

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

問題意識

- ◆ 専門作業班(WG)からの上程件数が、最近少なくなっているのは何故か。作業効率を向上させる必要があるのではないか。
- ◆ 検討会議で議論することが最近少ないので、開催頻度も含めてあり方を見直すべきではないか。
- ◆ 学会からの要望について対応を決定しているのに、要望学会の幹部が検討会議での議決に参加するのは公平性の観点から問題ではないか。
- ◆ 医療上必要性が高いとされたものでも、公知申請にはエビデンスが不足しており、治験の実施可能性もないような場合には、現状の運用では検討が行き詰まるのではないか。
- ◆ 開発要請を受けて開発中の品目について、新たな治療薬が上市されることにより、必要性がなくなってしまう場合、開発を続けても無駄になってしまうのではないか。

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

対応の方向性①(案)

◆ WGの活性化と効率化を図り、迅速化を図ってはどうか？

① 迅速な検討を具現化するために、

- ・WGは専門領域の医学薬学の専門家で構成されており、要望が随時受付となっていることから、WGの全会一致の意見をもって検討会議の結論としてはどうか。
- ・WGにおいては、要望受付後一定期間でその時点の見解をまとめることとし、一定期間で全会一致に至らない場合には、WGの議論内容とともに検討会議に上程し、検討会議で結論を得ることとしてはどうか。
- ・また、事務局の事務手続きの簡素化等を行い、WGの検討の迅速化を図ってはどうか。

② 要望者との意思疎通により要望内容の真意を的確に把握するために、要望学会等からのヒアリングをWGで行えるようにしてはどうか。

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

対応の方向性②(案)

◆ 検討会議における議論の活性化と公正化を図ってはどうか？

① 検討会議での公正化を図るために、

- ・ 検討会議で結論を得る事案については、公平性の観点から、要望提出学会の執行部在籍の構成員は、当該事案の議決に参加しないこととしてはどうか(議論に参加することは可としてはどうか?)。

② 進捗管理の明確化のために、

- ・ 学会での使用実態調査結果が、医療上の必要性、公知申請の妥当性の評価に必要な場合には、調査結果後に再度要望、あるいは、学会での調査中である旨を検討会議に定期的に報告することとしてはどうか。

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

対応の方向性③(案)

◆ 開発が行き詰まる事案の対応の整備と医療上の必要性に変化に対応する手続きを整備してはどうか？

- ① 医療上の必要性は高いと評価できるが、エビデンスが不足しているために、公知申請が適当ではない場合であって、治験が実施困難である場合には、開発が実行上行き詰まることが想定される。このような場合には、要望学会に使用実態調査の実施など更なるエビデンスの整備をした上で要望するよう依頼してはどうか。
- ② 新たな治療薬が上市されるなどにより、当該診療分野での標準治療法が変化し、要望品目の医療上の必要性が低下することが考えられる。このような場合には、変化が生じたことを示す根拠を持って、医療上の必要性の再評価・要望学会への要望取り下げの打診を行う等の見直しを行ってはどうか。

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

その他のルール整備①(案)

- ◆ 適応外薬の(後発品のある)先発品に関して、先発品ではなく後発品が開発のための治験に着手している場合にも、先発品が治験に着手している場合と同様に、開発中要望として検討対象外とすることを明確にしてはどうか。
- ◆ 学会からの開発要望において、有効性・安全性等を示す論文等の資料の添付を求めているが、添付資料が不十分な事例が少なくなく、WGで論文検索をして大部の文献を追加検討しないといけない事例が見られるので、明らかに主要な文献が不足している要望については、要望学会に資料不十分として再検討を依頼することを明確にしてはどうか。

医療上の必要性の高い未承認薬・ 適応外薬検討会議の運用改善について

その他のルール整備②(案)

- ◆ 開発要請に至らなかった要望について、新たなエビデンスが追加される等、状況の変化が認められた場合には、再度要望の提出ができるが、その際には、変化が生じた部分を明確にした上で、提出することを明確にしてはどうか。