

平成 23 年 7 月 22 日

厚生科学審議会医薬品等制度改正部会
部会長 永井良三様

卵巣がん体験者の会スマイリー
片木美穂

コンパッションネートユース（CU）の導入と、個人輸入の規制について

1. 薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政の在り方検討委員会最終提言より

薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政の在り方検討委員会が 2010 年 4 月にまとめた「薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて」（最終提言）では、

- ・ インターネットを通じた未承認薬の個人輸入に関する規制の強化など、個人輸入について厳格な対応を行う
- ・ 代替医薬品のない疾患や希少疾病に対し、患者数が極めて少ないなどにより製薬企業による承認申請が進まない国内未承認薬については、適正な管理、安全性情報などの収集・提供および適正な使用がなされるよう、「例えば欧米で制度化されているコンパッションネート使用などの人道的な医薬品の例外的使用手続きを構築すべき」
- ・ コンパッションネート使用の構築に際しては慎重な制度設計が必要だが、その要は、①患者の未承認薬への例外的アクセスの要望 ②患者の安全性確保 ③販売承認に必要なエビデンスを作る診療試験の実施を妨げないことの 3 つの過不足のないバランス保持にある

とされています。

日本では、個人輸入においてすでに模造医薬品が入ってきて死亡例が出ている実情があり、インターネットを検索すると医師向けに薬監証明の作成代行も請け負い、輸入代行するようなサイトも多数出てきます。また ED 治療薬や海外のジェネリックの抗生物質を一般の人が購入できるサイトも表示され、家に居ながら簡単に薬を手に入れることができます。抗がん剤も錠剤であれば簡単に輸入できると謳うサイトまであります。

日本ではドラッグ・ラグの問題が深刻であり、学会が発行するガイドラインに掲載されている抗がん剤でさえも未承認や適応外であり患者さんが使えない事実もあり、もう治療の手が無いと言われた患者さんは個人輸入に頼らざるを得ない事情があります。

しかし、近年では模造医薬品の問題が出てきており、個人輸入のルートの中かで模造医薬品が紛れ込む危険性があります。また、個人輸入は自己責任のもとであり、なかなか問題が表に出てこない実情もあります。模造医薬品から患者さんを守るには、安直な個人輸入は規制することが必要だと思われます。

その一方で、患者さんにとって必要な治療薬へのアクセスを阻害しないためにも並行して、正規品の治療薬にアクセスできるような制度が必要だと思います、たとえばコンパッションネートユース制度のよう

に国に情報を登録し、正規品を製薬企業から入手して患者さんの治療に用いる仕組みなども検討する必要があります。

別途参考資料に各国のコンパッショネートユースの比較表をつけておりますが、各国、その方法はばらばらであり、日本も日本の事情を考えながら制度設計が必要かと思われま

また、未承認薬を薬事承認を睨んで臨床試験で使う際には質の高い臨床試験を行い、薬事承認審査の対象にするなどインセンティブをつければ、よりドラッグ・ラグの問題は解決へ向かうと思っておりますので、研究者主導の ICH-GCP レベルの臨床試験に関しては、きちんと評価をする必要があります。

そこで以下の検討を求めます。

- ・薬事法で希少疾病の医薬品に関する項目を77条の2に掲げているが、これと同じようにもう代替の治療の手段がない患者に対してコンパッショネートユースについて盛り込んでください。
- ・それと並行して、個人輸入に関して一定の規制を行うことを薬事法で行ってください
- ・質の高い臨床試験に関しては薬事承認審査の対象にするよう薬事法で定めてください。

以上

●日本でも、熱帯病・エイズ治療薬・ハンセン病の治療薬の公的な供給が行われた実例がある。

- ・熱帯病、エイズ治療薬…厚生労働省研究班の管理
- ・ハンセン病治療薬…国が一括入手した未承認の治療薬が国立療養所で用いられる

生命を脅かし他に代替する治療手段が無い疾患として人道的観点から未承認薬の管理・供給が公的に行われている実例が存在する

●コンパッショネートユースを求める動き

- ・2004年『「適応外使用」の対応に係わる現状と今後の対応の在り方に関する研究』は重篤な疾患や希少疾患における限定的な使用となる場合はCU使用など当局に登録して使用させるシステムを構築すると提言。
- ・2007年「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」も保健衛生上の観点から「医師等」以外のものによる個人輸入に制限を加えることと合わせ、CUを日本に導入する検討を求める報告を出す。
- ・2010年政府の行政刷新会議「規制・制度改革に関する分科会」がCU使用の制度化などの検討を求める報告書を大筋で合意したと報道。しかし、その後の閣議決定に至る段階で保留されたくしくCUの項目は見られなかった。

●韓国のCU

- ・韓国は販売承認を目指す臨床試験にとどまらず全ての臨床試験を対象とするIND制度（臨床試験承認制度）を導入。その際、研究用新薬の治療使用（治療IND）を導入した
- ・韓国薬事法34条（臨床試験計画の承認など）では「医薬品等で臨床試験をしようとする者は臨床試験計画書を作成して、食品医薬品安全庁長の承認を受けなければならない」と定めている
- ・韓国薬事法32条（臨床試験の実施基準）では「臨床試験用医薬品などは臨床試験以外の目的に使わないこと。ただし、末期がんおよび後天性免疫欠乏症など生命を脅かす重大な疾患を持った患者に就かうために食品医薬品安全庁長が別途定める場合は除く」と定めている
- ・KFDA「医薬品臨床試験計画承認指針」では「品目許可前の臨床試験用医薬品の治療目的使用」（治療IND）について「生命を脅かす重大な疾患などをもった患者を治療するために臨床試験用医薬品または市販許可されていない医薬品を人道的につかえるようにする」と定義している
- ・同指針第11条で治療目的使用の場合について「次の各号が含まれた計画書を提出して食品医薬品安全庁長の使用承認を得なければならない」として①臨床試験用医薬品の使用目的および理由、②使用患者選定基準③臨床試験用医薬品の投与方法及び投与量④医薬品使用と関連する安全性・有効性関連データの収集方法⑤最新の臨床試験者資料集（日本の治験における治験薬概要書に大向け該当するもの）またはそれと同等以上の安全性・有効性関連資料をあげている。また承認された場合は、指定した臨床試験機関の臨床試験審査委員会（IRB）の承認を得て実施しなければならないと定めている
- ・応急状況の臨床試験用医薬品使用（緊急IND）については「臨床試験計画承認前の応急時に臨床試験用医薬品を使用できるようにすることをいう」と定義しており、第12条では手順を定め、13条では①試験研究者は使用後の症例報告を開発者に提出すること②予想できない重大な有害事象が生じた場

合開発者は韓国 GCPにより迅速に食品医薬品安全庁長に報告すると定めている。

- ・ オーフアンドラッグに関しては実施計画承認申請時の提出資料を臨床試験計画書と臨床試験者資料集のみに免除しており「治療 IND」の承認対象に含んでいる

●各国のCU比較表

表1 CU 国別概括表

国名	制度の名称	対象	対象未承認薬	特徴	
米国	治療 IND*3その他の拡大アクセス	指名患者、患者集団	国内開発	輸入品は対象としない	
欧州 (EU)*1	EU 全体	コンパッションネット使用	患者集団	国内開発・輸入	EU は理念などを示すが、具体的運営は各国で
	デンマーク	患者指名ライセンス	指名患者	輸入・国内開発	CU 適用を市民サービスの重点目標に
		ゼネラルライセンス (患者集団対象)	患者集団	輸入・国内開発	
	フランス	暫定的使用承認 (ATU)	指名患者、患者集団	輸入・国内開発	病院内限定。患者集団タイプは企業主体で運営 CU 適用薬は患者負担なしで供給
	ドイツ	コンパッションネット使用	患者集団	国内開発	費用は企業負担で実施 輸入品は対象としない
	スペイン	コンパッションネット使用 暫定的使用承認 (ATU)	指名患者、患者集団	輸入・国内開発	病院内限定。国が使用指針を作成し、患者への使用は病院で承認するなど運営を効率的に
	英国	販売承認を要しない例外医薬品 (スペシャルズ、特例の輸入医薬品)	指名患者、患者集団	輸入・国内開発	取り扱い業者を資格制にするなど官民連携で 費用は多くは NHS (国営医療サービス) が負担
スイス*2	コンパッションネット使用のための特別承認	指名患者	輸入・国内開発	EU と歩調を合わせ指名患者型の CU を制度化	
カナダ	特別アクセスプログラム (SAP)	指名患者、患者集団	輸入・国内開発	SAP のもとでケースバイケースに承認	
オーストラリア	特別アクセススキーム (SAS)	指名患者	輸入・国内開発	命を脅かす患者は当局の事前承認がいらない 既存薬使用を推進、限定的に厳しく承認	
韓国	オーファンドラッグセンター (輸入)	指名患者	輸入	独自の施設をつくり国内未承認薬を輸入供給	
	治療 IND*3	指名患者、患者集団	国内開発・輸入	欧米の IND 制度を導入、治療利用 (治療 IND) も推進	
日本 (参考)	(個人輸入)	指名患者、患者集団	輸入	CU 制度がなく、「個人輸入」に頼らざるをえない	
	(EAP*4)	患者集団	国内開発	外資メーカーが EAP の治験外使用で供給	

*注) 1. 英語表記による国名の ABC 順 2. EU 未加盟
3. 治療 IND ; 研究用新薬の治療利用 4. EAP ; 企業が行う拡大アクセスプログラム

参考および引用 : 日本で承認されていない薬を安全に使うーコンパッションネット使用制度
寺岡章雄+津谷喜一郎 著 日本評論社