

## 医療上の必要性の評価の基準について

医療上の必要性の評価の基準について、下記のとおり分類している。

## (1) 適応疾病の重篤性

- 重篤性あり {
- ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
  - 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
  - エ 該当しない

## (2) 医療上の有用性

- 有用性あり {
- 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
  - エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合には、もっとも適切と判断されるものにあてはめることとした。

(1)(2)の両方について、ア、イ又はウと評価された場合には、「医療上の必要性の基準に該当」とする。この場合、国から開発要請を行うことに対して企業の特段の意見<sup>※2</sup>がないことを確認の上、開発要請を行うこととする。

※2 特段の意見については、海外とわが国の間での医療環境の違い等の状況から、開発を進めて承認を受けたとしても、その意義が乏しいとする意見に限る。

この場合、企業はどのように判断する十分な根拠を付して意見を提出することとし、事務局は、この意見について関係学会の見解を求めることとする。両者の見解をもとに、検討会議で開発要請の妥当性を判断する。