

<これまでの対応の振り返り等>

- これまでの特例承認による緊急時の対応についての分析、検証を行ってほしい。
- 制度の如何に問わず、承認には臨床試験で一定のデータが必要である。臨床試験の体制整備もあわせて進めてほしい。
- 企業との契約で薬価については非公開になっているが、何らかのタイミングで公開する予定はあるか。先例があればどのような手順で明らかになるのか伺いたい。

<発動要件の明確化>

- 制度の発動要件である「緊急時」とは何か明確化すべき。発動要件の認定の手続についても明確化する必要がある。

<運用の基準>

- 緊急時の薬事承認に当たっては、海外と同等レベルのデータは必要。特に安全性は十分に確認することが必要である。

<条件・期限。期限内での改めての有効性等の確認>

- 条件や期限については緊急時の制度であることに鑑み、詳細な検討が必要である。
- 期限内に改めて有効性等を確認するプロセスにおいて、リアルワールドデータの活用について検討する必要がある。

<市販後の対応>

- 損害賠償の免責についてEUの各国の対応も教えてほしい。
- 市販後の対応については、例えば、全例調査の実施や審議会の開催の頻度の増加など丁寧に対応する必要がある。
- 民間が対応する市販後の安全対応や健康被害の救済については、国が免責や救済を含め、サポートする必要がある。

<その他>

- 複数の承認制度があるが、一般の方に広く理解されているわけではない。この薬はどの制度で承認された薬なのか分かりやすく一般の方が区別できるようにしてほしい。
- 緊急時の薬事承認について、医療機器にも適用の場面は想定される。

第2回制度部会（2021年12月3日）でいただいた主なご意見

<発動の要件について>

- 緊急時の具体的状況は常に変化する。緊急時であるか否かの判断は適宜適切に行い、緊急時でなくなれば取り消すべき

<運用の基準について>

- 運用の基準について、大枠での審査の基本的な考え方を整理した上で、医薬品医療機器等の性質等や緊急時の具体的な状況に応じて対応をすることが必要。いずれにしても、専門家の意見を聴いた上で承認を行うこと。
- 有効性は「推定」、安全性は平時の水準どおり「確認」とすることは理解する。ただし、科学の世界では、安全性が100%確認というのはあり得ない。「確認」や「推定」の意味するところについて誤った理解が広がらないよう、分かりやすく説明を行う必要がある。
- EUの制度にはベネフィットリスクの概念に時間軸を含めたような書き方になっているので、そのような書き方ができるか検討いただければと思う。
- 有効性が推定ということだが、開発に当たっては対面助言を踏まえて進めさせていくが、市販後に取得するデータも含めて、行政と業界で合意して、シームレスで本申請を行えるようにする必要があると思う。

<承認の期限について>

- 承認の期限については期限を設けること自体には異論がない。現実には緊急時の混乱している中での試験等となるので、期限が2年で十分かは議論が必要。

<市販後の安全対策について>

- ワクチン未接種の比較対象もできるデータベースの確保は重要。また、保険診療データとの組み合わせは賛成だが、健保が入っていない。健保で副反応が生じるとデータベースから漏れてしまうのではないかと、ナショナルデータベースの構築に向けて取り組みを進めてもらいたい。
- 安全性に関する情報収集について、医療機関外の使用や医療リソースの逼迫が問題。緊急時には、MRが情報収集する平時の枠組みで対応することは難しいため、行政と産業界とで対応を考えていきたい。

第2回制度部会（2021年12月3日）でいただいた主なご意見

<健康被害の救済について>

- 健康被害の公的補償については、国が救済を行うことを各国においても定めている一方、一定程度の企業負担も定められている。製薬メーカーが全責任を負うのは難しいと思うので国が責任を負担する面もあっていいと思う一方で、企業の全責任を免除するような片務的な状況は良くないのではないかと思う。
- 透明性をもった「因果関係」「適正使用」「受忍事項」の判断と透明性を担保した公表のあり方が問われる。

<各種特例について>

- 承認時の業許可の特例については、業態をもっていない新規事業者等の状況に応じて流通までに適切な対応が必要。
- 迅速な市場出荷のための特例については理解するものの容器包装や添付文書等に必要最低限の情報は載せてほしい。

<市販後の流通について>

- 新たな制度による緊急時の承認においても、今回の新型コロナウイルスのワクチン等への対応も参考としながら、状況に応じて、国が流通等を管理するなど現場で混乱が起こらないようにしてもらいたい。

<国民への情報提供について>

- 国民に対して、緊急時の承認制度であることやその時点で提供できる安全性情報の提供が必要。

<その他>

- 緊急時の制度のみならず、平時の制度においても、リアルワールドデータのより一層の活用をお願いしたい。
- 今後の緊急時に備えて、医療機器を新たな制度の対象に入れることを明確化されたことには賛成。
- 現在、国内メーカーがワクチン等を開発しても、治験が難しい。承認までいけないという状況にある。行政としては、こうした面でのサポートも必要