

未承認薬・適応外薬に係る開発の要望の公募について

欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医療上必要な医薬品や適応(未承認薬・適応外薬)に係る要望の公募を実施。募集期間は、昨年6月18日から、8月17日まで。

今後は、未承認薬・適応外薬の開発促進に資するため、医療上の必要性の評価、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の確認などを行う。

＜公募する要望の条件＞

○未承認薬

欧米4か国(米、英、独、仏)のいずれかの国で承認されていること

○適応外薬

欧米4か国のいずれかの国で承認(公的医療保険制度の適用を含む)されていること

「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 生命の重大な影響がある疾患(致死的な疾患)

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

※ 学会等にあつては、科学的エビデンスに基づく有効性及び安全性の評価等を添付して提出

【学会、患者団体等】
未承認薬・適応外薬に係る要望

→205の団体・個人から
651の要望が提出、重複をまとめると**374件***の要望(未承認薬89件、適応外薬等285件)

※昨年10月に承認済の2件を除く

【製薬業界】

要望に係る見解の提出
(昨年11月6日、本年2月19日)

(今後の検討の流れ)

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

未承認薬使用問題検討会議
・小児薬物療法検討会議を
発展的に改組

WG(分野ごと7つ設置)

医療上の必要性を評価

【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

・希少疾病用医薬品指定等により
開発支援

・公知申請への該当性の妥当性を
確認

・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

【審議会】

必要に応じて、評価報告書等の事前評価等