

ト部 陽子¹、岩森 智子¹、来栖 克典²、古館 直典²、花本 典子¹、宇都宮 聡子¹、奥田 龍太郎¹、砂村 一美¹、西村 幸浩¹、
平井 寛二¹、岩崎 直子²、鶴岡 淨²、尾中 淳子²、カン 洪月²、高橋 明子²、増淵 聡²、中島 啓行²、綿引 友博¹

COI開示：演題発表内容に関連し、発表者らに開示すべき利益相反はありません。

1 米国研究製薬工業協会（PhRMA）
2 欧州製薬団体連合会（EFPIA）

■ PhRMA又はEFPIA Japan加盟会社27社を対象に、2025年度（2025年4月～2026年3月）の承認品目（新医薬品）についてアンケート調査を実施し、回答が得られた76品目について分析した。

■ 76品目のうち70品目（申請区分が「バイオ後続品」、「その他の医薬品」の6品目を除く）において、審査期間（80パーセントイル）は、通常審査品目が11.3カ月（総合機構の審査期間目標値は12カ月）、優先審査品目が8.8カ月（同9カ月）であった。

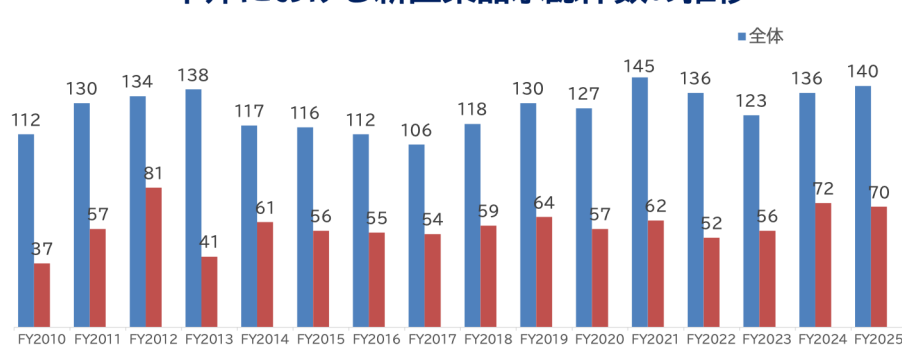
■ 優先審査品目は16品目（21%）、希少疾病用医薬品指定品目は15品目（20%）で、先駆的医薬品指定品目及び条件付き承認制度利用品目はいずれもなかった。

■ 臨床データパッケージにおけるピポタル試験は、国際共同第3相試験が59%、国際共同第2相試験が1%であった。

■ 67品目（事前評価済公知申請の3品目を除く）のうち、欧米で承認申請した品目は59品目（88%）であり、そのうち24品目（36%）において日本が最初に申請又は同時申請（最初の国の申請から3ヵ月以内）を達成した。

■ 承認適応が小児を含んでいない53品目のうち、小児開発を別途行う予定があるのは11品目であり、そのうち8品目が小児開発について成人の審査終了までにPMDAの確認を受けた。

本邦における新医薬品承認件数の推移



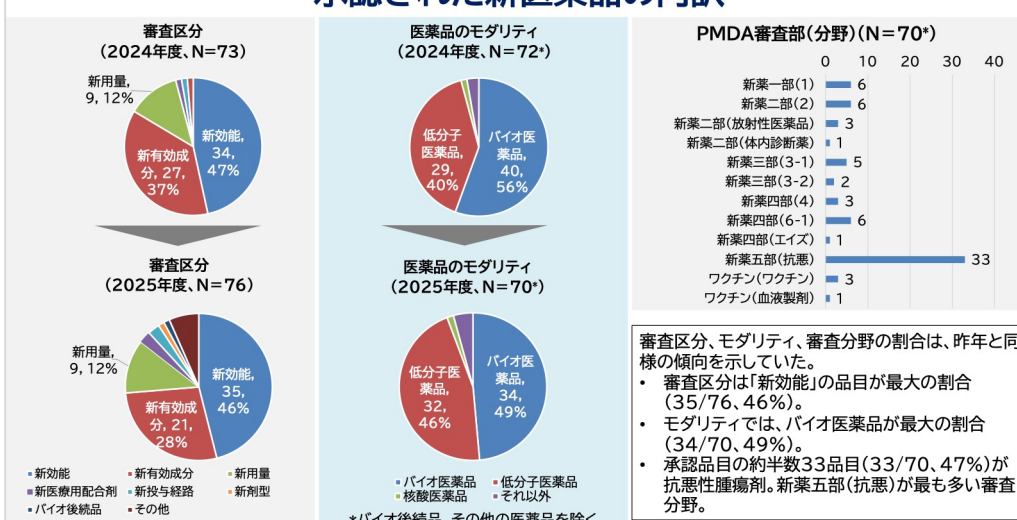
PhRMA又はEFPIA加盟会社における承認品目は、2025年度の新医薬品承認件数の約半数（50%）を占めた（70/140）。

審査期間の推移（通常審査及び優先審査）



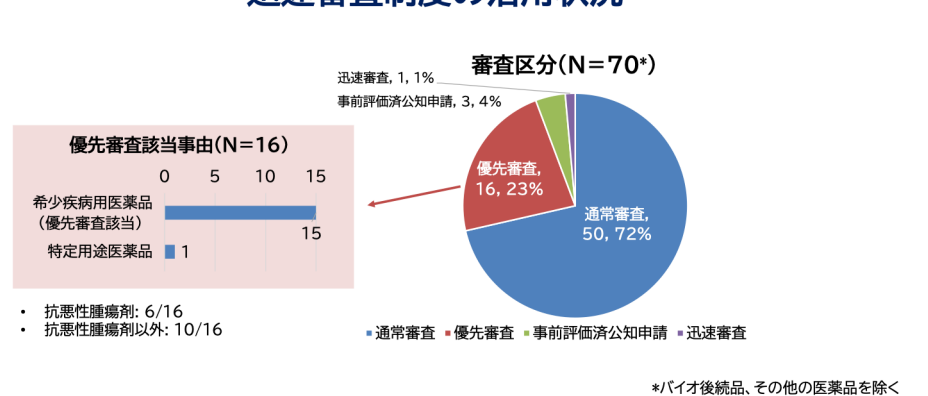
・2025年度における新医薬品の審査期間は、通常審査で11.39月（80パーセントイル）、優先審査で8.8か月（80パーセントイル）であった。
・審査期間は過去10年で概ね一定水準を維持している。

承認された新医薬品の内訳



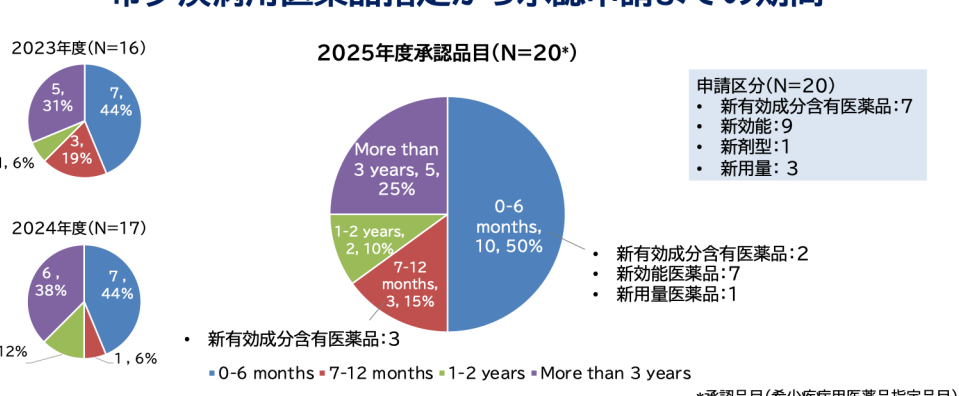
審査区分、モダリティ、審査分野の割合は、昨年と同様の傾向を示していた。
・審査区分は「新効能」の品目が最大の割合（35/76、46%）。
・モダリティでは、バイオ医薬品が最大の割合（34/70、49%）。
・承認品目の平均3品目（33/70、47%）が抗悪性腫瘍、新薬5品目（抗悪性）が最も多い審査分野。

迅速審査制度の活用状況



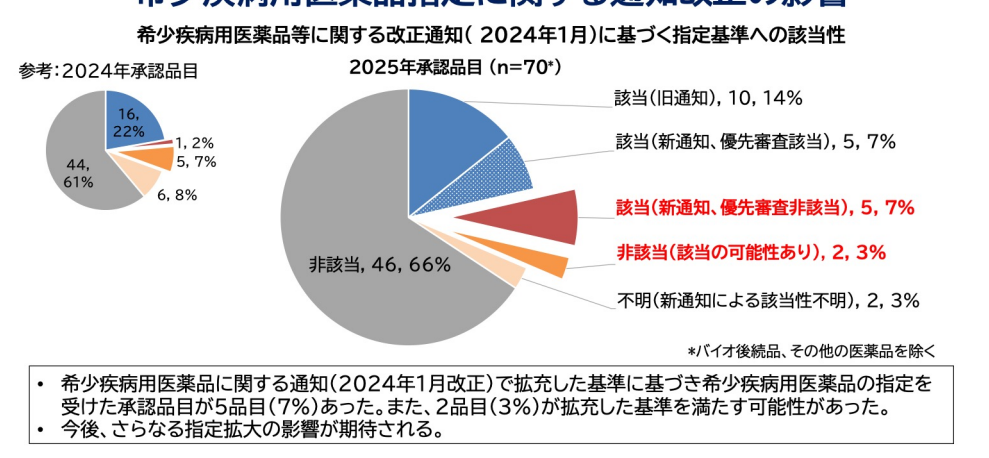
・2025年度は16品目（23%）が優先審査により承認された。
・先駆的医薬品審査指定制度および条件付き承認制度の適用例はなかった。

希少疾病用医薬品指定から承認申請までの期間



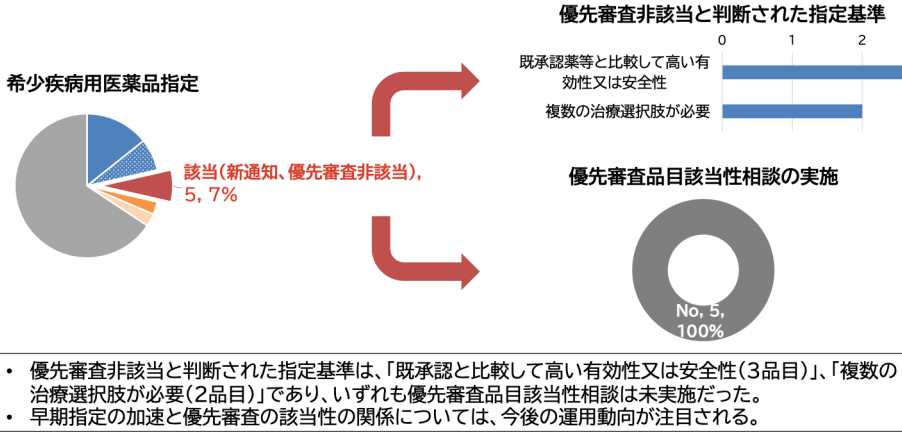
・約半数の品目が承認申請前1年以内に希少疾病用医薬品指定を取得している。
・今後、希少疾病用医薬品等に関する改正通知（2024年1月）による指定早期化の影響が期待される。

希少疾病用医薬品指定に関する通知改正の影響



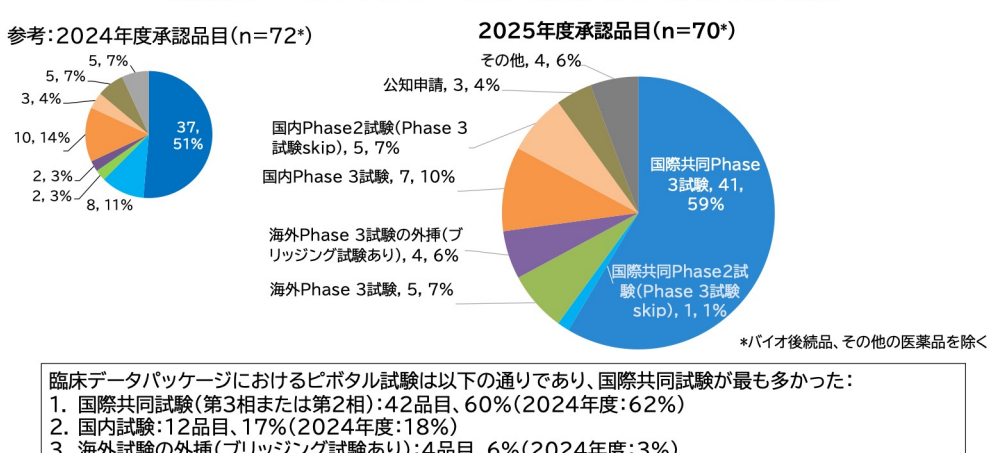
・希少疾病用医薬品に関する通知（2024年1月改正）で拡充した基準に基づき希少疾病用医薬品の指定を受けた承認品目5品目（7%）であった。また、2品目（3%）が拡充した基準を満たす可能性があった。
・今後、さらなる指定拡大の影響が期待される。

新通知による希少疾病用医薬品（優先審査非該当）の指定を受けた承認品目



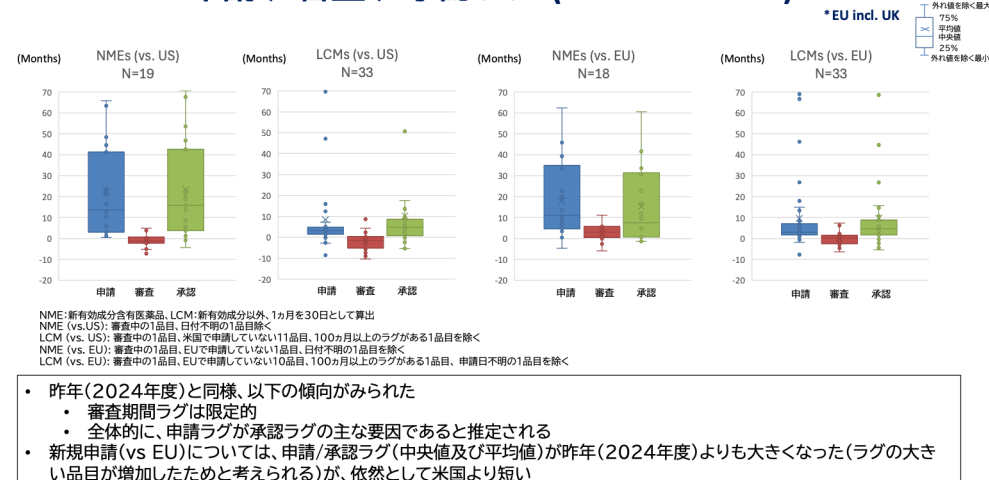
・優先審査非該当と判断された指定基準は、「既承認と比較して高い有効性又は安全性（3品目）」、「複数の治療選択肢が必要（2品目）」であり、いずれも優先審査品目該当性相関は未実施だった。
・早期指定の加速と優先審査の該当性の関係については、今後の運用動向が注目される。

臨床データパッケージにおけるピポタル試験



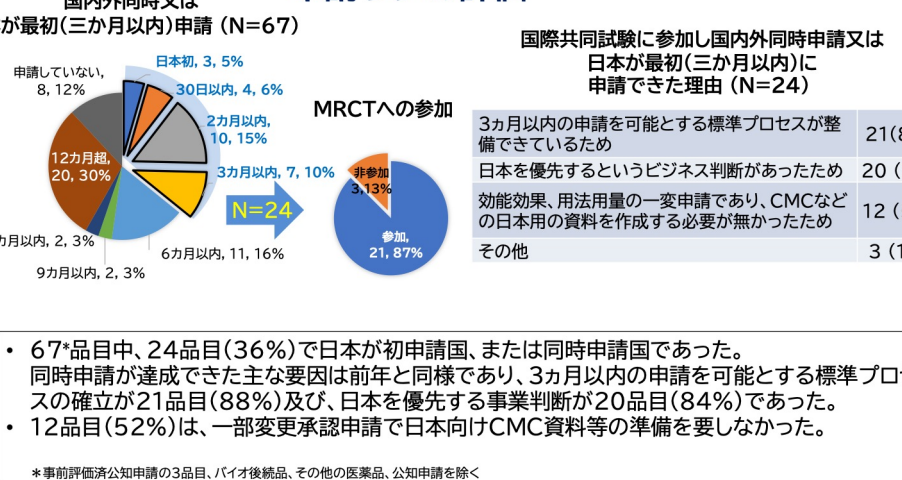
臨床データパッケージにおけるピポタル試験は以下の通りであり、国際共同試験が最も多かった：
1. 国際共同試験（第3相または第2相）：42品目、60%（2024年度：62%）
2. 国内試験：12品目、17%（2024年度：18%）
3. 海外試験の外枠（ブリッジング試験あり）：4品目、6%（2024年度：3%）

申請 / 審査 / 承認ラグ（vs. US & vs. EU）



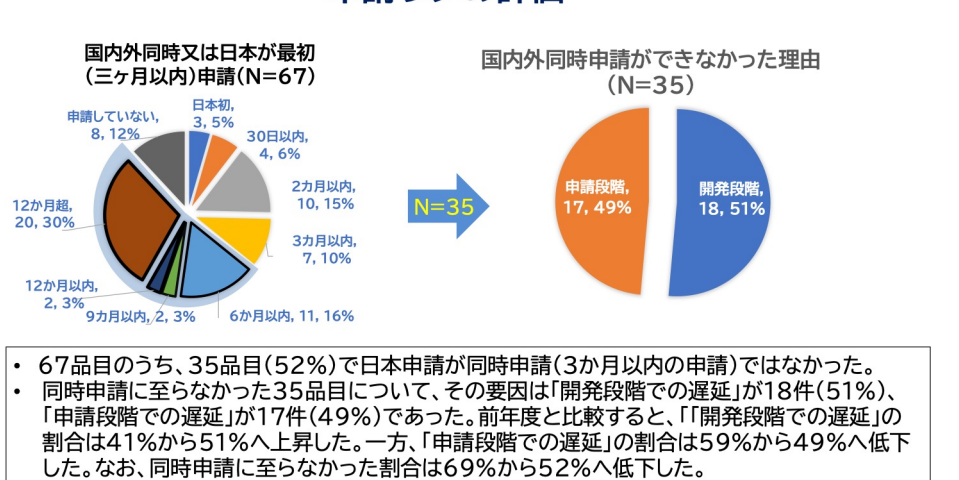
・2025年度の申請・審査・承認ラグは、以下の傾向がみられた。
・全体的に、申請ラグが承認ラグの主要な要因であると推定され、日本が参加できなかった（申請・承認ラグ（中央値及び平均値）が昨年（2024年度）よりも大きくなった（ラグの大きい項目が増加したためと考えられるが、数値として示すことができない））。
・一定申請については、申請/承認ラグ（中央値及び平均値）は昨年（2024年度）と同程度であり、ばらつきは減少した。

申請ラグの評価



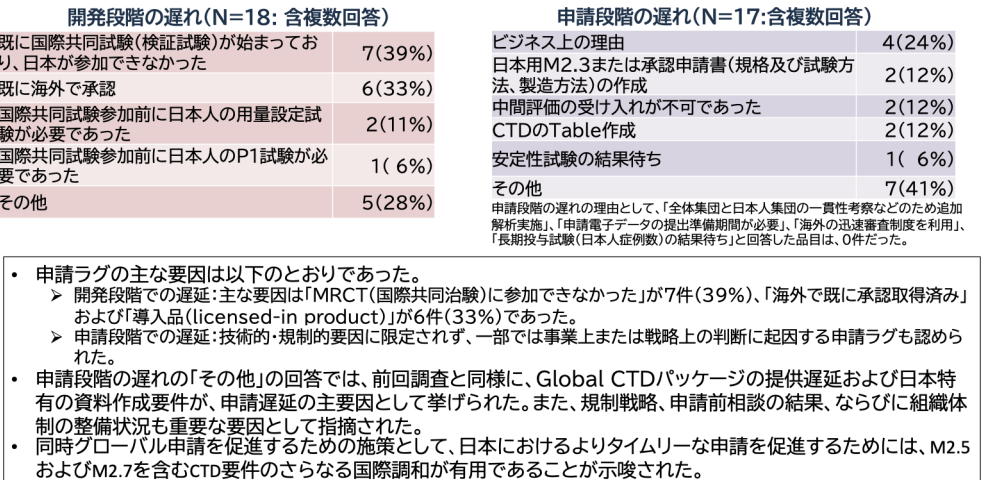
・67品目中、24品目（36%）で日本が初申請国、または同時申請国であった。
・同時申請が達成できた主な要因は前年と同様であり、3か月以内の申請を可能とする標準プロセスの確立が21品目（88%）及び、日本を優先する事業判断が20品目（84%）であった。
・12品目（52%）は、一部変更承認申請で日本向けCMC資料等の準備を要しなかった。

申請ラグの評価



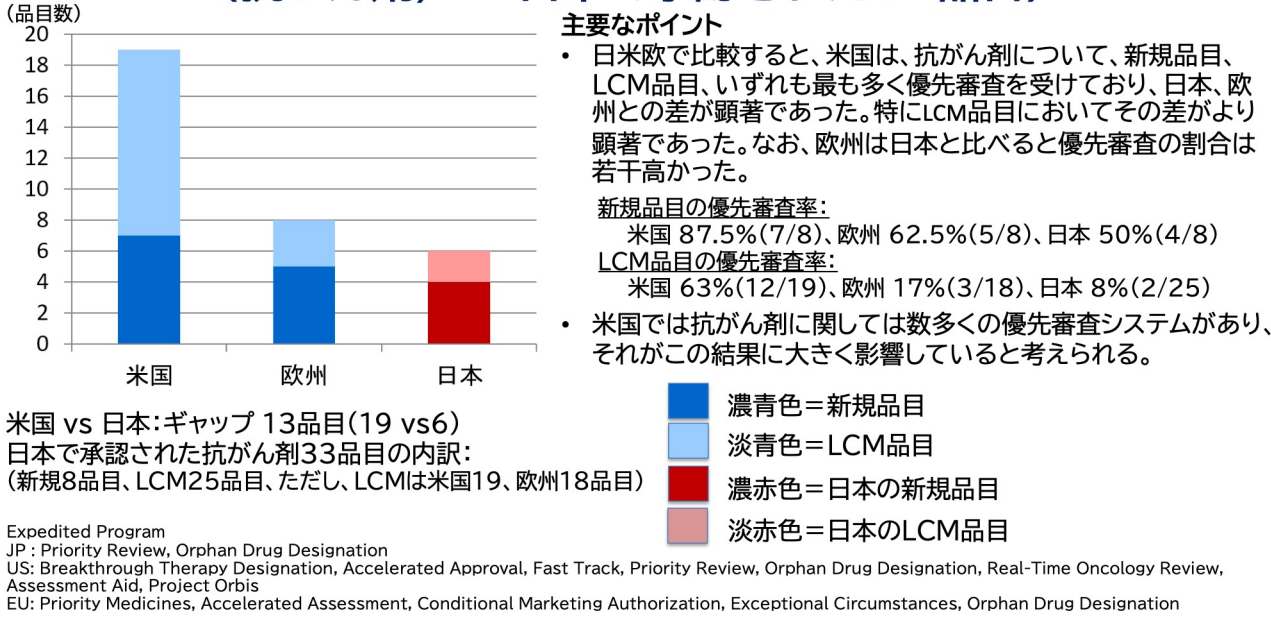
・67品目のうち、35品目（52%）で日本申請が同時申請（3か月以内の申請）ではなかった。
・同時申請に至らなかった35品目について、その要因は「開発段階での遅延」が18件（51%）、「申請段階での遅延」が17件（49%）であった。前年度と比較すると、「開発段階での遅延」の割合は41%から51%へ上昇した。一方、「申請段階での遅延」の割合は59%から49%へ低下した。なお、同時申請に至らなかった割合は69%から52%へ低下した。

申請ラグが3か月以上となった理由



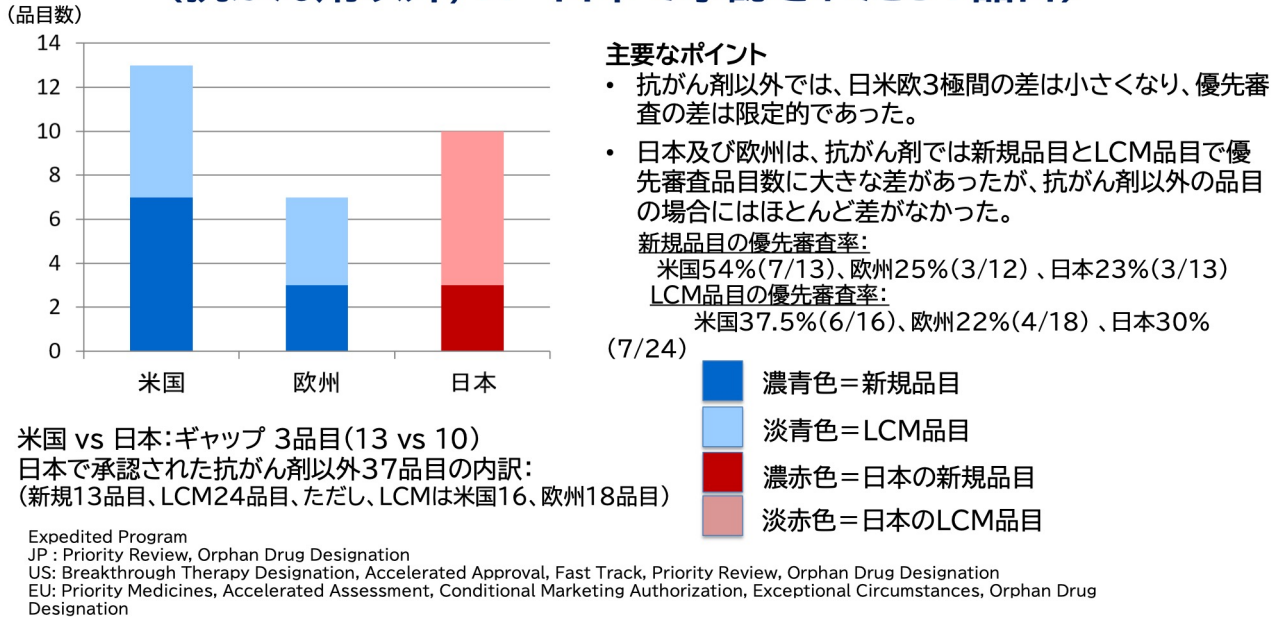
・申請ラグの主な要因は以下のとおりであった。
・開発段階での遅延：主な要因はMRCT（国際共同試験）に参加できなかった（7件（39%）、「海外で既に承認取得済み」および「輸入品（licensed-in product）」が6件（33%）であった。
・申請段階での遅延：技術的・情報的な要因に限定されず、一度では事業上または戦略上の判断に起因する申請ラグも認められた。
・申請段階の遅れ：その他の回答では、前回調査と同様に、Global CTD/パッケージの提供遅延および日本特有の資料作成遅延が、申請遅延の主要因として挙げられた。また、規制動向、申請前相談の結果、なげに組織体制の整備状況も重要な要因として指摘された。
・同時グローバル申請を促進するための施策として、日本におけるよりタイムリーな申請を促進するためには、M2.5およびM2.7を含むCTD要件のさらなる国際調和が有用であることが示唆された。

日米欧の迅速審査・承認制度活用状況（抗がん剤、N=日本で承認された33品目）



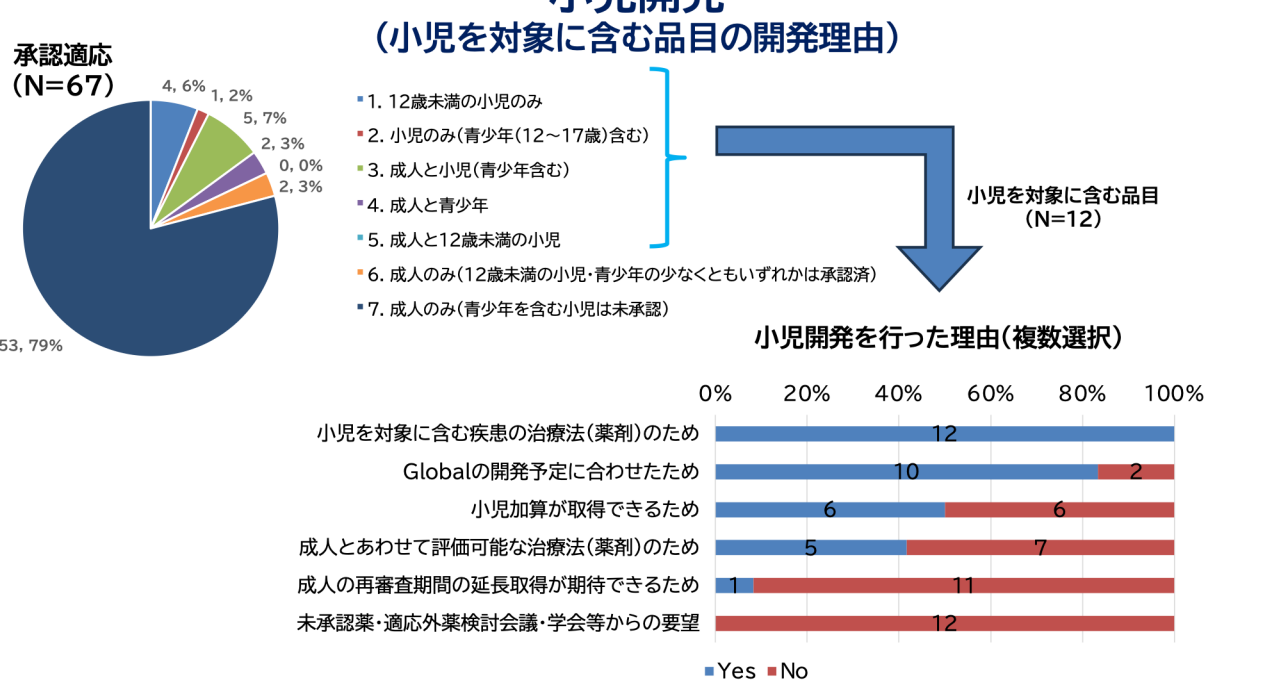
主要なポイント
・日米欧と比較すると、米国は、抗がん剤について、新規品目、LCM品目、いずれも最も多く優先審査を受けており、日本、欧州との差が顕著であった。特にLCM品目においてその差がより顕著であった。なお、欧州は日本と比べると優先審査の割合は若干高かった。
・新規品目の優先審査率：米国 87.5%（7/8）、欧州 62.5%（5/8）、日本 50%（4/8）
・LCM品目の優先審査率：米国 63%（12/19）、欧州 17%（3/18）、日本 8%（2/25）
・米国では抗がん剤に関しては数多くの優先審査システムがあり、それがこの結果に大きく影響していると考えられる。

日米欧の迅速審査・承認制度活用状況（抗がん剤以外、N=日本で承認された37品目）



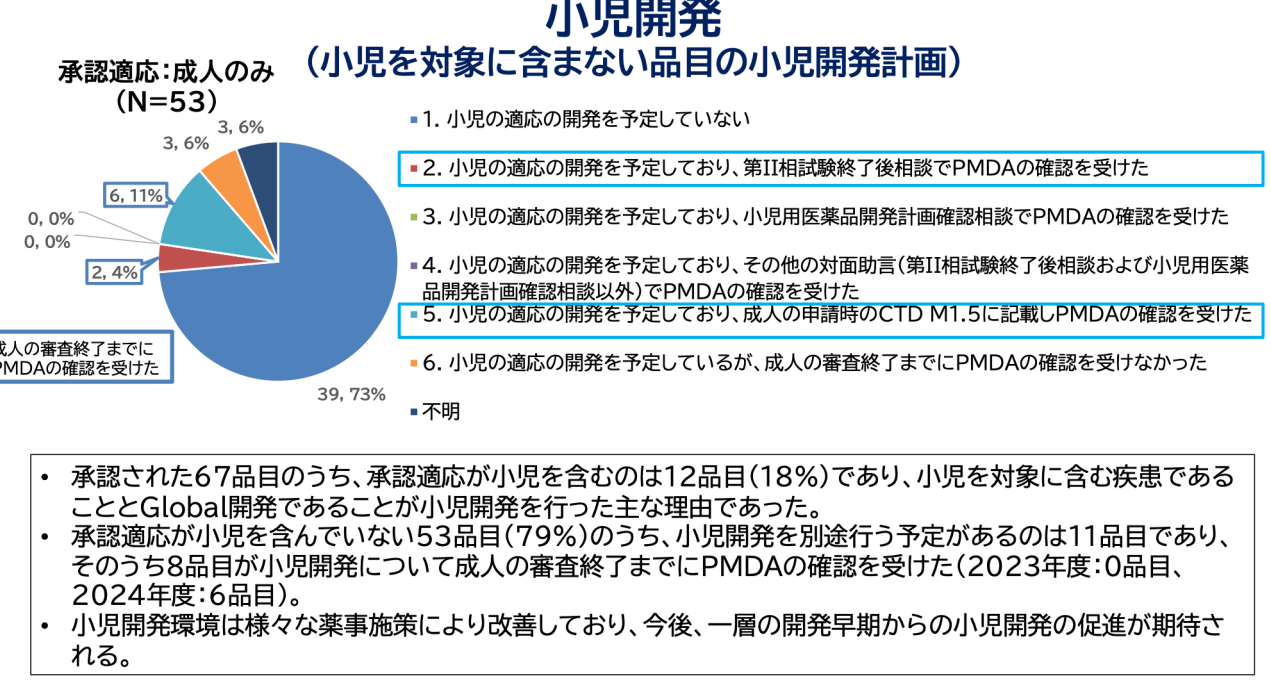
主要なポイント
・抗がん剤以外では、日米欧3機関の差は小さくなり、優先審査の差は限定的であった。
・日本及び欧州は、抗がん剤では新規品目とLCM品目で優先審査品目数に大きな差があったが、抗がん剤以外の品目の場合にはほとんど差がなかった。
・新規品目の優先審査率：米国54%（7/13）、欧州25%（3/12）、日本23%（3/13）
・LCM品目の優先審査率：米国37.5%（6/16）、欧州22%（4/18）、日本30%（7/24）

小児開発



小児を対象に含む品目の開発理由（複数選択）
・12歳未満の小児のみ
・小児のみ（青少年（12～17歳）含む）
・成人と小児（青少年含む）
・成人と青少年
・成人と12歳未満の小児
・成人のみ（12歳未満の小児・青少年の少なくともいずれかは承認済）
・7. 成人のみ（青少年を含む小児は承認済）
小児開発を行った理由（複数選択）
・Globalの開発予定に合わせたため
・小児加算が取得できるため
・成人とあわせて評価可能な治療法（薬剤）のため
・成人の再審査期間の延長取得が期待できるため
・未承認薬・適応外薬検討会議・学会等からの要望

小児開発



承認された67品目のうち、承認適応が小児を含むのは12品目（18%）であり、小児を対象に含む疾患であることとGlobal開発であることが小児開発を行った主な理由であった。
・承認適応が小児を含んでいない53品目（79%）のうち、小児開発を別途行う予定があるのは11品目であり、そのうち8品目が小児開発について成人の審査終了までにPMDAの確認を受けた（2023年度：6品目、2024年度：6品目）。
・小児開発環境は様々な薬事施策により改善しており、今後、一層の開発早期からの小児開発の促進が期待される。