

(別添 8)

対面助言のうち、再生医療等製品の治験相談に関する実施要綱

1. 対面助言の区分及び内容

本実施要綱の対象とする対面助言の区分及び内容については、本通知の別紙 5 のとおりです。なお、拡大治験の実施が予想される再生医療等製品の開発においては、可能な限り、主たる治験に関する臨床試験デザインの相談を利用することを勧めます。

2. 対面助言の日程調整

対面助言の日程調整を希望する場合には、以下の手順に従って対面助言日程調整依頼書を作成し、電子メールにより審査マネジメント部審査マネジメント課あてに提出してください。電子メールでの提出が困難な場合、審査マネジメント部審査マネジメント課にご連絡ください。なお、受付時間外に到着したものは、受付の対象外としますので、了承ください。

- (1) 本通知の別紙 5 に示す相談区分（再生医療等製品手続相談、再生医療等製品拡大治験開始前相談、再生医療等製品製造販売後臨床試験等計画相談及び再生医療等製品製造販売後臨床試験等終了時相談を除く。）の対面助言を希望する場合は、実施日を調整するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則（平成 16 年細則第 4 号。以下「業務方法書実施細則」という。）の様式第 6 号の表題部分を「対面助言日程調整依頼書」と修正し、必要事項を記入してください。

対面助言日程調整依頼書の受付日時は、機構ホームページに掲載します。原則として、相談を実施する月の 2 ヶ月前の月の第 1 勤務日の午前 10 時から午後 4 時としていますが、状況に応じて受付日を変更しますので、機構ホームページを確認してください。ただし、先駆け審査指定制度の対象再生医療等製品及び先駆的再生医療製品に指定された再生医療等製品（以下「先駆け審査指定再生医療等製品」という。）、希少疾病用再生医療等製品に指定された再生医療等製品並びに特定用途再生医療等製品に指定された再生医療等製品のうち対面助言の優先的な取扱いを希望するものについては（2）の手順に従ってください。

- (2) 再生医療等製品手続相談、再生医療等製品拡大治験開始前相談、再生医療等製品製造販売後臨床試験等計画相談及び再生医療等製品製造販売後臨床試験等終了時相談を希望する場合並びに先駆け審査指定再生医療等製品、希少疾病用再生医療等製品及び特定用途再生医療等製品に指定された再生医療等製品のうち対面助言の優先的な取扱いを希望する場合には、実施日を調整するため、業務方法書実施細則の様式第 6 号の表題部分を「対面助言日程調整依頼書」と修正し、必要事項を記入してください。なお、予定する相談が再生医療等製品手続相談に該当するか否か不明な場合には、あらかじめ事前面談等により確認してください。受付日は国民の祝日等の休日を除く月曜日から金曜日としています。
- (3) なお、上記（1）に該当するものであっても、保健衛生の観点から迅速に対応する必要がある場合等、対面助言を適時適切に行う必要があると機構が判断した場合には、（1）とは別に対面助言の日程調整を行うことがありますので、必要に応じて事前面談等により確認してください。

3. 相談の形態

(1) 書面による助言

書面による助言は、上記 2. の対面助言の日程調整により対面助言を受けることが決定した品目のうち相談者の事前の了解が得られた場合に行います。書面による助言を希望する場合には、対面助言日程調整依頼書及び日程調整結果を受けて提出する「再生医療等製品対面助言申込書」（業務方法書実施細則の様式第 6 号。以下同じ。）に、書面による助言を希望する旨を記入してください。なお、不明な点がありましたら、事前面談等により適宜確認してください。

(2) 開発戦略に係る相談

以下の留意点を踏まえた上で、本相談を申し込んでください。

- ・開発戦略に係る相談は、より効率的かつ効果的な再生医療等製品の開発戦略を練ることを目的として、機構と相談者がその時点で得られている試験成績、科学的見地に基づき、予想される開発の結果を想定した上で、当該再生医療等製品の開発計画の全体像、申請データパッケージ等について、将来的予測も踏まえつつ議論を行うものです。
- ・したがって、当該相談以降に得られた試験成績や科学技術の発展による仮説設定の妥当性の変化等により、機構の判断等が変わることがあります。
- ・本相談を申し込む場合は、対面助言日程調整依頼書及び再生医療等製品対面助言申込書の「相談内容の種類」欄に「開発戦略の相談あり」と記載し、相談資料には相談事項の項目ごとに開発戦略に係る相談であることを明示してください。

申込先及び疑義がある場合の照会先：

〒100-0013 東京都千代田区霞が関3-3-2 新霞が関ビル

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部審査マネジメント課

電話（ダイヤル） 03-3506-9556

ファクシミリ 03-3506-9443

電子メールアドレス：shinyaku-uketsuke@pmda.go.jp

受付時間：月曜日から金曜日まで（国民の祝日等の休日を除く。）の午前9時30分から午後5時までです。ただし、上記2.（1）に従い対面助言日程調整依頼書を提出する場合の受付時間は午前10時から午後4時までです。

4. 対面助言日程の調整方法

(1) 上記2.（1）に従い対面助言日程調整依頼書が提出されたものは、本通知の別紙9に定める分野ごとに以下の手順に従って、対面助言実施日時を調整します。

① 対面助言日程調整依頼書に記載された希望日時を参考にして、対面助言実施日時を調整します。

②記載された希望日時で決定できなかった場合には、原則として受付日からの第2、3勤務日に電話により日程調整依頼月の前後1ヵ月以内の別の日時に設定可能か相談します。

(2) 上記2.（2）に従い対面助言日程調整依頼書が提出されたものは、(1)とは別に、随時、対面助言実施日時を調整します。

5. 対面助言の日程等のお知らせ

(1) 対面助言の日程調整結果は、受付日から起算して原則として5勤務日以内に「対面助言実施のご案内」により、相談者の連絡先あてにファクシミリで連絡します。

(2) 書面による助言を行う場合であっても、事務運用上、対面助言実施日は上記4. の日程調整により決定した対面助言実施日とします。

6. 対面助言手数料の払込みと対面助言の申込み

(1) 上記5.（1）の対面助言実施のご案内を受信した日の翌日から起算して15勤務日以内又は資料搬入日のいずれか早い期日に、該当する相談区分の手数料を市中銀行等から振り込んだ上で、再生医療等製品対面助言申込書に必要事項を記入し、振込金受取書等の写しを添付の上、電子メールにより審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。電子メールでの提出が困難な場合、審査マネジメント部審査マネジメント課にご連絡ください。ただし、先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言では、資料搬入日に依らず、上記5.（1）の対面助言実施のご案内を受信した日の翌日から起算して15勤務日以内に、手数料の払込み及び対面助言の申込みを行ってください。

なお、手数料額及び振込方法の詳細については、それぞれ業務方法書実施細則の別表及び「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う審査等の手数料について」（平成26年11月21日薬機発第1121002号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通

知)を参照してください。

- (2) 再生医療等製品対面助言申込書「相談内容の概略」欄の内容が欄内に収まりきらない場合は、「詳細は別紙()のとおり」と記入して、別紙を添付するとともに、当該欄内には1～5行程度に要点を整理した簡潔な概略(相談事項の箇条書き等。図表等を除く、テキストのみ。)を記入してください。
- (3) 再生医療等製品対面助言申込書には、日程調整の結果を記入してください。その際、書面による助言を行う場合でも、上記5.(2)の対面助言実施予定日を記入してください。

7. 対面助言の資料

対面助言の資料については、以下のいずれかの方法により、審査マネジメント部審査マネジメント課へ提出してください。

- ・電子媒体(CD又はDVD)の郵送又は持参による提出
- ・申請電子データシステム(ゲートウェイシステム)を利用したオンライン提出

相談資料の提出に際しては機構ホームページに掲載している留意事項を事前に確認してください。

(1) 資料の提出日

相談資料の提出日は対面助言実施のご案内に記入して連絡します(先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言を除く。)。資料の提出日は以下が目安となりますが、①及び②の治験相談において、ゴールデンウィークや年末年始等を含む期間については、さらに1週間前の月曜日(午後3時まで)とします。

- ① 再生医療等製品手続相談及び再生医療等製品拡大治験開始前相談では、原則として対面助言実施予定日の2～3週間前の月曜日(午後3時まで)
 - ② 再生医療等製品手続相談及び再生医療等製品拡大治験開始前相談以外の相談では、原則として対面助言実施予定日の5週間前の月曜日(午後3時まで)
 - ③ 先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言では、原則として対面助言日程調整依頼書の提出日と同日(午後3時まで)となります。先駆け審査指定再生医療等製品以外の優先対面助言品目は別途指示する日とします。
- (2) 機構の相談担当者より相談希望者に資料の提出日を早めることについて事前に相談し、了解が得られた場合にはこの目安よりも早めることがあります。
 - (3) 再生医療等製品拡大治験開始前相談を再生医療等製品探索的試験終了後相談及び再生医療等製品申請前相談と同時に申し込む場合であって、再生医療等製品探索的試験終了後相談及び再生医療等製品申請前相談と全く同一の添付資料(実施済みの治験総括報告書、関係論文等)については、再生医療等製品拡大治験開始前相談への添付は省略可能とします。なお、申し込み手続き等については、それぞれの相談で行うようお願いいたします。

8. 対面助言の資料に盛り込む内容

- (1) 資料に盛り込む内容は、相談事項により異なりますが、例えば再生医療等製品の治験計画を相談する場合には、以下の情報が全体として含まれていれば有用と考えられます。

① 当該疾病に対する治療法

類似製品があれば、予定される効能、効果又は性能、用法又は使用方法の概要等について、比較表を作成してください。

② 既存治療法の問題点と被験製品の予想されるメリット

既存治療法の問題点があれば示し、被験製品にメリットの可能性があれば説明してください。

③ 海外の添付文書及びその邦訳

EU各国で同一の場合は一カ国の英文のもので十分です。

④ 開発の経緯図

製品開発、非臨床試験、国内外の臨床試験、特定細胞加工物としての開発等のうち主要なものを、それぞれ開始から終了まで年表形式により一覧表としたものを作成してください。

また、開発業者の合併等による会社名の変更を除き、開発者が変更された場合はこれがわかるように記載してください。

⑤ 完全な臨床データパッケージ

ア 臨床試験について、体内動態試験、効力又は性能を裏付ける試験、探索試験、検証試験等の試験カテゴリーに分類できる場合は分類し、試験番号及び試験実施期間（計画の場合はその旨）とともに付記して、承認申請に用いる臨床パッケージを記載してください。

イ 海外データの利用を検討している場合には、国内、国外に分けて、それぞれを記載するとともに、ブリッジング戦略による開発を計画している場合には、ブリッジング試験及びブリッジング対象試験が明らかとなるようにしてください。

⑥ 最新の被験製品概要

本対面助言に先立って実施したR S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）の際に確認された品質及び非臨床安全性に関する試験等の概要を記載してください。

⑦ プロトコル案及び患者用説明文書案

⑧ 臨床試験一覧表

ア 国内における臨床試験及び承認申請に利用することを考えている海外における臨床試験成績については、「新医薬品の製造又は輸入の承認申請に際し承認申請書に添付すべき資料の作成要領について」（平成13年6月21日医薬審発第899号厚生労働省医薬局審査管理課長通知。以下「資料作成要領通知」という。）別紙5の表5.1に沿ってこれらを取りまとめ、一覧表を作成してください。

なお、各臨床試験に使用した製剤の製法・規格等が異なる場合には、その旨を備考に示してください。

イ 本表については、機構の担当者の作業の円滑化のため、表データ形式にして、電子媒体で提供してください。

⑨ 毒性試験一覧表

既に実施されている毒性試験について、資料作成要領通知別紙4の表2.3.7.1に沿ってこれらを取りまとめ、一覧表を作成してください。

⑩ 関係論文

重要なもののみで結構です。

⑪ 過去の対面助言（治験相談含む）記録及び再生医療等製品事前面談記録（該当する場合に限る。）

⑫ 最新の安全性定期報告（該当する場合に限る。）

(2) 自ら治験を実施しようとする者による治験に係る相談においては、その者が開発計画全体を把握していない場合であっても、少なくとも以下のような申込添付資料を用意してください。

① 当該疾病に対する治療法

類似製品があれば、効能、効果又は性能、用法又は使用方法の概要、使用上の注意等について、比較表を作成してください。

② 既存治療法の問題点と被験製品の予想されるメリット

既存治療法の問題点があれば示し、被験製品にメリットの可能性があれば説明してください。

③ 海外の添付文書及びその邦訳

EU各国で同一の場合は一カ国の英文のもので十分です。

④ 最新の被験製品概要書

⑤ プロトコル案及び患者用説明文書案

⑥ 関係論文

重要なもののみで結構です。

⑦ 過去の対面助言（治験相談含む）記録及び再生医療等製品事前面談記録（自ら治験を実施しようとする者が申込みをしたものであって、該当する場合に限る。）

- (3) 再生医療等製品材料適格性相談をする場合には、相談資料において、平成25年3月8日付け厚生労働省医薬食品局審査管理課事務連絡「細胞・組織加工医薬品等の製造に関連するものに係る原薬等登録原簿登録申請書及びその申請書に添付すべき資料の作成要領について」別添第3の1及び2を参考に、特に以下の情報が含まれていれば有用と考えられます。

- ① 対象とする材料の各ヒト・動物由来成分について、由来、原産国及びドナースクリーニングの内容
- ② 対象とする材料の各ヒト・動物由来成分について、セル・バンク・システムを構築する場合にあっては、セル・バンク、バルク等におけるウイルス安全性にかかる管理の内容及び製造に使用する原材料のウイルス安全性にかかる管理
- ③ 対象とする材料及び／又は材料の各ヒト・動物由来成分について、ウイルス不活化／除去工程に関するウイルスクリアランス工程特性解析試験及び／又はウイルスクリアランス工程評価試験
- ④ 対象とする材料の組成成分及び含量

9. 対面助言の取下げ、日程変更

- (1) 対面助言の申込み後（先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言にあっては対面助言日程調整依頼書の提出後）、その実施日までに、申込者の都合で、取下げを行う場合には、業務方法書実施細則の様式第33号の「対面助言申込書取下願」に必要事項を記入し、審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言において、対面助言日程調整依頼書の提出後、申込みの前に取下げることになった場合は、一旦、申込みを行ってから、「対面助言申込書取下願」を提出してください。

先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言以外の対面助言では、「対面助言申込書取下願」と併せて、業務方法書実施細則の様式第34号の「医薬品等審査等手数料還付請求書」に必要事項記入の上、提出された場合には、手数料の半額を還付します。先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言については、手数料の還付は行いませんので、ご注意ください。

- (2) 申込者の都合で実施日の変更を行う場合は、一旦、「対面助言申込書取下願」を提出し、再度申込みを行っていただきますので、「対面助言申込書取下願」を審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言以外の対面助言においては、併せて、「医薬品等審査等手数料還付請求書」に必要事項記入の上、提出された場合には、手数料の半額を還付します。先駆け審査指定再生医療等製品の優先対面助言については、手数料の還付は行いませんので、ご注意ください。
- (3) 機構側の都合で実施日の変更を行う場合や、実施日の変更がやむを得ないものと機構が認めた場合は、「対面助言申込書取下願」を提出する必要はありません。
- (4) 取下げる場合であっても、機構がやむを得ないものとして認めた場合は、手数料の全額を還付します。

10. 対面助言の実施

- (1) 対面助言実施日の前日までに、出席者人数、相談者側専門家又は外国人の出席の有無（通訳出席の有無を含む。）、プレゼンテーションの際に使用する機材について、機構の担当者まで連絡してください。

なお、出席人数については、会議室の広さとの関係上、1相談につき15名以内としてください。

- (2) 対面助言当日は、機構受付で対面助言の予約がある旨を伝えていただき、その案内に従ってください。
- (3) 再生医療等製品手続相談及び再生医療等製品拡大治験開始前相談を除く治験相談においては、相談者側からの相談事項の説明と機構側からの指導及び助言をあわせて、全体として120分以内を目途として実施します。この際、相談者側からの相談事項の概略についての20分程度のプレゼンテーションをお願いします。その後相談を実施します。なお、

プレゼンテーション用資料の写しにつきましては、できれば1週間前に、遅くとも前々日までに相談担当者まで電子メール等により提出してください。

- (4) 再生医療等製品手続相談においては、相談者側からの相談事項の説明と機構側からの指導及び助言をあわせて、全体として30分以内を目途として実施します。また原則として、専門委員は同席しません。
- (5) 再生医療等製品拡大治験開始前相談においては、相談者側からの相談事項の説明と機構側からの指導及び助言をあわせて、全体として60分以内を目途として実施します。

1 1. 対面助言記録の伝達

対面助言が終了した後には、相談者に内容を確認の上、機構において記録を作成し、相談者に伝達します。なお、再生医療等製品手続相談にあってはポイントを簡潔に整理した要旨とします。

1 2. その他

相談内容に対する機構の見解を対面助言の前に文書で提示します。