外資系企業における承認品目の傾向

~PhRMA/EFPIA合同調査結果より~



〇青木勇(ブリストル・マイヤーズ スクイブ)¹、秋本美紀(ブリストル・マイヤーズ スクイブ)¹、池田晶子(ヤンセンファーマ)¹、榎本朱美(日本イーライリリー)¹、春日井正文(アムジェン)¹、 砂村一美(ファイザーR&D)¹、武澤恵美子(セルジーン)¹、武部恭子(ヤンセンファーマ)¹、靍田嘉代子(日本イーライリリー)¹、中谷優子(バイオジェン・ジャパン)¹、穂積香織(アッヴィ)¹、 前田玲(日本イーライリリー)¹、 今井景子(ヤンセンファーマ)²、斉藤江理子(メルクバイオファーマ)²、佐々木一尋(ヤンセンファーマ)²、茶木啓孝(バイエル薬品)²、塚本修(CSLベーリング)²、 花久恭子(ルンドベック・ジャパン)²、本庄香織(ノバルティス ファーマ)²、本多基子(ヤンセンファーマ)²、山本晶子(ヤンセンファーマ)2

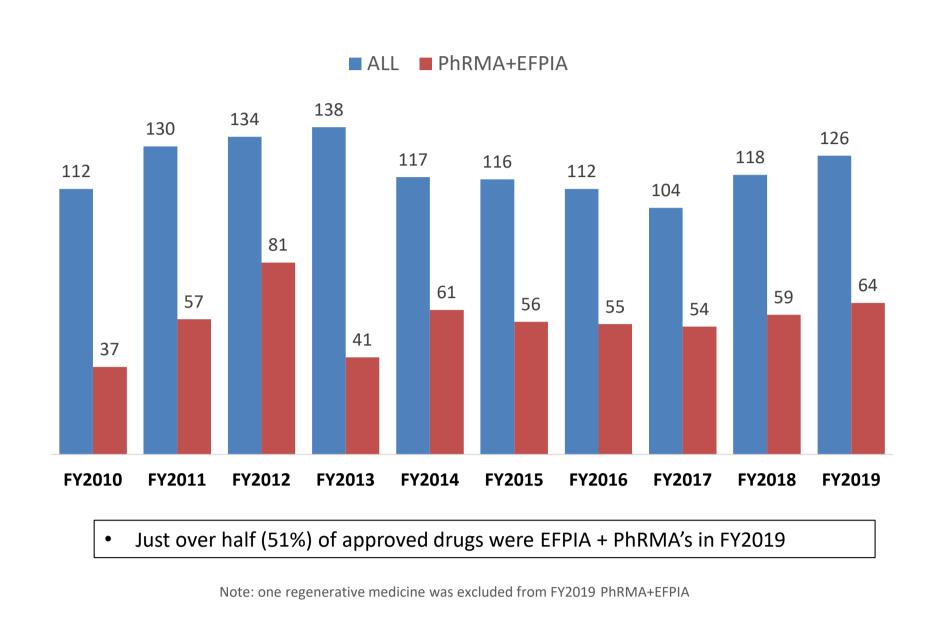
1 米国研究製薬工業協会(PhRMA)、2 欧州製薬団体連合会(EFPIA) COI開示: 演題発表内容に関連し、発表者らに開示すべき利益相反はありません。

PhRMA/EFPIAで実施した2019年度の合同調査結果は以下の通りであった。

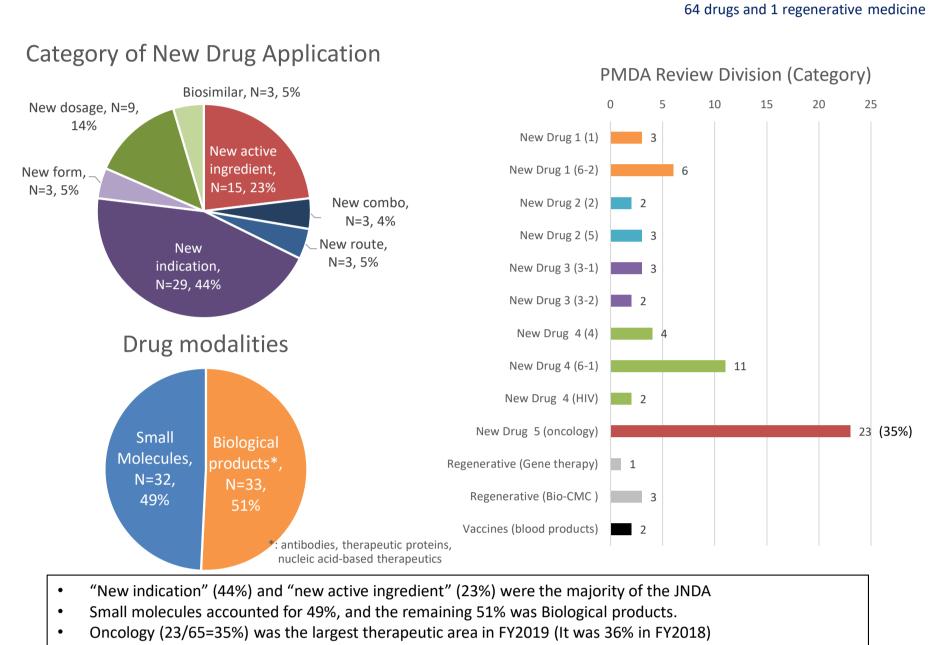
審査期間と承認品目

- 2019年度(2019年4月~2020年3月)におけるPhRMA及びEFPIA加盟会社の承認品目数は、新医薬品64品目、再生医療等製品1品目 であった。
- 新医薬品の審査期間は通常審査品目で11.8ヵ月、優先審査品目(公知申請を含む)で8.6ヵ月(80パーセンタイル値)であった。
- 日米欧の審査期間はほぼ同じであり、審査期間のラグは解消されていることが示された。よって、日本における承認時期の欧米との 差は、開発及び申請時期の差によるものとみられた。
- 日米欧での審査を迅速化する制度として、先駆け審査指定制度、Breakthrough指定制度、PRIME指定制度等の利用状況を調査した。 その結果、日米欧での制度利用状況に差が認められ、特に米国では幅広い制度の活用が行われていた。
- **PMS**
- PMSは承認品目65品目中48品目(74%、54件)で実施され、うち全例調査は14件(26%)であった。製造販売後データベース調査は18 件でPMS全体の33%を占めており、昨年度の18%と比較し増加していた。
- 製造販売後データベース調査において利用予定のデータベースは、MDVやMID-NETであったが、必要なデータを集められるか確認中 であるまたは信頼性の確保について調査中であること等を理由にデータベースを決めていない調査が5調査あった。

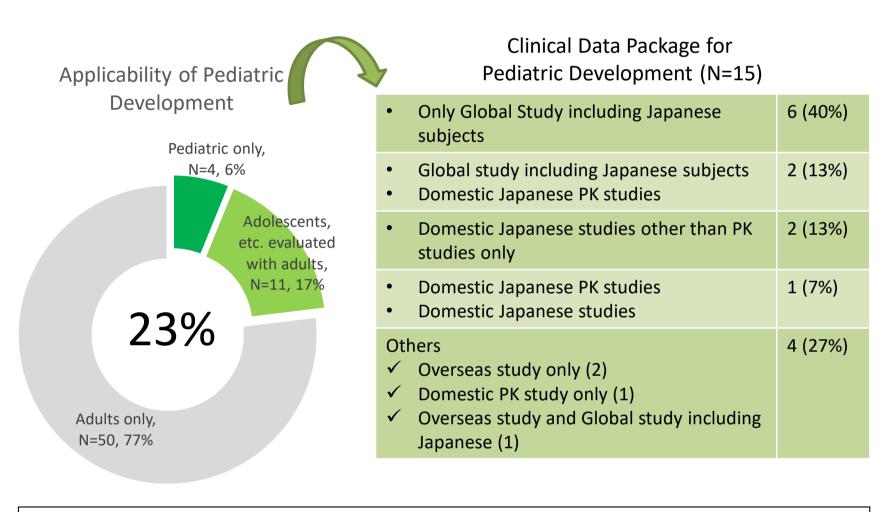
The Number of New Drug Approvals in Japan



Background of Approved Products Phrma + EFPIA (N=65)

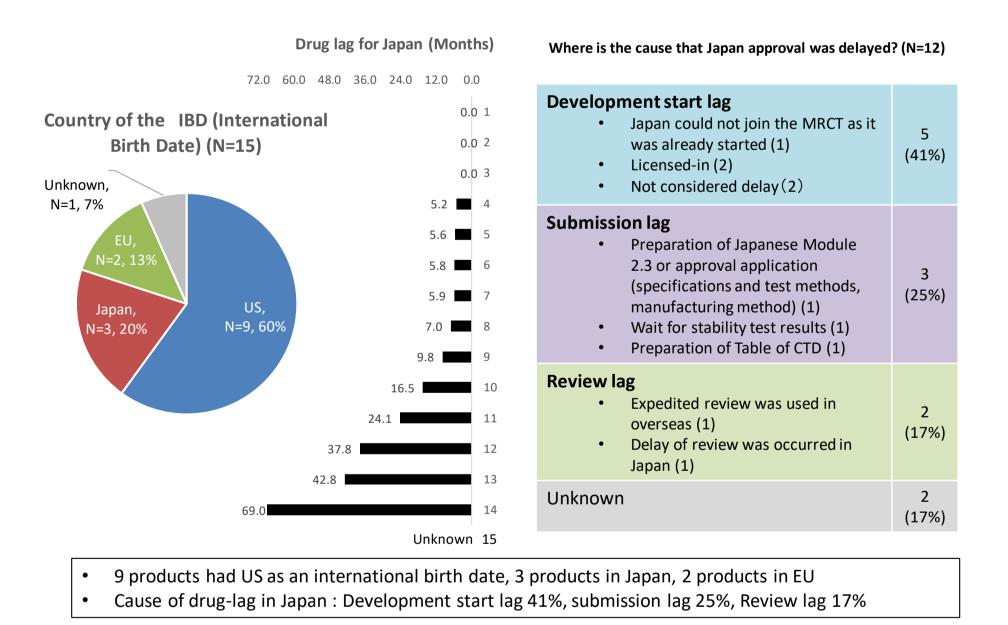


Pediatric Development Phrma + EFPIA (N=65)

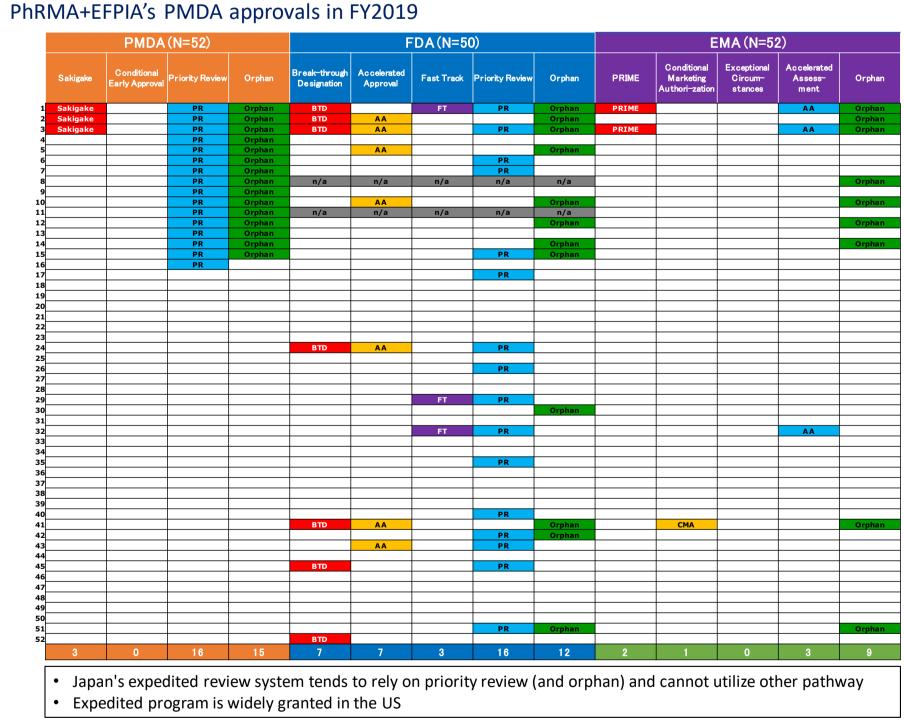


Pediatric development was shown in 23% of products, including pediatric only (6%), and adolescents evaluated with adults (17%) Clinical data package for pediatrics come from mainly global studies

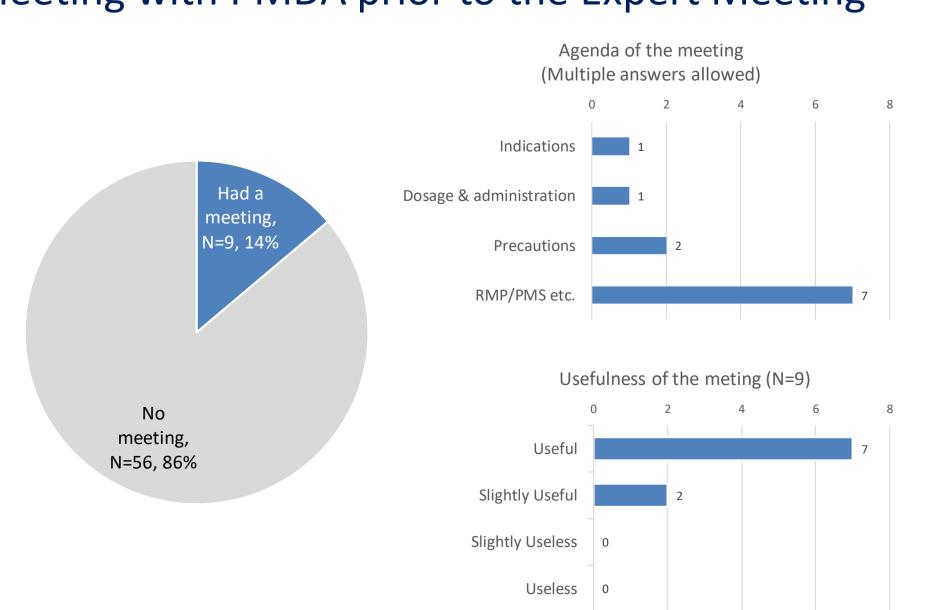
Drug lag for NME (New Molecular Entity) (N=15)



Utilization of Expedited Program



Meeting with PMDA prior to the Expert Meeting



Details of PMS (Drug Use Survey and Specific Drug Use Survey) **Number of patients per PMS** Survey tools >3000 1000~2000 500~1000 500~1000 300~500 300~500 **■** 2018 **■** 2019 0 5 10 15 20 25 ■ All-case surveys ■ Non-all case ■ All-cases suvey ■ Non-all cases **Enrollment Period Observation Period per Patient** 2018: N=40 **Cost of Outsourced PMS Cost of PMS** Monitoring excluding monitoring cost) Individual PMS cost not abailable

300~500M Yen

Less than 300 patients in size, 6 month to 1 year observation period and 1-2Y year enrollment period are most

PMS with cost of 100 – 300 M Yen marked highest number and majority costs more than 100 M Yen.

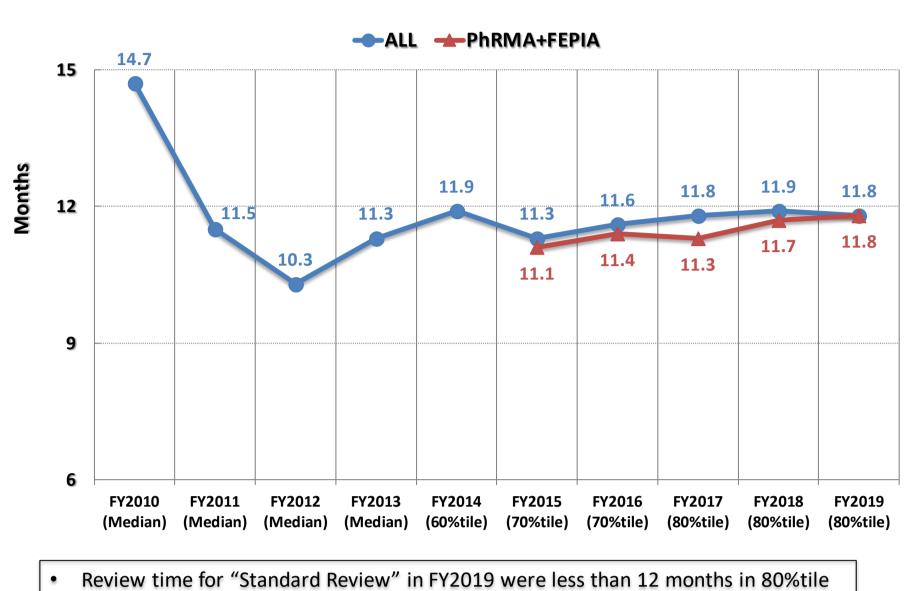
100~300M Yen

<100M Yen

Not outsourced

frequently seen among all PMS.

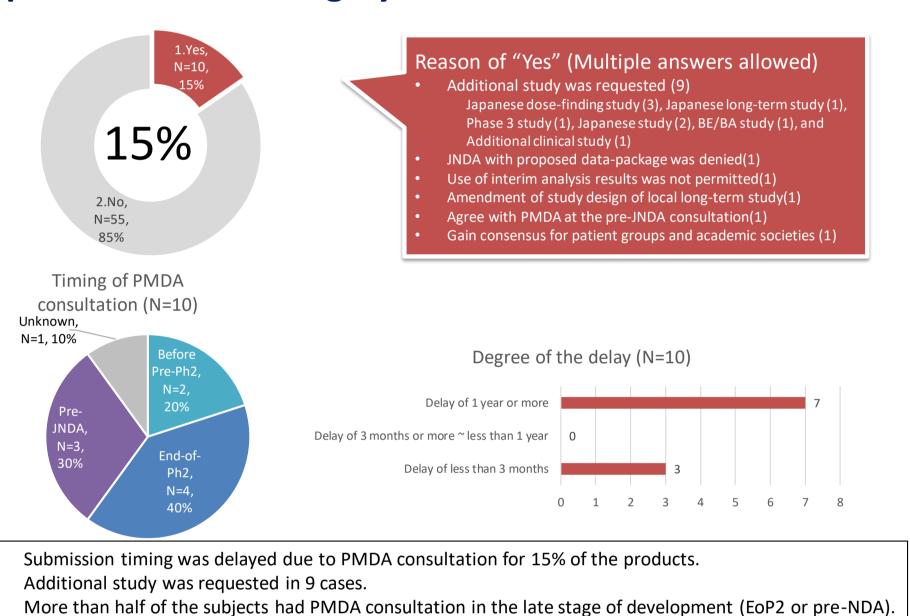
Review Time for Standard Review



Utilization of Expedited Program PhRMA + EFPIA (N=65) **Priority Review** 29% 28% Conditional Early Approval Sakigake N=0, 0% 0% No, N=65, N=62, 29% of products approved through priority review and 28% were orphan drugs

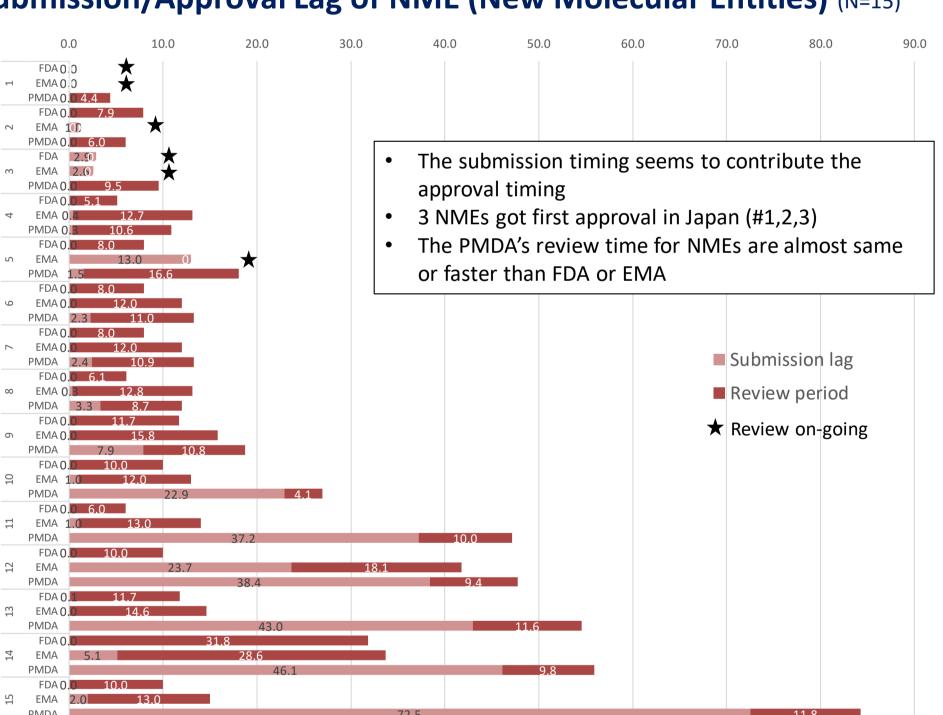
Impact on JNDA timing by PMDA consultation PhRMA + EFPIA (N=65)

Sakigake was only 5% (3 cases) and no conditional early approval in FY2019

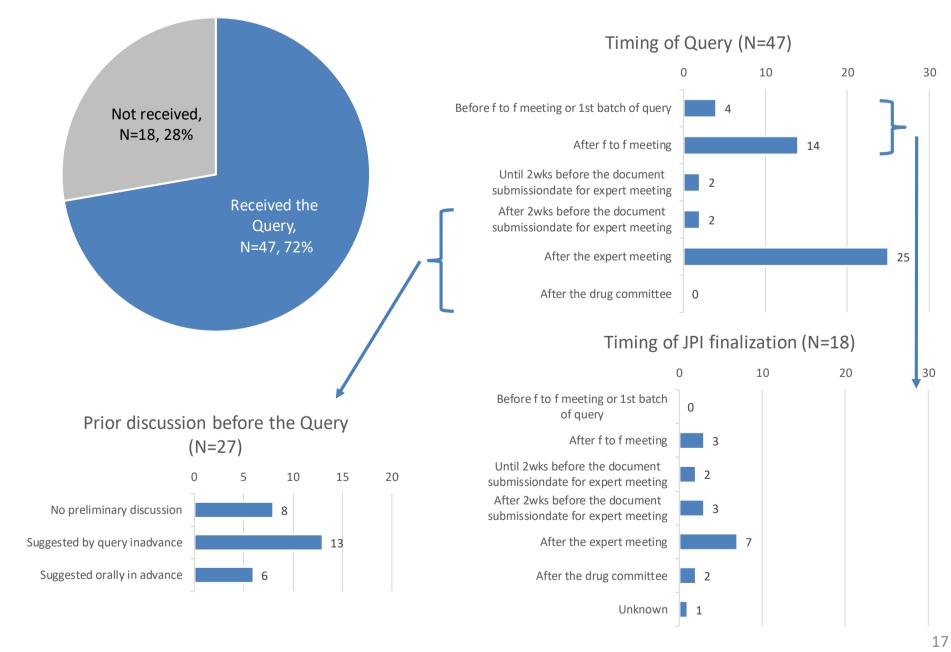


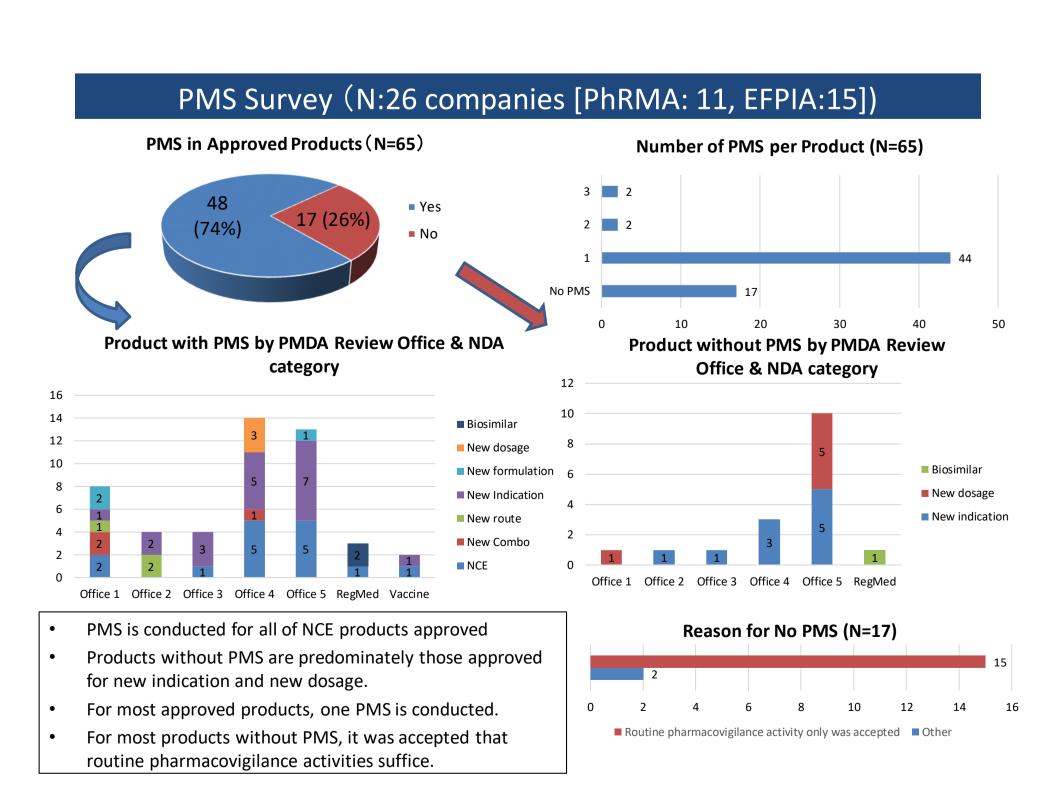
Submission/Approval Lag of NME (New Molecular Entities) (N=15)

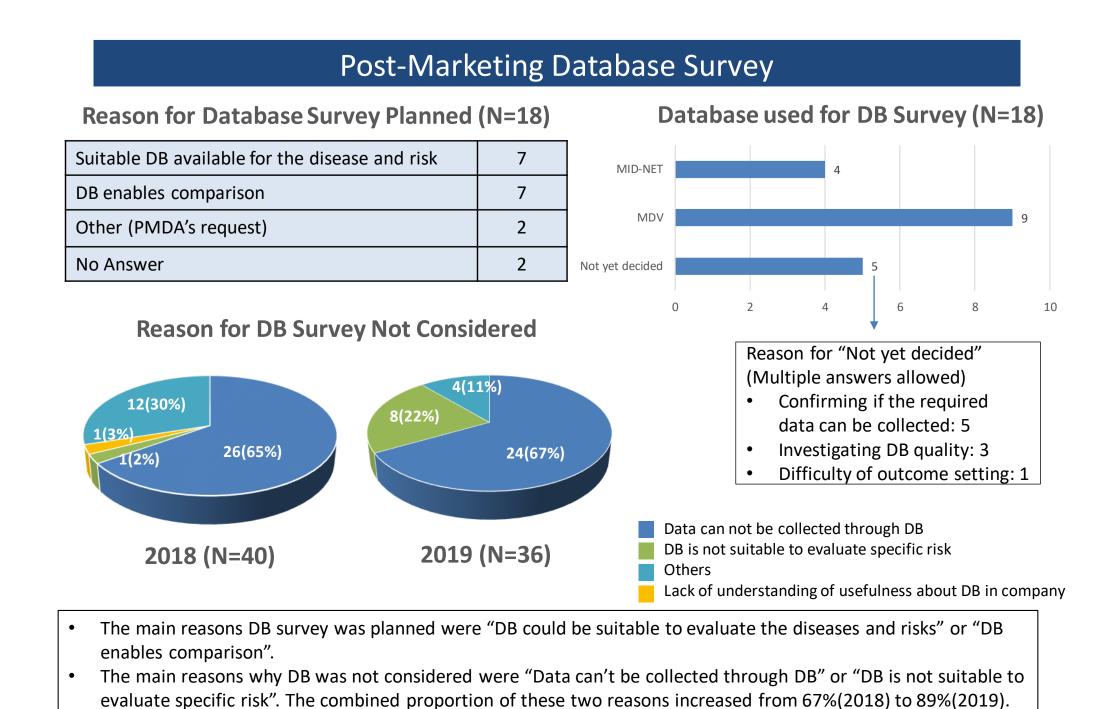
7 /10 (70%) were delayed by 1 year or more.



PMDA Query to revise the safety related section of JPI







It is presumed that applicants have come to be able to assess the appropriateness of DB survey.

MDV and MID-NET are planed for use and 28%(5/18) of DB surveys have not yet decided which database to use.

PhRMA-EFPIA Joint Survey 2020

- Review time for new drug approvals in FY2019 Utilization of expedited program
- Submission/approval lag Clinical Studies and Development Plan
- Projects ongoing in FY2019 Global and local studies ongoing in FY2019 Interaction with the agency for global studies
- PMS in approved new drugs

Participating companies:

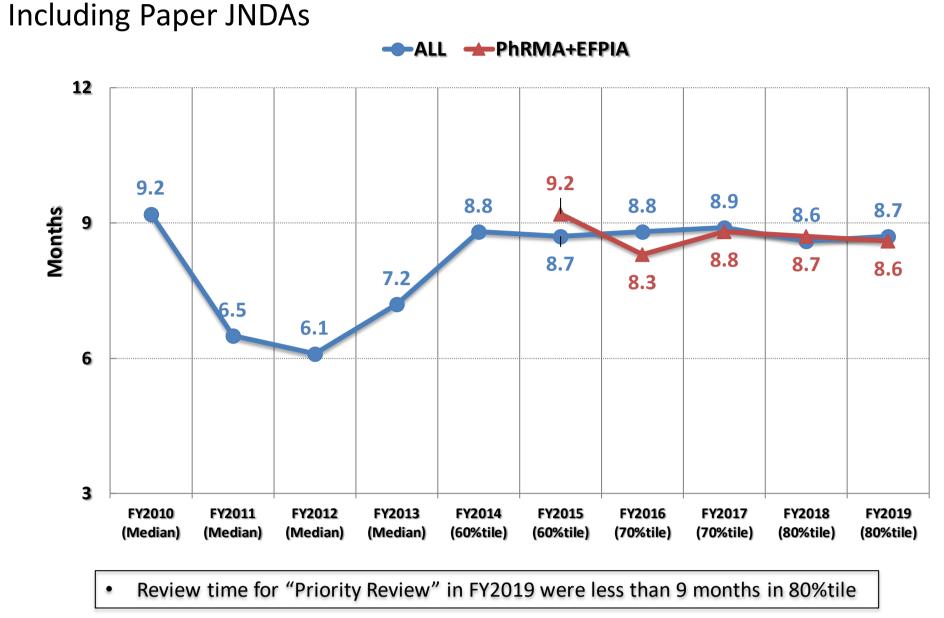
PhRMA (11 companies) • Abbvie, Alexion, Amgen, Biogen Japan, Bristol-Myers Squibb, Celgene, Eli Lilly, Janssen, MSD,

Merck Biopharma, Boehringer Ingelheim, Novartis, Novo Nordisk, Sanofi, and UCB

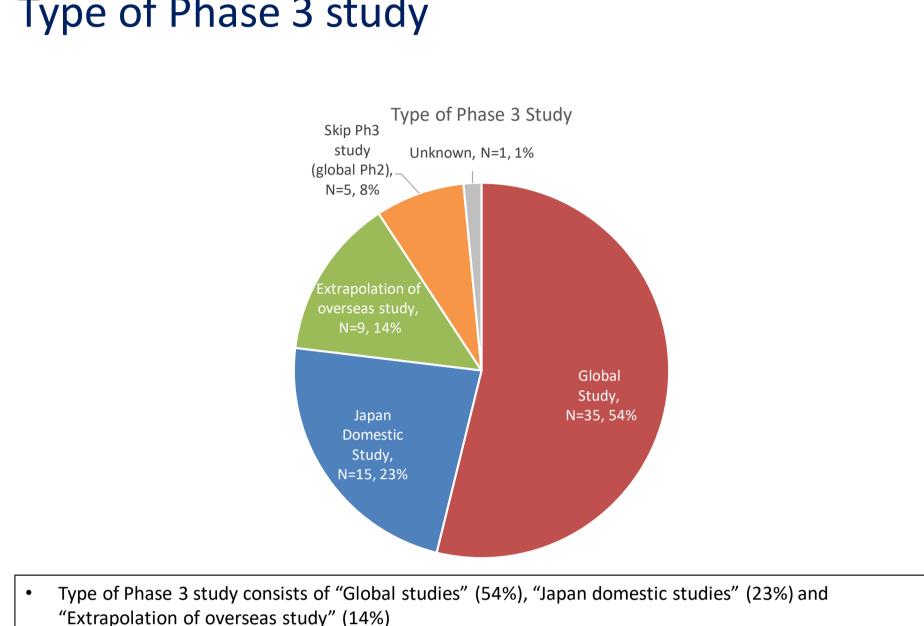
Pfizer, and Gilead Sciences

EFPIA (15 companies) AstraZeneca, Bayer, CHUGAI, CSL Behring, Ferring, GlaxoSmithKline, Janssen, LEO, Lundbeck,

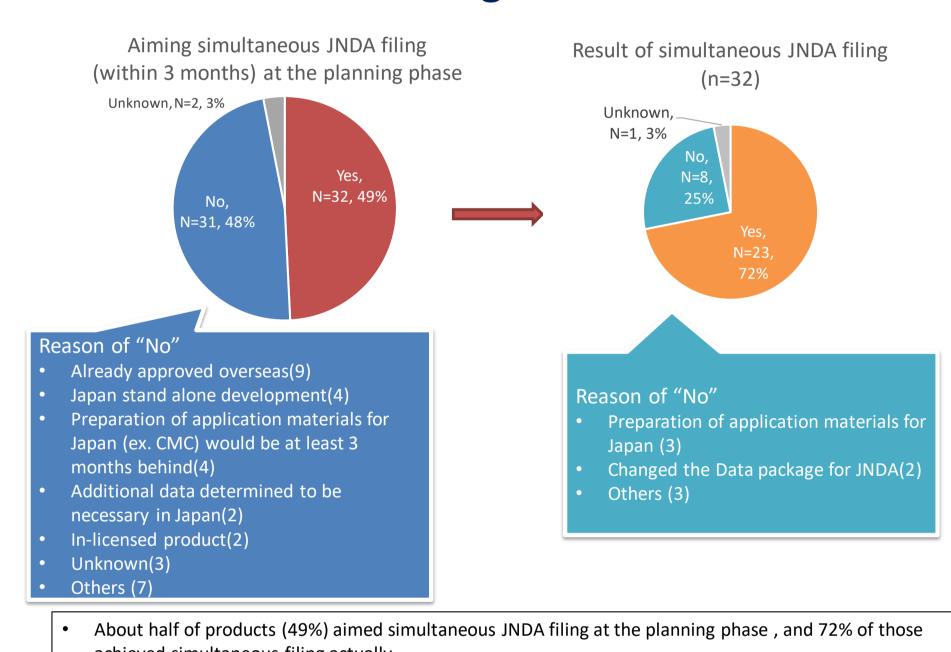
Review Time for Priority Review



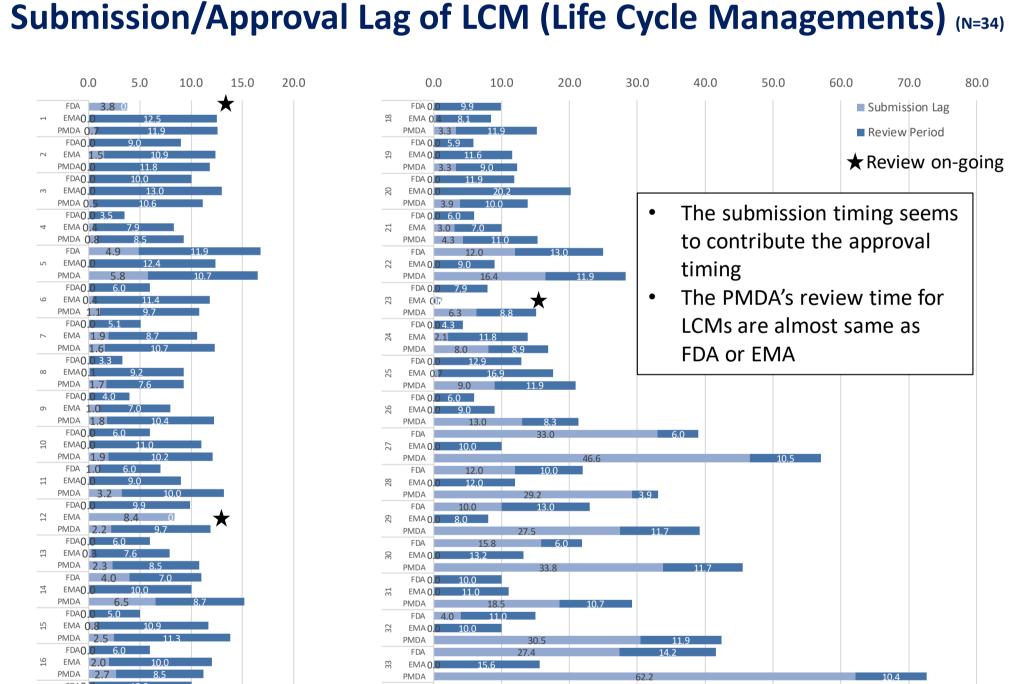
Type of Phase 3 study



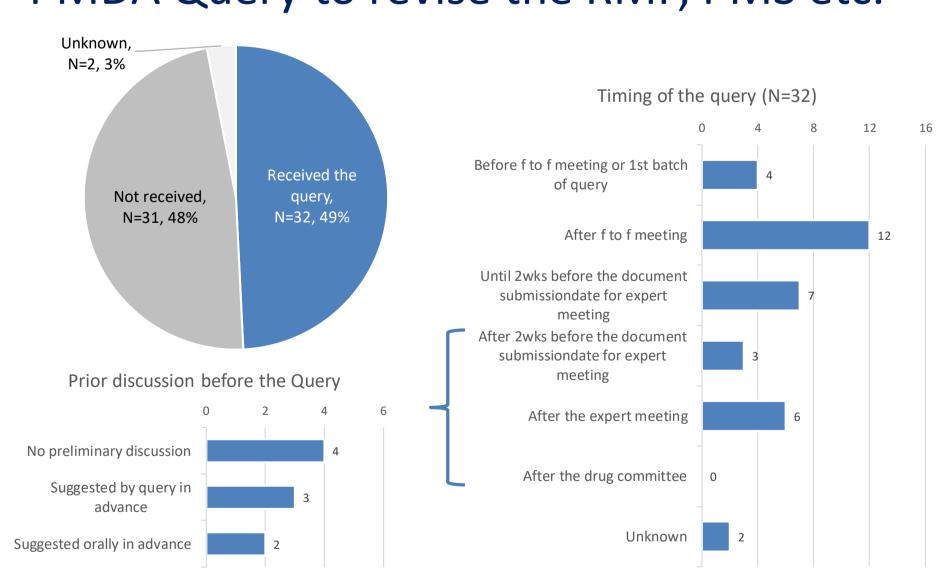
Simultaneous JNDA filing Phrma + EFPIA (N=65)

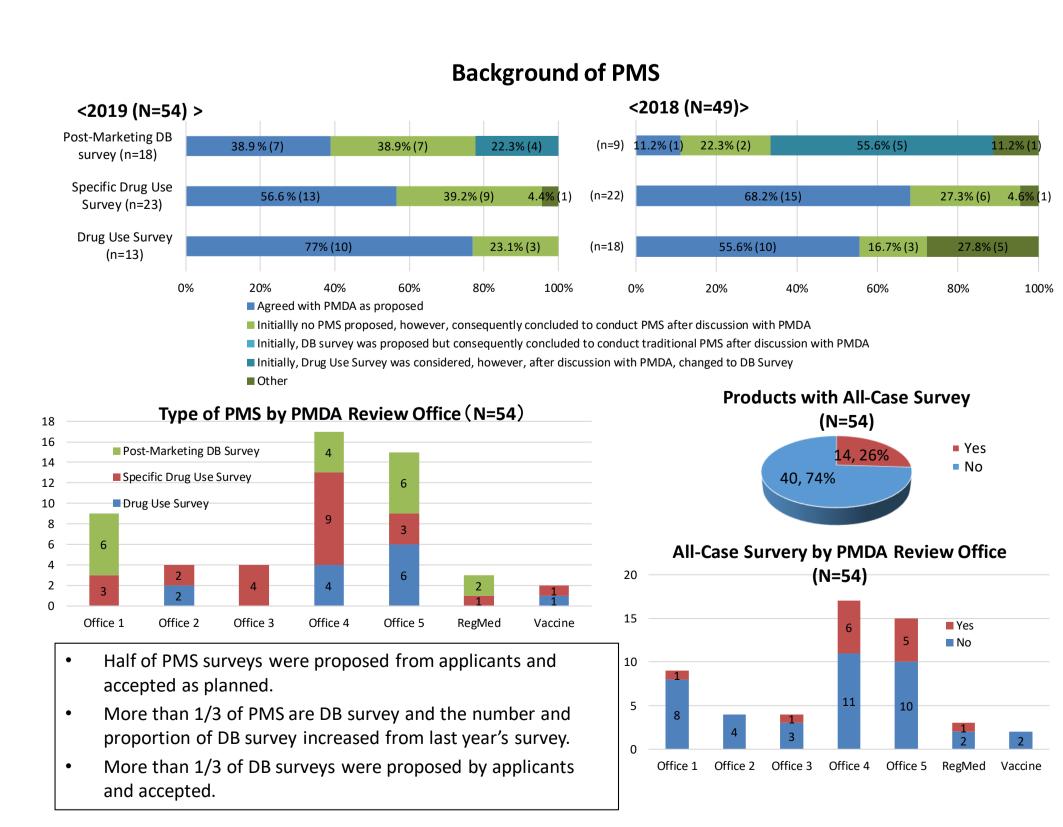


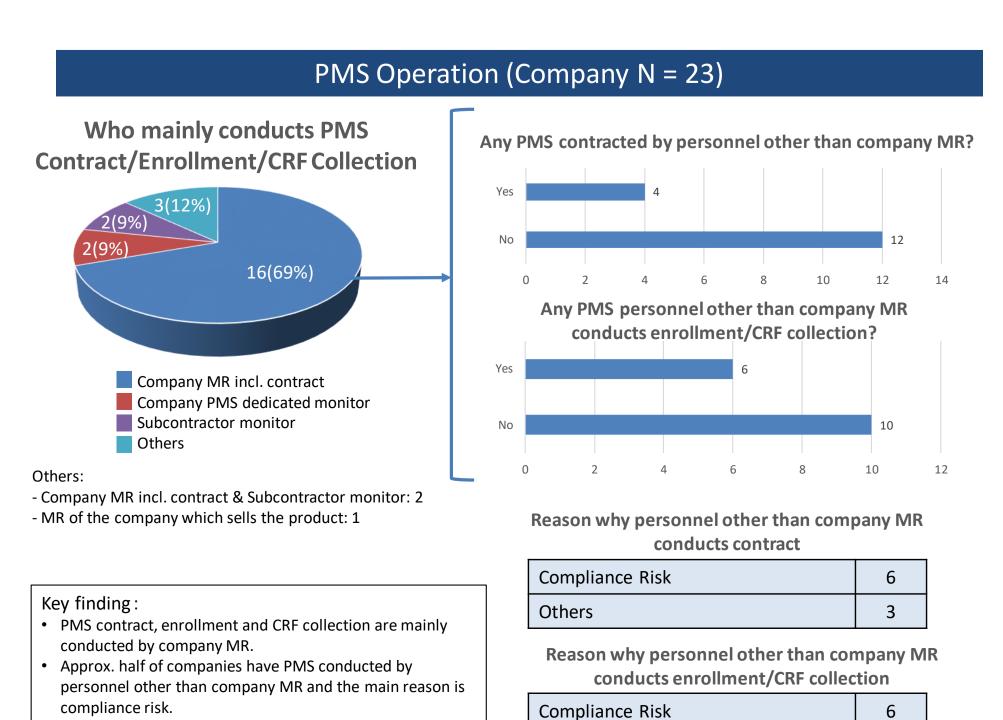
achieved simultaneous filing actually



PMDA Query to revise the RMP, PMS etc.







Others