

## 未承認薬の開発支援品目の選定について

### 1. 未承認薬等開発支援事業

従来の支援制度では処理できなかった未承認医薬品・適応外医薬品（以下、「未承認薬等」という）について、開発支援を行うべき品目を選定し、治験等の開発経費を補助する事業として、平成 21 年度補正予算事業「未承認薬等開発支援事業」（以下、「開発支援事業」という）が認められた（資料 1 参照）。

### 2. 開発支援候補品目の範囲

開発支援候補品目は内容で大別し、①未承認薬と②適応外薬に分類される。このうち開発支援事業による開発支援候補となりうる範囲は以下の通り。

#### ① 未承認薬

未承認薬使用問題検討会議において検討された 44 品目のうち、平成 21 年 4 月 1 日現在、開発者（社）が決まっていない 3 品目を含む、開発（治験）に着手されていない 14 品目。

#### ② 適応外薬

平成 21 年 6 月 18 日付けで厚生労働省の HP での募集に応じて、同年 8 月 17 日までに提出された適応外医薬品。

#### ① 未承認薬

- I 平成17年4月以降に欧米4か国（米・英・独・仏）のいずれかの国で承認されたもの
- II 過去5年間に学会・患者団体から要望があり、かつ、平成17年3月以前に欧米4カ国のいずれかの国で承認されたもの
- III 学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4カ国のいずれかの国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの

#### ② 適応外薬

要望の対象となる適応（効能・効果、用法・用量の両方又はいずれかが異なるもの）について、国内未承認の医薬品であって、欧米 4 か国（米・英・独・仏）のいずれかの国で承認された適応（欧米 4 か国のいずれかの国の公的医療保険制度の下で償還対象となる適応を含む）であって、医療上その必要性が高いもの

### 3. 開発支援品目の選定方法（案）

開発支援候補品目の中から、選定基準に基づいて有識者会議において選定する。未承認薬：別紙 1、適応外薬：今後検討。

以上

(別紙1)

## 未承認薬の開発支援品目の選定基準（案）

1. 開発支援候補品目の範囲

平成21年4月1日現在、未承認薬使用問題検討会で検討された44品目中、既が開発が終了したもの、及び既存の支援制度の下で開発が進行している品目を除く以下の14品目。

	医薬品名	対象疾病
1	ストレプトゾシン	睥島細胞癌
2	クロファラビン	小児急性リンパ性白血病
3	ペグアスパラガーゼ	Ｌ-アスパラギナーゼに過敏症の急性リンパ芽球性白血病
4	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症
5	アテムツズマブ	B細胞性慢性リンパ性白血病
6	タルク	悪性胸水
7	スチリペントール	乳児重症ミオクロニーてんかん
8	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群
9	メサドン	がん性疼痛
10	ヒトヘミン	ポリフィリン症
11	テトラベナジン	ハンチントン病
12	システアミン	シスチノーシス(シスチン蓄積症)
13	ベタイン	ホモシスチン尿症
14	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クル病

2. 開発支援品目の選定基準（案）

開発支援候補品目のうち、開発支援事業により、開発支援すべき品目のいずれに該当するかを以下の観点から評価を行う。

1) 開発者（社）が決まっている場合

現時点で開発者（社）が決まっている品目については、開発者（社）による支援の希望の調査結果に基づき、有識者会議において支援品目の妥当性（開発の必要性、開発必要経費と見込み収益のバランス等）を評価する。

2) 開発者（社）が決まっていない場合

平成21年4月1日現在、開発者（社）が未定の品目については、開発予定者の目処が立った段階で前項1)と同様の扱いとする。

3. 開発支援品目の申請パッケージの確認

有識者会議において、開発支援事業により開発支援すべき品目とされた品目については、開発者（社）の希望調査結果に基づき、選定に合わせて有識者会議において、薬事申請に想定されている申請パッケージの確認を行う。

以上

(参考)

## 未承認薬の開発支援の流れ (イメージ)

