

医政研発 0701 第 2 号  
薬食審査発 0701 第 2 号  
平成 27 年 7 月 1 日

日本医学会 会長 殿

厚生労働省医政局研究開発振興課長



厚生労働省医薬食品局審査管理課長



#### 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望対象の拡大について

これまで、欧米等では使用が認められているものの、国内では承認されていない医薬品及び適応については、開発要望を募集し、応募された開発要望については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「検討会議」という。）において、医療上の必要性を評価するとともに、製造販売承認申請に必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、製薬企業による開発を促してきました。

また、厚生労働省においては、昨年 6 月 17 日に、革新的医薬品等の実用化を促進するための「先駆けパッケージ戦略」を策定したところです。この「先駆けパッケージ戦略」の一つとして、欧米等でも未承認の医薬品のうち、一定の要件を満たすものについては、検討会議の検討対象を拡大することで、国内での実用化を加速する「未承認薬迅速実用化スキーム」を適用することとしています。

これに伴い、下記のとおり、開発要望の募集対象を従来のものから拡大することとし、あわせて、検討会議における検討の迅速化を図るため、これまでの検討実績を踏まえ、開発要望の募集及び検討会議における要望の取扱いを見直すことといたしましたので、御了知いただくとともに、貴学会各分科会への周知方よろしく申し上げます。

## 記

### 第1 開発要望の募集

#### 1 募集対象

以下の(1)～(3)のいずれかに該当するものについて、要望を募集します。なお、今回新たに募集対象として追加した(3)未承認薬迅速実用化スキーム対象品目については、従来の(1)国内未承認薬及び(2)適応外薬(医薬品としては薬事承認されているものの、海外で広く使用されている一部の適応等が、国内では承認されていないもの。)とは分けて、今後、処理方法を検討していく必要があることから、要望の提出段階から明確に区別して募集することとしましたので、ご注意ください。

##### (1) 未承認薬

欧米等6か国(米・英・独・仏・加・豪)のいずれかの国で承認された医薬品であって、医療上その必要性が高いもの。

##### (2) 適応外薬

要望対象となる適応(効能・効果、用法・用量の両方又はいずれかが既承認の適応と異なるもの。本邦で承認されていない剤形、投与経路の追加を必要とするものを含む。)が、以下のア又はイに該当するもの。

ア 欧米等6か国のいずれかの国で承認された適応であって、医療上その必要性が高いもの。

イ 欧米等6か国のいずれかの国で、一定のエビデンスに基づき、特定の用法・用量で広く使用されていることが確認できる適応であって、医療上その必要性が高いもの。

##### (3) 未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6か国(米・英・独・仏・加・豪)のいずれの国でも未承認の医薬品であるが、以下のア、イ又はウに該当するものであって、医療上その必要性が高いもの。

ア 国内第Ⅲ相の医師主導治験が実施中又は終了したもの。

イ 優れた試験成績に係る論文が権威のある学術雑誌等で公表されているもの。ただし、希少疾病用医薬品の指定要件を満たすと見込まれるものについては、必ずしも該当しない場合であっても可とする。

ウ 先進医療Bで一定の実績があるもの。

なお、募集対象への該当性については、次の事項に留意すること。

- ・ EUで中央承認されているものは、英、独及び仏における承認があるも

のとみなす。

- ・医療上その必要性が高いものとは、以下の1及び2に掲げる基準のいずれにも該当するものであること。

1 適応疾病の重篤性：次のいずれかの場合

- ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

2 医療上の有用性：次のいずれかの場合

《要望対象（1）、（2）》

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

《要望対象（3）》

- ア 既存の療法が国内にない
  - イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ・（2）適応外薬のイについて、欧米等において、要望された適応が承認されていない場合でも、医療保険の保険償還の対象とされ、広く使用されている事例が確認されています。この場合、厳密には、国内外ともに未承認の適応となり、新設した（3）未承認薬迅速実用化スキーム対象品目に該当すると捉えることも可能です。ただし、このように（2）及び（3）のいずれにも該当すると考えられる場合は、（2）適応外薬のイに係る要望として取り扱うこととします。

2 募集期間

随時募集します。

なお、募集対象（3）に係る要望は、平成27年7月1日から募集を開始します。

3 要望作成

募集対象（1）及び（2）の要望については、別添様式1-1「未承認薬・適応外薬の要望（募集対象（1）（2）」及び別添様式2-1「開発要望の総括表（募集対象（1）（2）」を作成してください。

募集対象（3）の要望については、別添様式1-2「未承認薬・適応外

薬の要望（募集対象（3））」及び別添様式2-2「開発要望の総括表（募集対象（3））」を作成してください。

要望内容が募集対象の範囲内であることを示す根拠となる文献その他の参考文献については、文献番号を付与した写しを併せて提出してください。

要望内容の医療上の必要性の評価時には、当該要望内容の妥当性を示唆する文献だけでなく、要望内容に反する内容の文献についても検討が必要です。適切な評価を行うため、要望内容に関する文献は網羅的に調査し、要望書に盛り込むこととしてください。

要望内容が募集対象の範囲内であることを示す文献等が不足している場合には、円滑かつ迅速な事務処理のために、受付前並びに専門作業班（以下「WG」という。）及び検討会議における検討の段階においても再提出をお願いする場合がありますので予めご注意ください。

また、検討会議において、「医療上の必要性が高い」とは必ずしも判断できないと結論され、開発要請・公募に至らなかった要望については、再度要望を提出する場合には、前回の評価時点からの医療上の必要性の変化等、改めて評価結果が変更される根拠となる具体的な資料やデータを添えた上で、変更部分を明記し、ご要望ください。

#### 4 提出方法

提出は電子メールにて下記の送付先に提出してください。電子メールでの提出が困難な場合には、ファクシミリ又は郵送にて提出してください。

なお、電子メールで要望を提出する際には、「件名」を必ず「未承認薬等について」としてください。郵送で提出する場合には、電子媒体（CD-R(RW)及びDVD-R(RW)に限る。）を同封のうえ、「未承認薬等について」と朱書きしてください。

#### 【送付先】

- ・ 電子メールの場合

アドレス [kaihatsuyoubou@mhlw.go.jp](mailto:kaihatsuyoubou@mhlw.go.jp)

厚生労働省医薬食品局審査管理課

- ・ ファクシミリの場合

ファクシミリ番号：03-3597-9535

厚生労働省医薬食品局審査管理課宛

- ・ 郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関 1-2-2

厚生労働省医薬食品局審査管理課宛

## 第2 検討会議における要望の取扱い

### 1 要望の受付

要望は提出後に事務局において内容の確認を行い、添付資料、説明等が十分であると判断された時点で要望を受け付けたものとして取り扱います。

要望内容が募集対象の範囲内であることを示す文献等が不足している場合、募集対象への該当性に関する説明が不十分な場合等には、受付前に要望の再検討を依頼させていただきます。

なお、重複要望を回避するとともに、複数の学会にまたがる要望について共同で要望が提出されることを促進するため、提出された要望及び要望の再検討の依頼内容については、受付の如何にかかわらず、個人名や連絡先等を除き厚生労働省のHPにて公表させていただきます。

### 2 検討の対象外

要望内容に関する有効成分について、製薬企業による治験が実施中（又は実施済み）である場合には、当該要望は検討の対象外として取り扱います。なお、当該要望に関する治験の実施者については、当該要望の対象品目の先発医薬品を製造販売する製薬企業に限らず、後発医薬品を製造販売する製薬企業が治験を実施する場合、新規に当該有効成分と同一の薬剤を導入開発する第三者（当該要望の対象となる有効成分の医薬品を国内で上市していない製薬企業）が治験を実施する場合も同様とします。

### 3 関連学会及び関連企業の見解聴取

患者団体又は個人から提出された場合には、要望書に記載された関連学会から、さらに、日本国内での要望内容に関する開発権を有する企業が存在すると確認できる場合には、当該企業から、それぞれ当該要望の妥当性等について見解を聴取し、当該要望及び聴取した見解に基づいて検討を行うこととしています。このため、患者団体又は個人から要望が提出された場合には、臨床現場での治療上の必要性に関してご見解をいただきますようお願いいたします。

### 4 要望内容の検討

・ 要望に係る医療上の必要性の検討は、検討会議が行います。ただし、個別要望のエビデンスの具体的な検討は、検討会議の下に設置する、専門領域の医学薬学の専門家で構成するWGが行うこととします。

・ 当該要望に係る医療上の必要性の評価については、一義的には検討会議において評価されますが、WGにおいて全会一致で評価された場合には、検討会議の委員に回付の上、特段の異論が無い限り、WGの評価結果を検討会議の評価結果とします。

・WGにおいて、要望の受付から一定期間が過ぎても当該要望に係る医療上の必要性に関する結論が得られない場合には、その時点のWGでの議論内容を検討会議に報告することとします。

・要望者が学会である場合には、公平性の観点から、当面、検討会議構成員のうち、当該学会の執行部（理事会メンバー以上を想定）に在籍する者は、当該要望に係る背景事情等の説明は行うものの、当該要望の議決には参加しないこととします。

・通常、個別の品目の検討状況を要望者に個別に連絡することはありません。ただし、検討過程において追加の具体的な資料やデータが必要になった場合等は、個別に要請を行うことがあります。

・より詳細な現状（臨床現場での使用実態、保険償還の状況等）の確認や、要望内容の意図等の確認のため、必要に応じて要望者に対するヒアリングを実施することとしますので、要望学会等の適当な方に説明をお願いすることがあります。

・検討過程において、国内の使用実態を把握する必要があると判断された要望については、要望者（患者団体又は個人の要望においては、関連学会）に国内使用実態調査をお願いします。国内使用実態調査に当たっては、事前に調査計画を立案してWGに提出し、検討に必要な使用実態の情報が収集可能と判断された内容に則して実施をお願いします。

・医療上の必要性が高いと評価された場合であっても、検討時点でのエビデンスでは有効性等が十分に確認できず、疾患の特性等により治験の実施が困難と考えられる場合には、実際の使用実態において有効性のエビデンスの収集・構築が必要になることが想定されます。このような場合には、要望された学会において承認申請に必要な有効性等のエビデンスの収集のための調査等の実施が不可欠となりますので、要望学会において新たなエビデンス構築のための調査等の実施を依頼することがあります。

・使用実態調査を含む新たに追加のエビデンスが必要となった場合、当該エビデンスの収集への協力の可否について、別添様式1-1及び別添様式2-1でお示しください。なお、追加のエビデンスの収集にご協力いただけない場合は、当該要望を検討の対象外とさせていただくことがございますので、ご留意ください。

・要望は随時受け付けておりますので、開発要請に至らなかった要望についても、新たなエビデンスが追加される等、明らかな状況の変化が認められた場合には、変化が生じた部分を明確にした上で、再度改めて要望いただけます。

## 5 要請後の要望の医療上の必要性の再検討

検討会議において、医療上の必要性が高いと評価され、該当企業への開発要請や開発企業の公募が行われた医薬品については、適切に開発が進められることとなりますが、医療上の必要性を評価した時点以降、新薬の承認等により、医療環境が大きく変化する場合があります。

このような場合には、開発を行う企業等からの再検討の申し入れを受け付け、医療上の必要性を再検討することとします。

なお、再検討においては医療上の必要性に係る医療環境の変化及び当該開発中の医薬品の必要性が低下したことを示す資料の提示を求めることとします。

再検討の方法・結果の公表等は、従来の医療上の必要性の評価と同様とします。また、医療上の必要性の評価が、再検討の時点で高いとはいえないと判断された場合には、当該企業への開発要請や公募を撤回することとします。

## 6 企業への開発要請及び開発企業の公募

検討会議において「医療上の必要性が高い」と評価された要望について、日本国内で要望内容に関する開発権を有する企業が確認できる場合には、当該企業に対して開発要請を行います。開発権を有する企業が確認できない場合には、開発企業の公募を行います。

## 7 要望の公知申請への該当性等の検討及び評価

企業への開発要請を行った要望は、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性（以下「公知申請への該当性等」という。）を検討及び評価します。公知申請への該当性等の検討及び評価は、要望の医療上の必要性の検討及び評価に準じて行うものとします。

以上