

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における検討事項

未承認薬・適応外薬の開発促進に資するため、

- ・ 未承認薬・適応外薬の医療上の必要性を評価するとともに、
- ・ 公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認する 等を行う

(1) 医療上の必要性の評価

未承認薬・適応外薬について、下記基準への該当性から、医療上の必要性を評価する。

(判断基準)

「医療上その必要性が高い」とは次の(1)及び(2)の両方に該当するもの

(1) 適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

(2) 医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている

(2) 公知申請への該当性及び追加実施が必要な試験

医療上の必要性が高いと評価された未承認薬・適応外薬について、製薬企業がエビデンスに基づき作成する見解をもとに、

- 公知申請への該当性 又は
- 承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を評価する。

(3) その他

- 製薬企業が開発を行う医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬について、定期的の開発進捗状況を確認
- 未承認薬・適応外薬の開発助成の是非、支援額の上限について検討・確認 等