

薬事法等改正の方向性（たたき台案）について

1. 医薬品等関係者の安全対策への取組みの促進について

(1) 理念・責務

- ① 薬事法の目的に、医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器の使用による、保健衛生上の危害の発生又は拡大の防止のために必要な規制を行うことを規定する。
- ② 国、地方公共団体、医薬関係者、医薬品等の製造販売業者等の責務として、医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器の品質、有効性及び安全性を確保するための対応を行う必要があることを規定する。
- ③ 医薬品等を使用するに当たっての患者（国民）の役割として、医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器の品質、有効性及び安全性の確保に関する知識と理解を深め、積極的な役割を果たすことを規定する。

(2) 審査・承認後に判明したリスクへの対応の強化

市販後の副作用報告等から新たに特定されたリスクについても、必要な安全対策を実施することが必要であること等から、承認後に承認条件等を追加できることとする。

(3) 添付文書等に常に最新の状況が反映されるような措置の導入

- ① 製造販売業者等は論文などにより得られる最新の知見に基づいて、添付文書を作成しなければならないこととする。
- ② 製造販売業者等に承認申請時に添付文書案及びそれに関する資料の提出を求めることとする。
- ③ 製造販売業者等に製造販売前及び改訂時に添付文書の届出を義務付けることとする。

(4) 医薬品等監視・評価組織

医薬品等行政に関する組織を監視・評価する第三者組織については、厚生労働省の基本的政策型審議会である厚生科学審議会に部会を新設することとする。

(5) 副作用等報告先の一元化

- ① 副作用、不具合報告及び感染症報告等について、医薬関係者による副作用等報告を、製造販売業者等による副作用等報告と同様に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に報告することとする。
- ② PMDA が行う副作用等報告の情報整理について、副作用救済給付を請求する者からの情報についても整理対象とできることとする。

(6) 回収報告の範囲拡大

医薬品等の回収漏れや回収遅延による保健衛生上の被害等を防止するために、回収の状況に応じた適切な指導が可能となるよう、製造販売業者等に自主回収の着手報告のみならず、回収の状況を厚生労働大臣に報告することとする。

(7) 別途取り組むべき事項

- ① 患者向け医薬品ガイド等、患者の副作用への理解を促すような啓発活動などの充実強化について検討する。
- ② 副作用等問題が発生したときに患者が速やかに医療関係者に連絡するよう、医療関係者が患者に説明をすることが重要であり、医療関係者が取るべき具体的な対応について検討する。
- ③ 医薬品リスク管理計画を科学的かつ効果的に活用するため、製造販売業者等が、承認審査段階から行政と協議できる仕組みの構築や、医薬品の使用者側にも理解しやすいような制度となるよう検討する。
- ④ データベースや薬剤疫学的手法を用いた研究の円滑な実施が可能となるような環境整備について検討する。
- ⑤ 添付文書については、「紙」だけでなく、電子媒体を活用するなど電子化に対応した制度について検討する。
- ⑥ 医薬品の再審査については、再審査終了時点の評価に限らず、判明したリスク等の情報を再審査期間中に適時評価を行う制度となるよう検討する。

- ⑦ 現行の医薬品副作用被害救済制度において対象外とされている抗がん剤等による健康被害の救済に関しては、抗がん剤等による健康被害の救済に関する検討会において、引き続き検討する。
- ⑧ 苦情解決機関の設置については、PMDA の相談窓口にて苦情等の対応を実施中であるが、より多様な関係者からの様々な苦情や問い合わせに対応するための体制整備について引き続き検討する。
- ⑨ 患者からの副作用報告については、PMDA において事業の実施に向けて検討する。

2. 医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について

(1) 医療上必要な医薬品・医療機器の開発に対応した制度について

- ① 医療上特に必要性が高いが、企業による開発が進みにくい医薬品・医療機器について、迅速な開発を促すため、このような医薬品・医療機器を開発し、承認を取得した者に対して、当該医薬品・医療機器とは別の品目に対する優先審査権の付与等の優遇措置を検討する。
- ② 患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器については、有効性及び安全性を十分に確認しつつ、より重点的な開発支援を検討する。
- ③ 革新的医薬品・医療機器に対する的確な相談対応や迅速な承認において、レギュラトリーサイエンスの成果の活用が不可欠であることを踏まえ、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法に、承認審査に関わる薬事法上の基準及び関連するガイドラインの作成のための調査及び研究（レギュラトリーサイエンス）を業務として追加することを検討する。

(2) 医療上必要な医薬品・医療機器へのアクセスについて

承認取得のための開発（治験）を阻害することなく、致命的な疾患や日常生活に著しい支障がある疾患であって、その医薬品等を使用する以外には治療方法がない疾患等、医療上の必要性が高い未承認の医薬品及び医療機器について、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対してもアクセスできる制度を検討する。

アクセス制度により、治験の進行を阻害するものではなく、その使用成績は、製造販売承認申請のための治験データとは区別されて取り扱われるべきものである。

※ なお、制度の主旨を踏まえた対象疾患の範囲、対象薬物の範囲、安全性を確保するための仕組みの構築（対象医療機関、補償等）、安全性情報の収集方法等について、さらなる議論を行う必要がある。

(3) 医療機器等の特性を踏まえた制度

医療機器は、その種類が多岐にわたり、かつ継続的に改良・改善を重ねていくものが多数あるという特性を有することや、国際的な医療機器の品質管理の方法と整合する必要があることなどを踏まえ、改良・改善を円滑に実施しやすい制度とする。

- ① 医療機器の改良・改善等を含む製造管理・品質管理が適切に実施されていることを確認する医療機器の QMS (Quality Management System) 調査¹⁾については、国際的な整合性を踏まえるとともに、調査の実効性を高めるため、特にリスクの高い医療機器等を除き、製品群ごとに調査対象をまとめることとする。また、個別製品の承認の要件として、一定期間以内にその製品が属する製品群の QMS 調査を受けることを義務づけることを検討する。

¹⁾: 医療機器について、製品のライフサイクル全般にわたり、品質に関する企業全体の管理体制を確立することにより、品質を保証するシステム。国内では、医療機器及び体外診断用医薬品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令として、医療機器の製造販売承認の要件となっている。

- ② 薬事法に、医療用の単体ソフトウェアを医療機器として規定し、無体物としての製造や流通に関する特性を考慮しつつ、ソフトウェアの品質・安全性を確保するために必要な取扱いの明確化について検討する。
- ③ 医療機器と医薬品を組合せた製品の安全性等を担保するため、医療機器の医薬品部分又は医薬品の医療機器部分に対する製造時の品質管理上や副作用・不具合報告の取扱いの明確化について検討する。
- ④ 薬事法に、医療機器の特性を踏まえた医療機器の章を追加することが可能か検討する。
- ⑤ 円滑な臨床試験の実施による開発の促進を図るために、医療機器の臨床試験実施施設のあり方について検討する。

(4) 別途取り組むべき事項

- ① 細胞・組織加工製品（いわゆる再生医療製品）など、先端的技術を用いた製品の初期段階からの開発を支援するために、レギュラトリーサイエンスの充実、薬事戦略相談の強化・拡充を進める。
- ② レギュラトリーサイエンスに係る PMDA の人員の強化のみならず、承認審査早期からリスク管理計画を協議できる人材の育成、薬剤疫学の専門家等を育てる人材教育についても検討が必要である。国の規制研究機関の強化やレギュラトリーサイエンス研究予算の拡充を検討し、予算の確保を図る。
- ③ 優先審査については、有効性・安全性の審査をおろそかにするものではなく、難病等の領域毎に十分な審査を短期間で行うことが求められるため、審査員の増員等に努める。

- ④ オーフアン制度（希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進制度）に基づく開発支援については、国で直接実施するのではなく、専門的な指導・助言体制を有する医薬基盤研究所の更なる充実強化及び事業費の拡充を図るとともに、医療機器に対する開発支援も一層進めるべきである。オーファン制度の対象患者数については、現在は5万人未満とされているが、PMDAの体制強化や助成金の拡充を前提に、引き続き検討する。
- ⑤ 再生医療製品については、特に進歩し続けている段階の技術であること等を踏まえ、関係学会の専門家をPMDAに派遣する仕組みの構築、PMDAと関係学会が連携して再生医療に関するガイドライン策定組織を設置し、計画的にガイドラインの策定等を推進する。
- ⑥ 戦略的な臨床研究の推進は必要であり、その中でも、早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP²⁾水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院と、PMDA・厚生労働省との連携を行う。
- ²⁾: ヒトを対象とする治験の計画、実施、記録及び報告に関し、その倫理的、科学的な質を確保するための国際的な基準。
- ⑦ 臨床研究と治験との連続性の確保の観点から、高度医療評価制度³⁾のもとで、ICH-GCP水準に適合して実施されたファーストインマン試験⁴⁾、POC (Proof of Concept) 試験⁵⁾については、承認申請資料として活用できるような柔軟な対応を行う。
- ³⁾: 薬事法の承認等が得られていない医薬品・医療機器の使用を伴う先進的な医療技術のうち、一定の要件の下に行われるものについて、「高度医療」として認め、保険診療と併用できることとし、薬事法による申請等に繋がる科学的評価が可能なデータ収集の迅速化を図ることを目的として創設された制度。
- ⁴⁾: 世界で初めてヒトに試験対象の薬物を投与、あるいは機器を使用する試験。
- ⁵⁾: 非臨床試験での薬効が、ヒトにおける有効性として現れることを実証するための試験。
- ⑧ 法制化を含めた臨床研究のあり方については、平成25年7月を目処とした臨床研究指針全般の見直しの議論（厚生科学審議会科学技術部会）において、引き続き検討する。
- ⑨ 承認審査の一層の透明化と迅速化を図る観点から、定められた期間内に一定の承認手続きを終了してその時点での結果を薬事・食品衛生審議会で審議する仕組みについては、PMDAの体制強化を前提に検討する。

- ⑩ベンチャー企業の育成という観点からも、審査料、手数料等のあり方について検討する。
- ⑪体外診断用医薬品については、機器部門で審査がされているが、コンパニオン体外診断用医薬品⁶⁾など、新たな製造品が開発されており、個別化医療を推進する観点からも、医薬品と連携した審査について検討する。
⁶⁾: 医薬品の適用可否を事前に判断するために使用される診断薬。
- ⑫医療機器については、革新的医療機器に加え、改善・改良品、モデルチェンジ品のデバイス・ラグを解消するため、例えば、QMSの確認を前提に、軽微な変更の届出を行うことができる範囲を実質的に拡大するなど、その特性を踏まえた弾力的な規制の運用について検討する。
- ⑬PMDAの医療機器における専門家の数や質の向上、学会との連携について充実を進める。
- ⑭製造所での組み立てが困難な大型の医療機器等について、品質の確保を前提に、当該製造所以外の場所での組み立て等に関する規制のあり方について検討する。
- ⑮審議会等における審議の中立性、公平性、透明性を高めるため、利益相反の適切な管理について徹底を図る。

3. 医薬品等監視の強化について

(1) 指定薬物の取締の強化

薬事法等に麻薬取締官（員）が、薬事法に規定されている指定薬物の販売規制に対応する規定や、予防的視点から迅速かつ円滑な取締りが可能となるよう必要な規定を検討する。

(2) 別途取り組むべき事項

- ① GMP/QMS調査について、都道府県からPMDAへの調査委託ができる等の規定とすることにより、PMDAが都道府県の調査に協力できる体制を構築する。
- ② これまで個人輸入が行われていた医療上必要な未承認薬等については、前述の2.(2)のアクセス制度を検討する。その他の個人輸入についても、輸入者個人への注意喚起の実効性を高めるため、薬監証明のデータベース化で把握した個人輸入の実態の公表の他、都道府県等での健康被害事例の収集と公表、個人輸入を誘引するホームページの監視を含む情報提供・啓発事業をさらに推進する。
- ③ 適応外使用の情報提供、広告等については、業界団体の自主ガイドライン（医薬品の適応外使用の情報提供に関する総括報告書）を、各都道府県へ周知するとともに、業界団体と連携して不適正事例の監視・指導に努めるよう各都道府県に通知するなど、違法な事例の取締りにつながる仕組みを強化する。
- ④ GMP等に関する研修等を強化し、都道府県・国・PMDA等の職員の資質の向上を図る。