

★ 開発コストの課題をいかに克服する？ 難易度の高い開発を成功させるコツとは？
海外データやレジストリーの活用、QbDやRWD活用でのポイント留意点

セミナーNo.405114



希少疾患治療薬の 臨床開発・承認申請戦略

～開発計画・被験者リクルートの課題解決と試験デザイン～

- 日 時: 2024年5月23日(木) 10:00～16:30
- 聴講料: 1名につき 60,500円(消費税込、資料付)
- 会 場: Zoomを使用したLive配信セミナーです。
勤務先やご自宅のパソコンでご視聴ください。
- 【1社2名以上同時申込の場合のみ1名につき55,000円(税込)】
〔大学、公的機関、医療機関の方には割引制度(アカデミック価格)があります。〕

1. 希少疾患の臨床開発計画と承認申請戦略 ～開発・薬事戦略と開発コスト戦略～

【10:00-12:00】(合)鈴木聡薬業事務所 代表社員 鈴木 聡 氏

【講座趣旨】希少疾病用医薬品の開発・薬事戦略に関する知識と、承認申請において付随する製造・流通対応とそのコスト戦略を説明する。

- はじめに。新しいモダリティと希少疾病用医薬品への応用
- 世界および日本における希少疾患の定義と種類
 - 世界・地域に特徴的な希少疾病
 - 患者学・患者中心の医療の概要
- 日本における希少疾病用医薬品・再生医療等製品の開発・薬事戦略
 - 希少疾病用医薬品等の指定制度や申請の概要
・希少疾病用医薬品指定制度(ODD)と優先審査
 - 臨床試験における課題と対応
・規制当局とのコミュニケーション
・海外データやレジストリーの活用
 - 再審査制度と製造販売後調査
- 希少疾病薬の開発コスト戦略
 - 製造販売業の取得と規制対応組織のミニマム構築
 - 製造・品質保証・物流における原価計算と薬価交渉
 - 販売時の営業組織構築と販管費対策
 - バリューチェーン構築事例

【質疑応答】

2. 開発計画・被験者リクルートの課題解決策

【12:45-14:45】

(株)Real Discovery Outdoors 社長室 代表取締役社長
Juniper Therapeutix(株) 社長室 代表取締役社長、
グローバル研究開発本部長 小澤 郷司 氏

【講座趣旨】希少疾患領域ではその患者数の少なから臨床試験自体のFeasibility、コスト、被験者リクルートメント含めたオペレーションの困難さ及び開発リスクがあり、さらに上市後に研究開発費、営業費等を回収するだけの利益が得られないかもしれないという事業性評価上のリスクもある。
どのようにしてそれら課題をクリアして、開発を推進するのか、Post Covid-19を考えたときのリアルワールドデータを用いた新たな開発

手法への挑戦を含めて希少疾患の開発計画及び被験者リクルートの課題解決策についてお話したい。

- オーファンドラッグの開発戦略
- Quality by Design, Quality Management Systemに基づいた開発計画
 - QMSの概要
 - Lean Six Sigmaの概要
 - Risk management及びIssue Management
 - Quality by Designによる開発計画立案
- 効果的な被験者リクルートメント
 - Trial feasibility及びSite feasibilityでの対策
 - 治験実施中での対策
- Post Covid-19のリアルワールドデータを活用した希少疾患開発戦略
 - 世界におけるリアルワールドデータを活用した開発事例
 - 日本におけるリアルワールドデータの利活用の現状
 - Post Covid-19のリアルワールドデータを活用した希少疾患開発戦略

【質疑応答】

3. 臨床試験デザインと エンドポイント設定での留意点

【15:00-16:30】 スタットコム(株) 統計解析部 松尾 富士男 氏

【講座趣旨】収集可能な症例数に限界がある場合の臨床試験デザインの考え方については、規範となるようなものはない。とりわけ、国内ではPMDAの治験相談等の仕組みを活用して、個別にその方向性が定まっていくことが多い。本講座では、疾患の特殊性から少ない症例で臨床試験を行わざるをえない状況下における試験デザインのポイントについて、統計的側面を含め最近の情報を元で紹介する。

- 既承認薬で実施された小規模臨床試験(事例)
- 国内外の小規模臨床試験に対する考え方
 - 欧州のガイドライン
 - 米国の考え方
 - 日本の考え方
- 試験デザインとエビデンスの示し方
 - 何をエンドポイントにするか？
 - 何を比較対照に置くか？
 - どんな統計解析手法を使用しているか？
 - 検出力を高めるためにできることは？
- 臨床データパッケージの考え方
 - 本邦の実態
 - 規制当局の視点
 - JPMA タスクフォースの報告書(2022年12月)

【質疑応答】

セミナー申込書

「希少疾患治療薬」セミナー

No.405114

5/23

・申込書に必要事項をご記入の上、FAX(03-5436-5080)にてお申込みください。

・ホームページからも申込できます。https://www.gijutu.co.jp/

会社名	事業所・事業部		
住所	〒		
TEL	FAX		
	所属部課	氏名(フリガナ)	E-mail
受講者1			
受講者2			
今後ご希望しない案内方法に×印をしてください(現在案内が届いている方も再度ご指示ください) 〔 郵送(宅配便)・FAX・e-mail 〕			
個人情報の利用目的			
・セミナーの受付、事務処理、アフターサービスのため			
・今後の新商品、新サービスに関するご案内のため			



TECHNICAL INFORMATION INSTITUTE CO.,LTD.

申込専用FAX 03-5436-5080

●申込方法

- 申込書が届き次第、請求書・聴講券・会場案内図をお送りいたします。
- お申し込み後はキャンセルできません。
受講料は返金いたしませんので、ご都合の悪い場合は代理の方がご出席ください。

- 申込み人数が開催人数に満たない場合等、状況により中止させて頂く場合がございます。
- 定員になり次第、申込みは締切となります