

「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱

1. 目的

- 欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、
 - ・ 欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を定期的に把握し、
 - ・ 臨床上の必要性和使用の妥当性を科学的に検証する
- とともに、
- ・ 当該未承認薬について確実な治験実施につなげる
- ことにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的とする。

2. 検討事項

- (1) 欧米諸国での承認状況の定期的な把握
- (2) 学会及び患者の要望の定期的な把握
- (3) 未承認薬の臨床上の必要性和使用の妥当性に関する科学的検証
- (4) 「企業依頼」及び「医師主導」の治験への振り分けと確実な実施
- (5) 安全性確認試験の確実な実施 等

3. 構成員

- 検討会議の構成員は、がんや循環器等の重篤な疾患領域における薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回定期的に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局で行い、医政局及び保険局がこれに協力する。

「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

- 井上 忠夫 国際医療福祉大学大学院 がん薬物療法学分野教授
- 岩砂 和雄 日本医師会治験促進センター長
- 大津 敦 国立がんセンター東病院臨床開発センター長
- 大塚 頌子 岡山大学大学院医歯薬学総合研究科教授
- 川西 徹 国立医薬品食品衛生研究所薬品部長
- 久保 恵嗣 信州大学医学部内科学第一講座教授
- 後藤 元 杏林大学医学部教授
- 佐川 賢一 東京女子医科大学病院薬剤部長
- 浜田 知久馬 東京理科大学工学部教授
- 樋口 輝彦 国立精神・神経センター総長
- 藤原 久義 兵庫県立尼崎病院院長
- 藤原 康弘 国立がんセンター中央病院臨床試験・治療開発部長
- 堀田 知光 独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター院長

(※ 他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。)

「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品

類型	概要
I	平成17年4月以降に欧米4か国(米・英・独・仏)のいずれかの国で承認されたもの
II	過去5年間に学会・患者団体からの要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国のいずれかの国で承認されたもの
III	学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4か国のいずれかの国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの

ワーキンググループの設置について

- ・ ワーキンググループは、がん、小児、循環器の3領域の専門家で構成し、その他の領域(例:精神・神経、臓器移植など)については、品目に応じて、随時専門家を選定する。
- ・ ワーキンググループの専門家は、各領域における医薬品の研究開発及び治験制度に精通した者を座長が指名し、検討会議に報告する。
- ・ メンバーは、検討品目に関して関与又は特別の利害関係を有する場合は座長に申し出ることとし、関与等がある場合は、当該品目について発言することができない。

未承認薬検討会議で検討の対象とする未承認薬の考え方

考え方

適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定

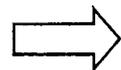
(1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患(致命的な疾患)
- ② 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 等

(2) 医療上の有用性

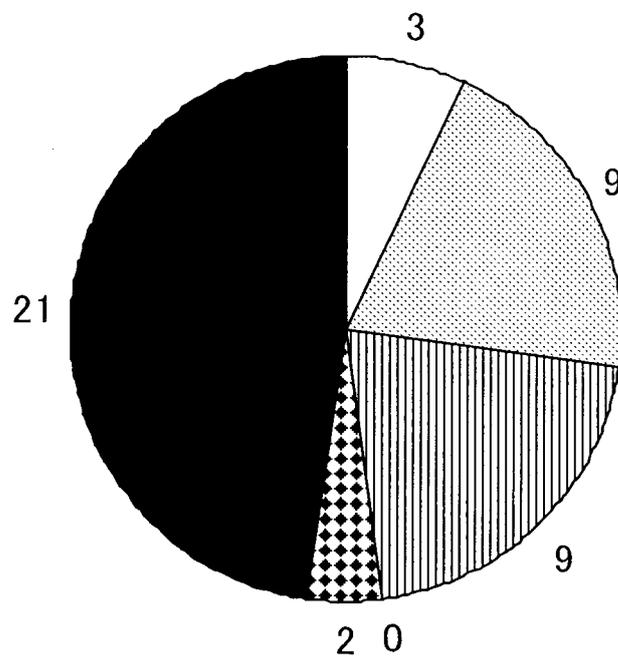
- ① 既存の治療法・予防法がない
- ② 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の治療法・予防法と比べて明らかに優れている
- ③ 欧米において標準的治療法に位置付けられている 等



医療上特に必要性が高いと認められるもの

未承認薬使用問題検討会議での検討状況 (平成17年1月～平成21年6月)

【現在の状況】(平成21年6月現在)



開発企業募集中 治験計画等検討中 治験実施中
 申請準備中 審査中 承認済み

(検討品目の分類)

抗がん剤	22
先天代謝異常症などの小児用薬	11
その他	11
合計	44

医療上の必要性が高い未承認の医薬品又は適応の
開発の要望に関する意見募集について

平成 21 年 6 月 18 日
厚生労働省医政局研究開発振興課
医薬食品局審査管理課

海外では認められている医薬品のうち、わが国では承認されていない医薬品、あるいは承認等された効能・効果又は用法・用量が異なる医薬品（以下「未承認薬等」という）であって、医療上の必要性が高いものについては、わが国の患者に早急に提供できるよう、その開発を促進すべきであると考えています。

つきましては、医療上の必要性が高い未承認薬等の開発について、ご要望を募集しますので、ご要望がある場合には、下記によりご提出をお願いいたします。皆様からいただいたご要望については、検討の対象として活用させていただきます。

なお、ご提出いただいたご要望に対しては、結果の公表をもって回答に代えさせていただきますので、予めご了承ください。

記

1. 募集期間

平成 21 年 6 月 18 日（木）～ 平成 21 年 8 月 17 日（月）

※ 郵送の場合は必着

2. 提出方法

ご要望については、別添の注意事項及び様式によって、以下に掲げるいずれかの方法で提出してください。

なお、提出していただくご要望には必ず件名として「未承認薬等について」と明記して提出してください。

○ 電子メールの場合

アドレス misyouninyaku1@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

3. ご要望の提出上の注意

ご提出いただくご要望につきましては、日本語で記載されたものに限りです。

また、個人の方は住所・氏名・職業を、団体の場合は団体名及び所在地を記載してください。ご提出いただきましたご要望については、住所・電話番号・ファクシミリ番号及び電子メールアドレスを除き、公開される可能性があることを、予めご承知おきください。

ご要望中に個人に関する情報があつて、個人名を伏せることを希望される場合は、個人名の記載の後に「非公表希望」と明記してください。また、団体等の財産権を害するおそれがあると判断される場合には、公表の際に当該箇所を伏せさせていただく場合もあります。

なお、提出された要望については、その内容について関係企業に確認を求めするために提示することとなりますが、予めご了解いただくようお願いします。

以上

(別添)

医療上の必要性が高い未承認薬等の開発の要望提出に当たっての注意事項

1. 要望される未承認薬等の範囲

(1) 未承認薬

要望の対象となる医薬品については、欧米4か国（米・英・独・仏）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^(注)もの

(注)「医療上その必要性が高い」とは次の①及び②の両方に該当するもの

① 適応疾病の重篤性が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 医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米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 欧米において標準的療法に位置づけられている

(2) 適応外薬

要望の対象となる適応（効能・効果、用法・用量の両方又はいずれかが異なるもの）については、欧米4か国（米・英・独・仏）のいずれかの国で承認された適応（欧米4か国のいずれかの国の公的医療保険制度の下で償還対象となる適応を含む）であって、医療上その必要性が高いもの

2. 学会等からの要望について

学会等医学薬学の専門家からなる団体（個人を含む）にあつては、要望にあたり、別添様式1-1（未承認薬）又は別添様式1-2（適応外薬）に基づき、①医薬品名、②会社名、③承認国（又は公的医療保険適用国）、④効能・効果、⑤用法・用量、⑥文献・学会発表、国内外の学会ガイドライン等への収載状況等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価、⑦医療上の必要性に係る基準への該当性を記載していただくようお願いします。あわせて、別添様式2（総括表）を提出いただくようお願いします。

3. 患者団体等から要望について

患者団体等にあつては、上記2と同様に、別添様式1-1（未承認薬）又は別添様式1-2（適応外薬）に基づき、要望の提出をお願いしますが、記載できない欄については空欄でも差し支えありません。あわせて、別添様式2（総括表）の提出をお願いします。

4. 要望書（別添様式1-1、1-2）の記載における留意点

- (1) 別添様式1-1及び1-2については、1要望あたりの枚数制限はありませんので、できるだけ詳細に記載ください。
- (2) 団体又は個人ごとに要望の優先順位をつけてください（未承認薬でも、適応外薬でも区別せず通して優先順位をつけてください）
- (3) 医薬品の販売名が国ごとに違う場合は、○○○（米）、▲▲▲（英）のように記載してください。
- (4) 「承認国」又は「承認又は公的保険適用国」欄については、欧米4か国全ての承認の有無、どの国でも承認されてはいない場合は欧米4か国全ての公的医療保険制度の適用の有無がわかるように記載してください。
（例1：米国・英国で承認、独国・仏国で未承認、例2：4か国とも未承認だが公的医療保険は米で適用、英・独・仏で不適用）
- (5) 「効能・効果」、「用法・用量」欄においては、欧米で承認又は公的医療保険適用される効能・効果、用法・用量について正確に把握する必要があるため、その内容を全文記載するとともに、適応拡大要望においてはわが国で適応外の部分に下線を付してください。
- (6) 「文献・学会発表等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価」欄では、根拠となる文献等ごとにその概要を示して下さい。また、承認のためのエビデンスレベルが十分かどうか（追加の治験があるかどうか）、治験をすれば比較臨床試験までいるのかどうかなど、また、その評価理由について団体（個人）としての総合的な評価をできるだけ詳細に記載してください。
- (7) 「医療上の必要性に係る基準への該当性」欄においては、1. 適応疾病の重篤性、2. 医療上の有用性のそれぞれについて、以下の判断基準のどの項目に該当するかとともに、その根拠を記載してください。

(判断基準)

「医療上その必要性が高い」とは次の(1)及び(2)の両方に該当するもの

(1) 適応疾病の重篤性が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) 医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米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 欧米において標準的療法に位置づけられている

(別添様式1-1)

未承認薬の要望

要望者		
優先順位	位(全 要望中)	
医薬品名	成分名	
	販売名	
会社名		
承認国		
効能・効果		
用法・用量		
文献・学会発表等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価	(1)無作為化比較試験等の公表論文(論文ごと) (2)教科書等(標準的治療としての記載のあるものごと) (3)peer-review journalの総説、メタアナリシス(総説等ごと) (4)学会又は組織・機構の診療ガイドライン(ガイドラインごと)	

(次ページへ続く)

	<p>(5)(1)から(4)を踏まえたエビデンスレベルの総合的な評価</p> <p>(6)追加すべき試験の種類とその実施方法案</p>
<p>医療上の必要性に係る基準への該当性</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>2. 医療上の有用性</p>

適応外薬の要望

要望者		
優先順位		
医薬品名	成分名	
	販売名	
会社名		
承認又は公的 医療保険適用国		
効能・効果		
用法・用量		
文献・学会発表 等のエビデンス に基づく安全 性・有効性の 評価	<p>(1)無作為化比較試験等の公表論文（論文ごと）</p> <p>(2)教科書等（標準的治療としての記載のあるものごと）</p> <p>(3)peer-review journal の総説、メタアナリシス（総説等ごと）</p> <p>(4)学会又は組織・機構の診療ガイドライン（ガイドラインごと）</p>	

	<p>(5)(1)から(4)を踏まえたエビデンスレベルの総合的な評価</p> <p>(6)追加すべき試験の種類とその実施方法案</p>
<p>医療上の必要性に係る基準への該当性</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>2. 医療上の有用性</p>

別添様式2

未承認薬・適応外薬の要望(総括表)

団体名	ご担当者名				ご連絡先TEL		Email	
要望番号(優先順位)	成分名	販売名	会社名	効能・効果 (追加部分に下線)	用法・用量 (追加部分に下線)	欧米4か国の承認等状況	文献・学会発表等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価(概要)	医療上の必要性に係る基準への該当性(概要)
						米: 英: 独: 仏:		