

## 企業からのヒアリング結果まとめ

	A社	B社
オーファンドラッグ開発促進の措置・運用について	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 助成金の意義は大きい。(新たな評価指標の探索、バリデーションにも費用がかかる。)</li> <li>● 優先治験相談にはメリットは感じない。</li> <li>● 優先審査はありがたいが、実際には、現在の9か月ラインでも照会事項対応等が大変である。さらに短縮するとなると会社側に大きな負担となる。</li> <li>● 照会事項の絞り込み(疾病に関する教育的な照会はやめるなど)を希望する。あるいは、事前評価制度が機能すれば会社側のリソースも分散できる。</li> <li>● 薬価は利益に直結する重要な事項であり、開発当初の想定価格と大幅なズレが生じると大きな問題となる。</li> <li>● 開発時に将来の薬価について相談できる制度があるとよい。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 優先審査、優先治験相談については、全体的な審査期間の短縮、治験相談待ち時間の短縮により、メリットは相対的に低下した。</li> <li>● 欧米と比べて、先発権の保護(データ保護、市場独占)のためのルールが強固ではないことが懸念される。</li> <li>● 品目の特徴にもよるが、手数料の減額、助成金については大きなメリットは感じない。助成金の申請手続きに煩雑さを感じ、労力的な問題を伴う。なお、特にバイオベンチャーから見ると、助成金について、先行投資的な要素がほしい。</li> <li>● 税制優遇措置と助成金の紐付けを切り離して欲しい。仮に助成金を申請せずとも税制優遇には意義がある。</li> <li>● 薬価については、オーファンドラッグは原価計算方式による場合が多いため、市場性加算の恩恵はあまり受けられない。</li> </ul>
オーファン指定の基準・運用について	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 病名できちんと定義できる疾患は患者数に関するデータが得やすい。症状名で規定せざるを得ない場合は作業が困難。</li> <li>● 積極的に活動している学会があると対応しやすい。</li> <li>● 米国では研究者個人や患者団体がオーファン指定の申請者になれる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 指定要件のうち「開発の可能性」がネックになる。</li> <li>● 臨床データ(海外を含む)を要求されることがほとんどである。国際共同試験により海外と同時開発で第 / 相試験のみで申請する場合には、ヒトでの成績が得られてからの指定申請を行うことになると、ほとんどメリットが得られない可能性が高い。</li> <li>● 指定の申請(資料案の事前相談)から指定までのタイムラインを明確化してほしい。</li> </ul>
指定の早期化により期待されるメリット	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 審査当局とのコミュニケーションが良好になる。</li> <li>● 医師主導治験等の研究費申請がしやすくなる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 指定されると、治験相談時あるいは審査時にフレキシブルな対応を受けることが容易になる。(指定されなくても、最近では治験相談時に詳細な説明をすれば柔軟な対応(例:少ない症例数)を受けられることが多いが)</li> </ul>

	A 社	B 社
ウルトラオーファンドラッグの開発について	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 患者の登録制度が整備されるとよい。現在は一部の特殊な疾病に限られている。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 患者数が極端に少ない疾患では、全く異なる目線で開発戦略を考えることが必要となる。</li> <li>● 事業の継続性が重要であり、(取扱い品目全体による企業単位ではなく)品目単位で赤字にならないことが前提となる。</li> <li>● 自然経過が分かっている疾患は開発に手を付けやすい。過去に研究されてこなかった疾患では、文献もなく、患者の診断・特定さえできないことがある。このため疾患の自然経過を知ることが極めて重要になる。</li> <li>● 患者登録システム(レジストリ等)について、国等からの助成金を得ている期間は活動するが、その後の継続性に問題がある。これまでは、せっかく集めた情報も第三者からアクセスしにくい側面があった。</li> </ul>
申請データパッケージ	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 研究者の自主臨床研究データや文献データ(historical dataとして)をもっと評価してほしい。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 機構相談などを通じ、開発着手前の早い時期に予め審査側と合意することが重要である。</li> </ul>
市販後安全対策の負荷	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 市販後調査はかなりの負担になっている。</li> <li>● 再審査期間を通して全例のフォローアップを求められている品目がある。例数を絞る、期間を限定するなどの対応が必要である。</li> <li>● 市販後安全対策の費用も薬価で十分に考慮してほしい。</li> <li>● 市販後費用も助成金の支給対象とはできないか。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 特に患者数が限られているような場合には、施設を限定して深い調査を行うなどの工夫が必要である。</li> <li>● web 利用による関係者の負担軽減を検討したらどうか。</li> <li>● 患者登録(レジストリ等)がきちんとできていれば市販後のモニターにも使えるかもしれない。</li> <li>● 欧州では患者会が中心となり継続性のある登録制度を運用している例がある。</li> </ul>
その他		<ul style="list-style-type: none"> <li>● Named patient や Compassionate use など、早期アクセスのためのシステムが脆弱に感じる。(当該新薬の承認時期に悪影響を与えないようメリハリが必要ではあるが)</li> <li>● 行政、企業、アカデミア間など Regulatory Science の観点での対話がさらに必要であろう(欧州ではこのような機会が持たれている)</li> </ul>