

<基本的考え方>

- 希少性疾患に苦しむ患者のもとに、少しでも早く新薬を届けるため、先駆け審査指定制度の前段階において、アカデミア主体による研究開発のスピードアップを図ることにより、入口から出口まで一気通貫でトータルの開発期間を短縮

<具体的な内容>

- AMED創薬支援戦略部(西日本統括部)による“目利き”評価や企業導出等の支援
- PMDAコンシェルジュを**PMDA関西支部**に配置し、手厚くサポート
- AMED・PMDA相互の緊密な連携による出口戦略で企業への橋渡しを促進
- 特区内の臨床研究中核病院**における研究開発で、先駆け審査指定の要件を満たす希少性の高いアンメットメディカルニーズが対象

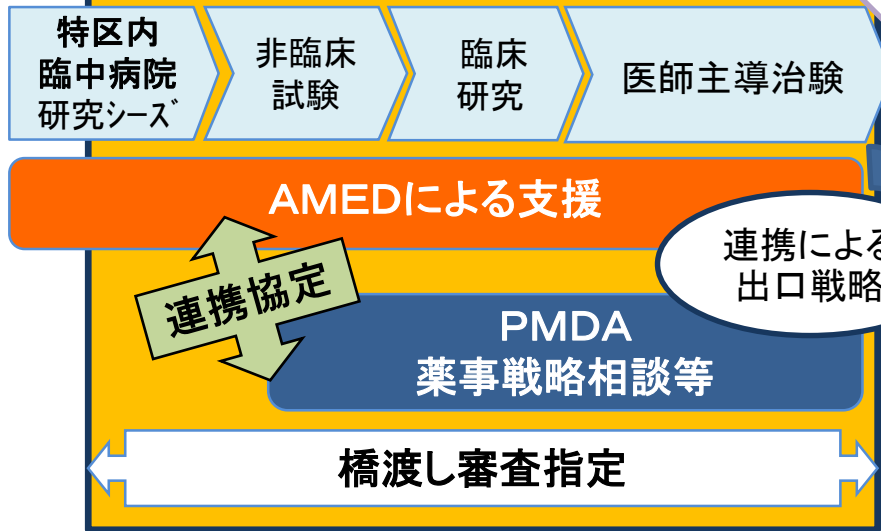
※臨床研究中核病院：日本発の革新的医薬品等の開発に向け、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う他の医療機関における臨床研究のサポートや質の向上の役割も担う

橋渡し審査指定制度を創設

⇒特区内の臨床研究中核病院が実用化に向けて開発する研究シーズを早期に指定し、企業への橋渡しまでを手厚くサポート。トータルで実用化を促進

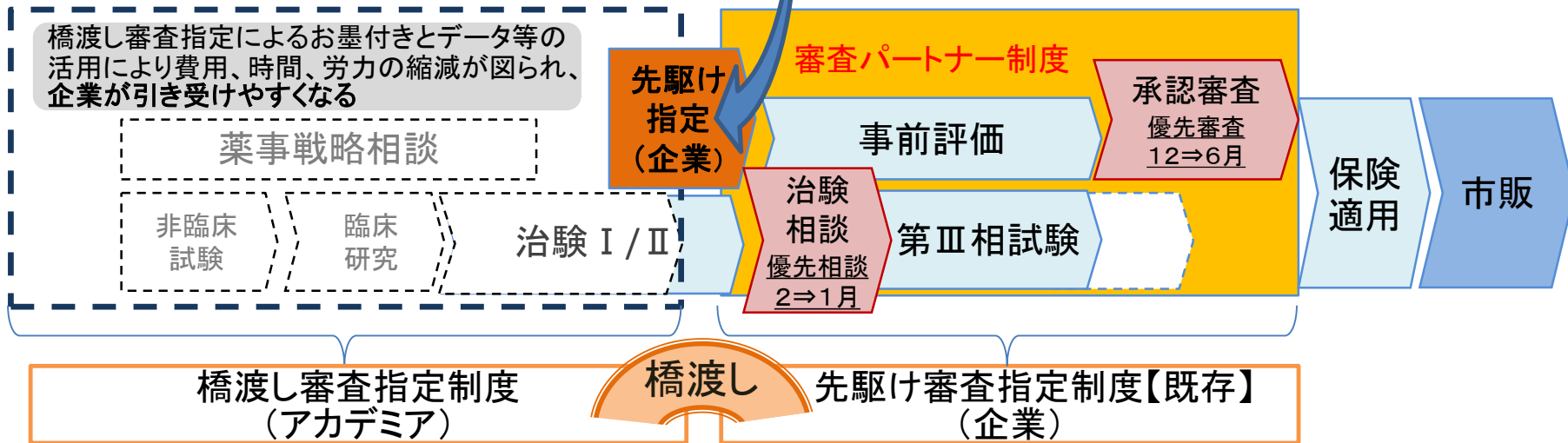
【橋渡し審査指定制度】

【橋渡し審査指定制度】



- AMED創薬支援戦略部西日本統括部による支援(“目利き”評価や企業導出等)
 - PMDA関西支部にコンシェルジュを配置し、手厚い相談等により、開発の迅速化をサポート
 - AMEDとPMDAの緊密な連携により、特区内臨床研究中核病院の研究シーズを厳選し、橋渡し審査指定
- ⇒企業への橋渡しを促進(出口戦略)

【既存の先駆け審査指定制度へ】



切れ目のない支援により、開発初期段階から出口まで一気通貫で実用化へスピードアップ!!

希少性疾患に係る革新的医薬品の開発迅速化

■ 対象とする領域【対象範囲】

○ 特区内の臨床研究中核病院が主体的に行う研究開発の中から厳選

＜想定する要件＞

① 治療薬の画期性

- ・ 原則として既承認薬と異なる新作用機序
（同じ作用機序でも有効性の大幅な改善が見込まれるものを含む）

② 対象疾患の重篤性

- ・ 生命に重大な影響のある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状が継続している疾患

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

○ 大阪大学医学部附属病院が主体的に開発に取り組んでいる医薬品の例

◆ 去勢抵抗性前立腺癌にHVJ-Eを用いた治療

◆ 膵がんに対する新しいワクチン療法の試み

◆ 新規修飾核酸によるパーキンソン病治療

◆ 炎症性腸疾患を対象にした経口核酸医薬による新規治療法

◆ 新規標的分子に対する抗体と人工核酸を用いた抗癌剤の開発