

日付	出来事
	合体) による」 ・ 規格及び試験方法:「生物学的製剤基準(乾燥人血液凝固第IX因子複合体)による」
4月22日	<u>PPSB-ニチャク製造承認</u> 効能・効果を「 血液凝固第IX因子欠乏症 」として製造承認 ³⁸ 承認時の厚生省内資料「医薬品製造承認及び製造品目追加許可について」の「審査事項」欄には以下の記述あり。 「1.47年1月11日及び1月18日の血液製剤調査会において審議され「承認して差し支えない」結論が出された。ただし、申請書一部訂正のうえ。 2. 47年2月8日血液製剤特別部会に報告 3. なお、基準化については別途常任部会で審議され近く改正告示予定。ゆえに告示と同日付承認すべきである。」

このように、PPSB-ニチャクはその効能・効果を、『血友病 B』から、後天性疾患も含む『血液凝固第IX因子欠乏症』に変更したうえで製造承認された。ただし、日本製薬は承認申請書の差換願提出にあたり、後天性疾患への投与に関する臨床試験資料の追加提出は行っていない。

この点に関し、厚生労働省は以下のとおり、PPSB-ニチャク、および後述のコーナインの製造承認に関しては、臨床試験資料の添付を要しない場合に当たり得るとの見解を示している。

現行の薬事法施行規則 40 条第 2 項本文は「・・・当該申請に係る事項が医学薬学上公知であると認められる場合その他資料の添付を必要としない合理的理由がある場合においては、その資料を添付することを要しない。」と定め、承認申請において、「申請に係る事項が医学薬学上公知であると認められる場合」等の合理的理由がある場合においては資料を添付することを要しない場合があることを認めており、医薬品の有効性が「申請に係る事項であることは明らかであるから、有効性の判断において、医学的、薬学的知見が公知であると認められる場合には、同規定により、資料を添付することを要しないことになる。上記定めは、公知性の高い医学的、薬学的知見は、特段の添付資料がなくとも考慮要素となるという当然のことを明らかにしたものであって、承認当時においても当てはまる。第IX因子製剤は、その効果が医学的に明らかな補充療法のメカニズムに基づくものであり、その有効性は明らかであり、西ドイツ、スウェーデンなど 10 カ国で承認、販売され、広く臨床の現場で使用されていたこと、先天性疾患については臨床試験資料が提出されていたことからすれば、第IX因子製剤の有効性を認める医学的、薬学的知見の公知性は高く、臨床試験の資料の添付を要しない場合に当たり得るものと言えらる。

なお、以上の承認審査にかかる経緯の詳細（効能・効果の拡大を主導した主体、およびその理由）については、既存の公開資料に基づく調査では明らかになっていない。

³⁸ PPSB 承認及び一部変更承認文書 厚生省薬務局 1983 (S58) 年 8 月 26 日 p.136 (東京乙 B100)