策研ニュース No.59（2020年3月）
- 4) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 承認情報：
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html> Accessed on Sep 28, 2020.
- 5) Food and Drug Administration（FDA）. Drug and Biologic Approval Reports：
<https://www.fda.gov/drugs/drug-and-biologic-approval-and-ind-activity-reports/nda-and-bla-approvals> Accessed on Sep 28, 2020.
- 6) European Medicines Agency Annual Reports：
<https://www.ema.europa.eu/en/news/annual-report-2019-published> Accessed on Sep 28, 2020.

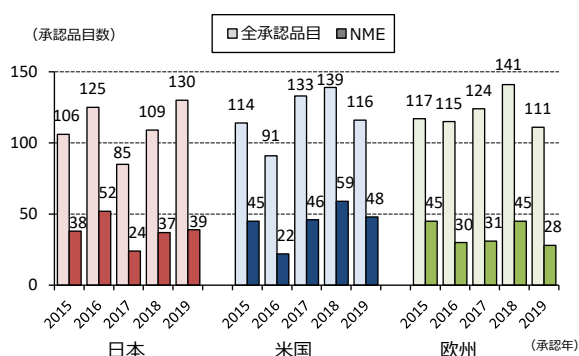
に掲載された医薬品を対象とした。NME の集計は、「New active substance」に分類されている医薬品を対象とした。

また、薬事上の特別措置として、日本では優先審査、迅速審査、希少疾病用医薬品、先駆け審査指定制度を、米国では Priority Review、Accelerated Approval、Orphan、Fast Track、Breakthrough Therapy を、欧州では Accelerated Assessment、Orphan、Conditional Approval、Exceptional Circumstances、Priority Medicine (PRIME) を対象に集計した。各薬事上の特別措置の内容は補足 (Page 65) にまとめた。

新医薬品の承認品目数の日米欧比較

過去 5 年間 (2015~2019 年) の日本、米国、及び欧州で承認された新医薬品の承認品目数を図 1 に示した。日本で 2019 年に承認された新医薬品の品目数は 130 品目で、2018 年より 21 品目増加し、過去 5 年間で最も多かった。そのうち、NME は 39 品目が承認され、2018 年と比較し 2 品目増加した。それに対し、米国では承認品目数が 116 品目、NME が 48 品目と、承認品目数の多かった 2018 年よりいずれも少なく、NME は 2015 年や 2017 年と同程度であった。欧州は 2019 年の承認品目数が 111 品目、NME が 28 品目であり、過去 5 年間で最も少ない品目数であった。

図 1 過去 5 年間の日米欧の承認品目数⁷⁾



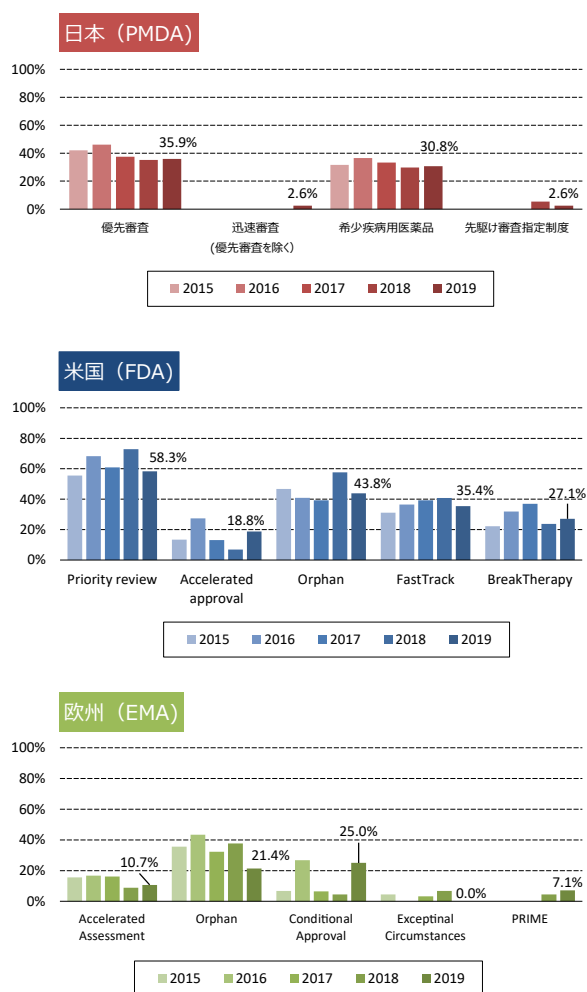
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

薬事上の特別措置を受けた承認品目数 (NME)

日米欧で過去 5 年間 (2015~2019 年) に承認された NME のうち、各地域の薬事上の特別措置を受けた品目数とその割合について調査した (図 2)。

2019 年に日本で承認された NME 39 品目中、優先審査 (希少疾病用医薬品を含む) は 14 品目 (35.9%)、迅速審査 (優先審査を除く) は 1 品目 (2.6%)、希少疾病用医薬品 (先駆け審査指定制度の指定品目を含む) は 12 品目 (30.8%)、先駆け審査指定制度の指定品目は 1 品目 (2.6%) であった。優先審査、希少疾病用医薬品は 2013 年以降それぞれ 35~45%、30~35% 程度の割合で推移していた。

図 2 薬事上特別措置を受けた NME 数の割合



出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

7) 日本の全承認品目数を再集計し、公表データ²⁾を一部修正した。

また、迅速審査（優先審査を除く）で NME が承認されたのは2012年以来であった。

米国では、2019年承認された NME 48品目中、Accelerated approvalを受けた品目が9品目（18.8%）と2011年以降で最多の品目数であり、割合としても2016年に次ぐ高い水準であった。また、Priority review は28品目（58.3%）、Orphan 指定品目は21品目（43.8%）、Fast Track指定品目は17品目（35.4%）、Breakthrough Therapy 指定品目は13品目（27.1%）であった。Priority reviewは、2014年以降、全体の割合が常に55%を超えて推移していた。

欧州については、2019年に承認された NME 28品目中、Conditional approvalを受けた品目が7品目（25.0%）と、2016年と同程度の高い割合を示した。また、欧州の新薬開発促進の措置として開始された PRIME の指定品目が2018年に続いて2品目（7.1%）承認された。一方、Accelerated Assessmentについては3品目（10.7%）と2018年同様の低い水準であり、Orphan 指定品目は6品目（21.4%）と過去5年間で最も低い割合、Exceptional Circumstances については該当する品目なかった。

新医薬品の審査期間の日米欧比較

日米欧で2019年に承認された新医薬品の審査期間（月数）を表1に示した。2019年承認品目のそれぞれの審査期間（中央値）は日本9.9ヶ月、米国

表1 日米欧の新薬審査期間⁷⁾

承認年	全承認品目				NME			
	審査期間（月数）				審査期間（月数）			
	N	中央値	平均値	標準偏差	N	中央値	平均値	標準偏差
日本（PMDA）								
2019年	130	9.9	9.9	3.3	39	10.0	10.9	4.8
2018年	109	9.9	9.7	4.8	37	10.3	10.7	7.0
米国（FDA）								
2019年	116	9.9	14.3	20.1	48	8.0	14.9	25.8
2018年	139	10.0	19.3	21.7	59	8.0	9.7	5.3
欧州（EMA）								
2019年	111	11.9	12.3	5.2	28	13.8	15.5	5.5
2018年	141	12.6	12.9	5.4	45	14.1	15.8	5.3

出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

9.9ヶ月、欧州11.9ヶ月であり、日本、米国が同様に欧州が長く、2018年と同様の傾向であった。NMEに関しては、2019年承認品目の審査期間（中央値）は、日本10.0ヶ月、米国8.0ヶ月、欧州13.8ヶ月であった。日本は米国より2.0ヶ月長く、欧州より3.8ヶ月短く、こちらも2018年と同様の傾向であった。

薬事上の特別措置を受けた品目の審査期間

2019年承認品目のうち、審査期間の短縮を目的とした薬事上の特別措置（日本：優先審査、先駆け審査指定制度、迅速審査、米国：Priority review、Accelerated Approval、欧州：Accelerated Assessment）を受けた品目について表2に示した。

日本では、2019年の優先審査品目承認数は全承認品目（38品目）、NME（14品目）ともに2018年とほぼ同数であった。審査期間（中央値）はそれぞれ8.0ヶ月、8.4ヶ月であり、通常審査品目の審査

表2 薬事上特別措置を受けた品目の審査期間⁷⁾

	承認年	全承認品目				NME			
		審査期間（月数）				審査期間（月数）			
		N	中央 値	平均 値	標準 偏差	N	中央 値	平均 値	標準 偏差
日本（PMDA）									
優先審査*	2019年	38	8.0	8.0	2.7	14	8.4	7.8	1.5
	2018年	38	8.0	8.1	2.7	13	8.0	7.6	3.0
うち、先駆け 審査指定制度	2019年	2	5.3	5.3	0.9	1	5.9	5.9	－
	2018年	3	5.1	5.0	1.0	2	5.0	5.0	1.4
迅速審査**	2019年	13	5.9	6.3	1.7	1	8.7	8.7	－
	2018年	9	4.0	4.4	0.8	0			
通常審査	2019年	79	10.7	11.4	3.1	24	11.0	12.7	5.2
	2018年	62	10.9	11.6	5.1	24	11.0	12.4	8.0
米国（FDA）									
Priority review	2019年	43	6.8	7.4	2.6	28	7.6	7.3	2.3
	2018年	58	8.0	13.0	21.0	43	8.0	8.1	3.1
うち、 Accelerated Approval	2019年	9	5.7	6.8	2.8	9	5.7	6.8	2.8
	2018年	7	7.9	7.7	1.7	4	8.0	8.6	1.5
Standard review	2019年	73	10.0	18.4	24.4	20	12.0	25.6	37.8
	2018年	81	12.0	23.8	21.3	16	11.9	13.9	7.4
欧州（EMA）									
Accelerated Assessment	2019年	3	8.5	8.6	0.6	3	8.5	8.6	0.6
	2018年	6	8.2	9.9	4.3	4	8.2	8.2	0.2
Accelerated Assessment以外	2019年	108	12.1	12.4	5.2	25	14.2	16.3	5.3
	2018年	135	12.9	13.0	5.4	41	14.7	16.5	4.9

*：日本の優先審査に、先駆け審査指定制度、希少疾病用医薬品を含む。

**：優先審査との重複品目を除く。

出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

期間（中央値）と比較して2ヶ月以上短かった。詳しく見ると、優先審査の38品目中、審査期間が10ヶ月を上回った品目はわずかに2品目のみであり、残り36品目の審査期間はPMDAが目標とする9ヶ月より短いことが確認できた。優先審査のNME 14品目の審査期間に至っては、全て目標の9ヶ月以内を達成していた。また、先駆け審査指定制度の指定品目として2品目（そのうちNME 1品目）承認されたが、それらの審査期間はPMDAが目標とする6ヶ月より短いことが確認できた。

米国では、2019年のPriority review指定品目の承認数が全承認品目（43品目）、NME（28品目）ともに2018年より減少したが、審査期間（中央値）はそれぞれ6.8ヶ月、7.6ヶ月と2018年に比べて短くなっていた。なお、2019年はAccelerated approvalを受けた品目が9品目と多かったことを先に述べたが、審査期間（中央値）は5.7ヶ月とこちらも2018年に比べて短くなっていた。また、Standard reviewに関しては、審査期間のばらつき（標準偏差）は大きいものの、FDAが設定している標準審査期間と同じ10ヶ月となっていることが確認できた。審査期間のばらつき（標準偏差）については、Priority review 指定品目ではPMDAの優先審査同様に小さく安定していた。

欧州では、日本や米国と比較して優先的に審査を受けた品目の割合は少なかったが、2019年のAccelerated Assessment指定品目の審査期間（中央値）は8.5ヶ月と、指定を受けていない品目と比較して3ヶ月以上短かった。なお、PRIMEの指定を受けたNME 2品目は、Accelerated Assessmentの適用を受けて承認されていることが確認された。また、2019年はConditional approvalを受けたNMEの割合が承認を受けたNME全体の25%を占めたが、Conditional approvalは審査期間の短縮を目的とした指定ではないことから、審査期間に大きな影響を与えなかった⁸⁾。

審査期間上位5品目による日米欧比較（NME）

2019年に承認されたNMEのうち、日本、米国、及び欧州での、審査期間が最も短い上位5品目に絞り、薬事上の特別措置との関係を調査した（表3）。

日本では、審査期間上位5品目全て薬事上の特別措置を受けており、それらの中には先駆け審査指定の対象品目も含まれていた。上位5品目の審査期間は3.4～8.0ヶ月とNME 39品目の審査期間の中央値10.0ヶ月と比較して非常に短かった。

米国では、審査期間上位5品目全て複数の薬事上の特別措置指定を受けており、それらの審査期間は3.1～5.1ヶ月と、NME 48品目の審査期間の中央値8.0ヶ月はもとより、Accelerated approvalを受けたNME 9品目の審査期間の中央値5.7ヶ月よりも短かった。

対して欧州では、審査期間上位3品目のみ、審査期間の短縮を目的とした薬事上の特別措置であるAccelerated Assessmentの指定を受けていた。上位3品目については10ヶ月より短い審査期間となっていたが、5位以降のNME 24品目は1年以上の審査期間がかかっていることが確認された。

また、米国と欧州の上位5品目の中に日本発の新医薬品がそれぞれ1品目（ENHERTU、Xospata）ずつ含まれていた。それらの品目は、薬事上の特別措置の文言（補足参照）を参照すると、重篤疾患への本質的革新をもたらすような画期的新薬、または、公衆衛生上大きなベネフィットをもたらす画期的新薬として認可されたことが確認できた。

審査期間の中央値の年次推移（日米欧）

日本、米国、及び欧州で承認された医薬品の承認年毎（2000～2019年）の審査期間（月数）を表4に、審査期間の中央値の年次推移を図3に示した。

調査対象の全期間における審査期間の中央値は、日本11.2ヶ月、米国10.2ヶ月、欧州13.6ヶ月であった。年次推移を見てみると、2000～2010年までの期間は概ね米国、欧州、日本の順に審査期間

8) 2019年にConditional approvalを受けたNME 7品目の審査期間（月数）は、中央値 15.7、平均値 16.5、標準偏差 8.4であった。

表3 日米欧の審査期間上位5品目 (NME)

	順	申請会社	製品名	効能・効果	薬事上の特別措置	申請日	承認日	審査期間 (月)
日本	1	ギリアド・サイエンス	ビクタリビ	HIV-1感染症	希少疾病用、迅速審査	2018/12/14	2019/3/26	3.4
	2	中外製薬	ロズリートレク	NTRK 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌	先駆け審査指定、希少疾病用	2018/12/19	2019/6/18	6.0
	3	ファイザー	ビジンプロ	EGFR 遺伝子変異陽性の手術不能又は再発非小細胞肺癌	優先審査	2018/5/28	2019/1/8	7.4
	4	ギリアド・サイエンス	エブクルーサ	前治療歴を有する C 型慢性肝炎又は C 型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善	優先審査	2018/5/15	2019/1/8	7.8
	5	日本新薬	デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群 (肝中心静脈閉塞症)	希少疾病用	2018/10/17	2019/6/18	8.0
米国	5	第一三共	ヴァンフリタ	再発又は難治性のFLT3-ITD変異陽性の急性骨髄性白血病	希少疾病用	2018/10/17	2019/6/18	8.0
	1	VERTEX PHARMACEUTICALS	TRIKAFTA	treatment of cystic fibrosis in patients 12 years and older who have at least one F508del mutation in the CFTR gene	✓ Priority Review ✓ Orphan ✓ Fast Track ✓ Breakthrough Therapy	2019/7/19	2019/10/21	3.1
	2	DAIICHI SANKYO	ENHERTU	treatment of adult patients with unresectable or metastatic HER2-positive breast cancer who have received two or more prior anti-HER2-based regimens in the metastatic setting	✓ Priority Review ✓ Accelerated Approval ✓ Fast Track ✓ Breakthrough Therapy	2019/8/29	2019/12/20	3.7
	3	BEIGENE USA	BRUKINSA	treatment of adult patients with mantle cell lymphoma (MCL) who have received at least one prior therapy	✓ Priority Review ✓ Accelerated Approval ✓ Orphan ✓ Breakthrough Therapy	2019/6/27	2019/11/14	4.6
	4	GLOBAL BLOOD THERAPEUTICS	OXBRYTA	treatment of sickle cell disease in adults and pediatric patients 12 years of age and older	✓ Priority Review ✓ Accelerated Approval ✓ Orphan ✓ Fast Track ✓ Breakthrough Therapy	2019/6/26	2019/11/25	5.0
欧州	5	BAYER HEALTHCARE PHARMACEUTICALS	NUBEQA	treatment of patients with non-metastatic castration resistant prostate cancer (nmCRPC)	✓ Priority Review ✓ Fast Track	2019/2/26	2019/7/30	5.1
	1	Merck Sharp & Dohme	Ervebo	a vaccine to protect adults aged 18 years and older against Ebola virus disease caused by the Zaire Ebola virus	✓ Accelerated Assessment ✓ Conditional Approval ✓ PRIME	2019/3/11	2019/11/11	8.0
	2	Astellas Pharma Europe	Xospata	treatment of patients who have relapsed or refractory acute myeloid leukemia (AML) with a FLT3 mutation	✓ Accelerated Assessment	2019/2/7	2019/10/24	8.6
	3	bluebird bio	Zynteglo	treatment of transfusion-dependent β -thalassaemia (TDT)	✓ Accelerated Assessment ✓ Conditional Approval ✓ PRIME	2018/8/21	2019/5/29	9.3
	4	AbbVie Deutschland	Rinvoq	treatment of moderate to severe active rheumatoid arthritis		2018/12/18	2019/12/16	11.9
	5	AbbVie Deutschland	Skyrizi	treatment of psoriasis		2018/4/26	2019/4/26	12.0

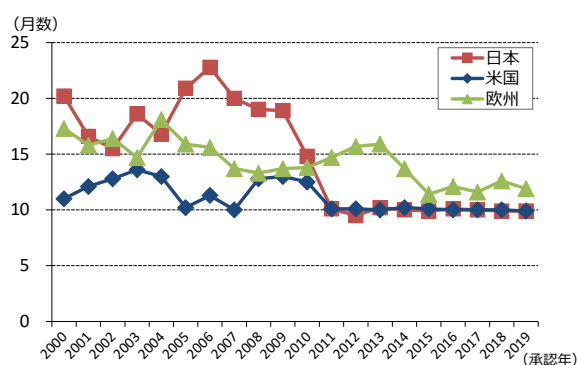
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

表4 審査期間 (月数) の推移 (2000年~2019年) ⁷⁾

承認年	日本 (PMDA)				米国 (FDA)				欧州 (EMA)			
	N	審査期間 (月数)			N	審査期間 (月数)			N	審査期間 (月数)		
		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差		中央値	平均値	標準偏差
2000	70	20.2	28.1	21.9	98	11.0	16.4	15.7	20	17.3	17.1	3.8
2001	56	16.6	24.0	19.0	66	12.1	16.7	10.9	34	15.8	15.3	4.9
2002	62	15.5	20.9	18.9	77	12.8	18.9	14.9	28	16.4	16.4	2.5
2003	47	18.6	20.8	14.9	73	13.6	20.6	19.7	14	14.7	15.6	4.9
2004	46	16.8	18.2	14.8	107	13.0	19.2	14.8	31	18.1	18.2	5.0
2005	61	20.9	20.4	14.3	74	10.2	18.2	18.1	20	15.9	16.0	3.7
2006	72	22.8	28.7	19.9	92	11.3	20.5	18.1	39	15.6	16.2	4.8
2007	83	20.0	25.1	20.7	65	10.0	15.8	14.0	57	13.7	13.6	4.4
2008	78	19.0	20.0	11.0	79	12.8	18.9	24.0	50	13.3	13.0	5.5
2009	94	18.9	19.5	8.6	87	13.0	21.5	30.3	64	13.7	13.9	5.7
2010	102	14.8	18.5	20.1	82	12.5	20.3	23.5	31	13.8	13.7	6.5
2011	131	10.1	11.7	7.8	85	10.1	16.4	13.3	52	14.7	14.2	5.9
2012	120	9.5	9.4	3.7	89	10.1	15.7	15.5	37	15.7	15.9	5.3
2013	124	10.2	9.9	6.8	93	10.0	15.6	14.9	65	15.9	16.4	5.5
2014	137	10.0	10.5	3.9	106	10.2	15.7	15.0	67	13.7	14.1	6.1
2015	106	9.9	11.4	19.2	114	10.1	16.4	17.7	117	11.4	11.9	4.7
2016	125	10.1	10.3	3.4	91	10.0	14.4	12.7	115	12.1	12.4	4.4
2017	85	10.0	9.9	3.4	133	10.0	13.8	16.5	124	11.6	12.4	6.2
2018	109	9.9	9.7	4.8	139	10.0	19.3	21.7	141	12.6	12.9	5.4
2019	130	9.9	9.9	3.3	116	9.9	14.3	20.1	111	11.9	12.3	5.2
合計	1838	11.2	15.3	14.1	1866	10.2	17.3	18.3	1217	13.6	13.7	5.5

出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図3 審査期間（中央値）の年次推移



出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

が長い傾向であったが、2011年に日本では大幅な審査期間の短縮を認め、それ以降、日本と米国の審査期間の中央値は同様（約10ヶ月）、続いて欧州の順に審査期間が長くなっていた。欧州も2015年からは審査期間の短縮を認め（約12ヶ月）、以降、2019年まで同様の審査期間で推移していた。また、審査期間のばらつき（標準偏差）を経年で見ると、日本の審査期間は米国や欧州と比べて品目ごとのばらつきが比較的小さく安定していることが確認された。

考察とまとめ

本稿では、日本、米国、及び欧州で2019年に承認された新医薬品の承認品目数および審査期間について、それぞれの規制当局の公表情報を元に集計、比較調査した。

2019年の承認品目数は、日本は過去5年間で最も多かったものの、米国および欧州は2018年と比較してともに減少していた。このことは、米欧の2018年の承認品目数が過去最高水準であったことも影響していると考えられた。また、NMEの承認品目数と薬事上の特別措置品目についての調査からは2つの特徴が見られた。1つ目の特徴は、米国でのAccelerated approvalと欧州でのConditional approvalの承認品目数が過去最高水準であったこと。これらの特別措置は、重篤疾患、公衆衛生上緊急性の高い医薬品やオーファンへの患者アクセスを早めることが目的となっている措置である。2つ目は、日本の希少疾病用医薬品、米国の

Orphan 指定品目の承認数は直近5年間、高い割合で推移し続けていたことである。これら2つの特徴から考察すると、世界の各企業が希少疾病用を含むアンメット・メディカル・ニーズの高い医薬品の開発に対して引き続き積極的に投資していることが考えられた。

新医薬品の審査期間については、日本の審査期間（中央値）は米国と同様であり、欧州より短い傾向を示し、2011年以降続くこの傾向は2019年も持続していた。NMEに限定した場合は、米国の審査期間（中央値）が最も短く、日本、欧州の順となっており、2018年と同様であった。この差を詳細に理解するために、日本のNMEに占める優先審査指定品目の割合や審査期間を米国や欧州と比べると、米国ではNMEに占めるPriority review 指定品目の割合が日本と比べて高いだけでなくその審査期間も短い。一方、欧州のNMEではAccelerated Assessment 指定品目の審査期間自体は日本と同等であるものの指定品目の割合が大幅に低く、かつ、Accelerated Assessment以外のNME審査品目の審査期間が長い。以上のことから、各地域のNMEの審査期間（中央値）の差が出ていることがわかる。また、2019年に承認された日米欧の審査期間上位品目（NME）も合わせて見ることで、各地域で画期的な治療法の早期実用化に向けての制度が活かされ、審査期間の短い品目は概ね複数の薬事上の特別措置にまたがって指定を受けている状況が確認できた。

現況、日本（PMDA）、米国（FDA）、及び欧州（EMA）ともに、患者さんへの革新的な医薬品のアクセスを早めることを主眼に審査期間の短縮を目的とした特別措置を整備し、企業がそれら制度を戦略的に活用し投資を継続することでその目的を果たし、患者さんの健康や公衆衛生上の課題に貢献をするというサイクルがうまく回っていると考える。医薬品の研究開発が多様化・高度化する中、その時代に見合った制度がさらに整備されていくことを期待する。

【補足】日米欧の薬事上の特別措置の説明²⁾

	特別措置の種類	対 象	特別措置の内容
日本	優先審査	希少疾病用医薬品は指定されると自動的に優先審査品目になる。それ以外は重篤な疾病で医療上の有用性が高い（医療の質の向上に明らかに寄与）と認められた品目	総審査期間の目標が、通常の12ヶ月から9ヶ月に短縮される。
	迅速審査	迅速に審査する必要があると当局から判断されたもの（優先審査とは別）。事前評価済公知申請品目は自動的に迅速審査扱い。承認申請者の申請に基づく指定ではない。	迅速審査のプロセスが適用される。
	希少疾病用医薬品	日本で対象患者数が5万人未満であること（あるいは指定難病）、医療上特にその必要性が高い、開発の可能性	助成金交付、優先対面助言、優先審査（総審査期間の目標：9ヶ月）、再審査期間延長（最長10年）、税額控除などの支援措置を受けられる。
	先駆け審査指定制度	4つの要件をすべて満たす（①治療薬の画期性②対象疾患の重篤性③対象疾患に係る極めて高い有効性④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思）	優先相談（優先的な治験相談品目としての取り扱い）、事前評価の充実（先駆け総合評価相談を受ける）、優先審査（総審査期間の目標が6ヶ月に設定）、コンシェルジュ（審査パートナー）、再審査期間の延長（最長10年）
米国	Priority Review	有効性あるいは安全性に重大な改善をもたらすような臨床成績が得られた新薬	標準的審査期間が6ヶ月（通常は10ヶ月）と設定。
	Accelerated Approval	重篤疾患を対象に、サロゲート／中間的エンドポイントの成績から、Unmet Needsを満たすことが想定されるような新薬。（患者へのアクセスを早めることが目的）	臨床的ベネフィットが十分証明されていない段階で審査、承認される。ただし、第四相試験が課せられる。（なお、試験の結果、当初想定したようなClinical Benefitが得られなかった場合は、取り下げ、あるいは効能など添付文書の変更となる。）
	Orphan	米国で患者数が原則20万人に満たない疾患に対して開発される新薬	医薬品指定を受けると税制優遇、助成金、申請手数料免除、プロトコル相談などの優遇を受けることができる。＊別途Priority Review 指定が必要
	Fast Track	重篤な疾患に対してUnmet Needsを満たす、あるいは既存薬がない、既存治療を上回る可能性のある新薬	開発から審査に至るまで、FDAが特別にサポートする制度。開発中はFDAとのMeetingなどを持つ機会が増える。＊別途Priority Review 指定が必要
	Breakthrough Therapy	FastTrackより更に本質的革新をもたらすような画期的新薬の可能性のあるものを指定する。	Fast Trackで得られる措置に加え、経験豊かな審査担当が直接携わるなどの優遇策が図られる。＊別途Priority Review 指定が必要
欧州	Accelerated Assessment	公衆衛生上大きなBenefitをもたらす画期的な新薬。	150日でCHPMの見解が得られる特別なタイムクロックが与えられる。
	Orphan	EU内で患者が1万人中5人以下、重篤・慢性的かつ認可された代替治療のない疾患を対象とする新薬	プロトコルへの助言、各種手数料の減額や研究開発費の補助、10年間の市場独占権など。なお、審査期間について、特別なタイムラインを規定されていない。
	Conditional Approval	重篤な疾患に対する医薬品、公衆衛生上緊急性の高い医薬品、オーファンのいずれかで、3つの条件に全てに適合	臨床データが不足していても、承認後のデータ取得義務を課すことを条件に承認を与える。＊追加の試験成績にて有効性・安全性が確認された段階で通常承認
	Exceptional Circumstances	特別な理由（臨床情報が収集困難、倫理的に許されない等）により通常必要となる情報が十分収集できない場合	臨床データが不足していても、制限付きで承認を与える。市販後の追加情報が求められ、使用範囲も非常に限定される。＊データ取得が困難であり、状況解除はない。
	PRIME	①既存治療より有用性が大きく上回る又は治療選択肢のない患者への効果②早期臨床でUnmet Medical Needsを有する患者に利益をもたらすpotentialを示す	EMA審査官への面会、審査チーム、専門家チームによるkick-off meetingを組織、専用連絡先の設定、各マイルストーンでのscientific advice、申請の段階でのAccelerated Assessmentの確認 等

出所：PMDA、FDA、EMAの各公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成