

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱

厚生労働省医政局研究開発振興課
医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

1. 目的

- 国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、
 - ① 欧米での承認実績や論文等で公表された優れた試験成績等のエビデンスに基づいて医療上の必要性を評価するとともに、
 - ② 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こと、
 - ③ また、これまでに得られている治験薬のエビデンスに基づき、既存の治療薬がない及び対象とする疾患の重篤性の観点から、人道的見地から実施される治験への該当性について確認すること、
 - ④ 特定の用途における医療上のニーズが著しく充足されていないこと及びその用途の使用価値を評価すること
- 等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促進するとともに、新薬の開発を阻害することなく、新たな革新的な新薬による治療機会の改善に資することを目的とする。

2. 検討事項

(1) 医療上の必要性

- ・ 生命に重大な影響がある疾患である等、適応疾患が重篤であること
- ・ 当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があること

のいずれにも該当するか否かを検討する。

(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、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。

(3) 人道的見地から実施される治験への制度該当性の確認

新たに開始の要望がある人道的見地から実施される治験について、その制度該当性基準である生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬であることへの該当性を確認する。

(4) 特定用途医薬品への該当性

開発が要望又は提案された特定用途医薬品の候補となる医薬品について、特定用途医薬品の指定基準への該当性を評価する。

(5) 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、定期的に関係進捗状況を確認する。

その他、必要な事項の検討を行う。

3. 構成員

- 検討会議は、薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成し、各疾患領域に対応する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回を目途に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、検討事項について具体的な調査を行うため、各疾患領域に係る専門家からなる専

門作業班会議を開催することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬・生活衛生局医薬品審査管理課が行い、医政局研究開発振興課及び保険局医療課がこれに協力する。

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

構 成 員

新	博次	医療法人社団葵会 A01 八王子病院 院長
五十嵐	隆	国立成育医療研究センター 理事長
伊藤	進	香川大学 名誉教授
岩田	敏	国立がん研究センター中央病院感染症部 感染症部長
大江	裕一郎	国立がん研究センター中央病院 副院長（教育担当）・呼吸器内科長
大久保	善朗	医療法人社団聖美会 多摩中央病院 理事長
大森	栄	信州大学 名誉教授
岡部	信彦	川崎市健康安全研究所 所長
小川	久雄	熊本大学 学長
落合	和徳	医療法人社団三成会 新百合ヶ丘総合病院 常勤顧問
合田	幸広	国立医薬品食品衛生研究所 所長
田村	直人	順天堂大学 膠原病内科 教授
平林	容子	国立医薬品食品衛生研究所安全性生物試験研究センター センター長
堀田	知光	国立がん研究センター 名誉総長
宮川	政昭	日本医師会 常任理事
村島	温子	国立成育医療研究センター 周産期・母性診療センター 主任副センター長
柳原	克紀	長崎大学大学院医歯薬学総合研究科病態解析・診断学（臨床検査医学） 教授
山口	拓洋	東北大学大学院医学系研究科 医学統計学分野 教授
山本	仁	聖マリアンナ医科大学小児科学 教授
横谷	進	福島県立医科大学ふくしま国際医療科学センター 特命教授 兼 甲状腺・内分泌センター長

（※ 他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。）

（第45回検討会議 参考人）

小早川	雅男	福島県立医科大学 医療研究推進センター 教授
米盛	勸	国立がん研究センター中央病院 乳腺・腫瘍内科 医長

専門作業班(WG)の設置について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

検討指示 ↓ ↑ 検討案の上程

専門作業班(WG)

7つの班で、品目毎の個別具体的検討



※ 小児WGは、分野横断的に対応

各WGに5～10名程度の専門家を配置

<検討事項>

- 医療上の必要性
- 公知申請への該当性
- 承認申請のために追加で実施が必要な追加試験 等

企業見解
文献報告
海外規制情報
等

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
 専門作業班(WG)メンバー

WG名	氏名	所属
代謝・その他WG	花岡 英紀	千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 部長・教授
	小早川 雅男	福島県立医科大学 医療研究推進センター 教授
	大門 貴志	兵庫医科大学 医療統計学 教授
	軒原 浩	徳島大学大学院 医歯薬学研究部 呼吸器・膠原病内科学分野 准教授
循環器WG	戸高 浩司	九州大学病院 ARO次世代医療センター 教授
	池田 正行	香川大学医学部附属病院 医療情報部 客員研究員
	海野 信也	北里大学病院長
	真田 昌爾	大阪市立大学 大学院医学研究科 医療統計学講座／特任教授
	大門 貴志	兵庫医科大学 医療統計学 教授
	又吉 哲太郎	琉球大学医学部附属病院総合臨床研修・教育センター キャリア形成支援センター 助教
	水上 愛弓	国立国際医療研究センター小児科 第二小児科医長
精神・神経WG	勝野 雅央	名古屋大学大学院医学系研究科脳神経病態制御学講座 神経内科学 教授
	渡邊 衡一郎	杏林大学医学部 精神神経科学教室 教授
	稲垣 中	青山学院大学 保健管理センター 副所長 兼 教育人間科学部 教授
	稲田 健	東京女子医科大学医学部精神医学 准教授
	尾方 克久	国立病院機構東埼玉病院 臨床研究部長
	小杉 志都子	慶應義塾大学医学部 麻酔学教室 講師
	住谷 昌彦	東京大学医学部附属病院 緩和ケア診療部 准教授
	大門 貴志	兵庫医科大学 医療統計学 教授
	高橋 浩	日本医科大学大学院眼科学分野 教授
	吉富 健志	福岡国際医療福祉大学 視能訓練学科 学科長
抗菌・抗炎症WG	金澤 實	河北医療財団 顧問、河北健診クリニック
	宮崎 義継	国立感染症研究所 真菌部 部長、ハンセン病研究センター センター長
	井上 彰	東北大学大学院医学系研究科 緩和医療学分野 教授
	越前 宏俊	明治薬科大学 学長
	川畑 仁人	聖マリアンナ医科大学 リウマチ・膠原病・アレルギー内科 教授
	小早川 雅男	福島県立医科大学 医療研究推進センター 教授
	齋藤 好信	日本医科大学附属病院 呼吸器内科 准教授
	手良向 聡	京都府立医科大学 大学院医学研究科 生物統計学 教授
	花岡 英紀	千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 部長・教授
	藤本 学	大阪大学大学院 医学系研究科 皮膚科学 教授
	松本 哲哉	国際医療福祉大学医学部 感染症学講座・主任教授
	横幕 能行	国立病院機構名古屋医療センター 感染症内科 エイズ総合診療部長
抗がんWG	米盛 勸	国立がん研究センター中央病院 乳腺・腫瘍内科 医長
	康 勝好	埼玉県立小児医療センター血液・腫瘍科 科長 兼 部長
	近藤 直樹	国立国際医療研究センター病院 薬剤部 副薬剤部長／臨床研究センター臨床研究推進部 治験管理室長
	柴田 大朗	国立がん研究センター 研究支援センター 生物統計部長
	長瀬 通隆	佐久総合病院 佐久医療センター 腫瘍内科 部長
	平瀬 主税	近畿大学医学部附属病院 臨床研究センター 講師
	生物WG	中川 雅生
土田 尚	国立病院機構本部 総合研究センター 治験研究部 部長	
荒戸 照世	北海道大学病院臨床研究開発センター 教授	
石川 洋一	明治薬科大学 薬学部 教授	
林 邦彦	群馬大学大学院保健学研究科 教授	
小児WG	中村 秀文	国立成育医療研究センター 研究開発監理部 開発企画主幹 知財産学連携室併任 臨床研究センター 研究推進部門 開発薬事ユニット長 併任 多施設連携部門 国際連携ユニット長 併任
	中川 雅生	京都きづ川病院 病院長
	石川 洋一	明治薬科大学 薬学部 教授
	小村 誠	国立成育医療研究センター病院 薬剤部 副薬剤部長
	土田 尚	国立病院機構本部 総合研究センター 治験研究部 部長
	林 邦彦	群馬大学大学院保健学研究科 教授

※上記は、各WGのコアとなるメンバーであり、必要に応じて、随時、追加して協力依頼を行うものとする。

医療上の必要性の評価の基準について

医療上の必要性の評価の基準について、下記のとおり分類している。

(1) 適応疾病の重篤性

- 重篤性あり {
- 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
 - エ 該当しない

(2) 医療上の有用性

- 有用性あり {
- ア 既存の療法が国内にない
 - イ 欧米等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 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる
 - エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合には、もっとも適切と判断されるものにあてはめることとした。

※2 (1)(2)の両方について、ア、イ又はウと評価された場合には、「医療上の必要性の基準に該当」とし、国が企業に開発要請又は開発企業の募集を行う。

※3 一定の要件をみたまず国内外未承認薬については、(2)の代わりに以下のア～エで評価するものとする。

(2) 医療上の有用性

- 有用性あり {
- ア 既存の療法が国内にない
 - イ 国内外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 —
 - エ 該当しない

開発要請先企業の指定の考え方について

＜共通ルール＞

- 既の開発を行っている企業があれば、当該企業の開発を見守ることとして、要望は処理済み or 対象外とする。
- 開発要請する企業が存在しない場合は、開発企業を公募する。
- 開発企業を公募している品目について、新たに要請先となり得る企業を確認された場合、その時点で開発企業が決まっていない場合には、当該企業に対して開発要請する。

1. 未承認薬

要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
該当する企業が複数存在する場合、要請先の優先順位は①＝②とする

- ① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
- ② わが国での開発権を有することが確認された企業^(注1)

(注1)「わが国での開発権を有することが確認された企業」とは、日本法人企業を想定しているが、要望に対する開発権を保有する企業が海外企業であって、その日本法人企業が存在する場合、当該日本法人企業も含む。

2. 適応外薬

要望された品目と既承認薬の関係を（１）～（３）に分類
既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、１＞２、ただし①＝②）
に該当するものから優先的に要請

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合^{（注２）}

要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請

- ① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
- ② わが国での開発権を有することが確認された企業

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合

1. 要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請

- ① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
- ② わが国での開発権を有することが確認された企業

2. 1. 以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合

1. 要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請

- ① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
- ② わが国での開発権を有することが確認された企業

2. 1. 以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する医薬品が日本で承認されており、当該医薬品について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（注２）要望された品目が、既承認薬の規格違いの製剤開発である場合、企業側の負担も考慮し、効能・効果の追加等、臨床試験が必要となる品目よりも優先的に要請する。

3. 未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

要望された品目の投与経路、効能・効果、用法・用量、剤形等は国内外未承認であることを前提とし、要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬（国内外は問わない）との関係を（１）～（３）に分類

既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、 $1 > 2$ 、ただし①＝②）に該当するものから優先的に適用

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合

1. 要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
 - ① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
 - ② わが国での開発権を有することが確認された企業
2. 1. 以外の場合であって、要望された品目と同じ投与経路及び同じ剤形の製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合

1. 要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）
 - ① 要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
 - ② わが国での開発権を有することが確認された企業
2. 1. 以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合

1. 要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対す

る検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請)

- ① 要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
- ② わが国での開発権を有することが確認された企業

2. 1. 以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請)

人道的見地から実施される治験の制度該当性基準について

人道的見地から実施される治験の制度該当性について、確認要望があった場合には、下記のとおり分類する。

<制度該当性基準>

生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬であること。

(1) 適応疾病の重篤性（承認まで待てない）

<u>重篤・緊急性あり</u>	ア	生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
	イ	—
	ウ	—
	エ	該当しない

(2) 医療上の有用性（既存の有効な治療法がない）

<u>有用性・必要性あり</u>	ア	既存の治療法に有効なものが存在しない
	イ	—
	ウ	—
	エ	該当しない

(1)(2)の両方について、アと評価された場合には、「人道的見地から実施される治験の制度該当性基準に該当」とし、厚生労働省は、主たる治験の治験実施者（いわゆる医師主導治験にあつては当該治験を自ら実施する者と当該治験の治験薬を提供している者）に対して、人道的見地から実施される治験の実施の検討を要請する。

<留意点>

注1) 人道的見地から実施される治験は、以下の理由等により、実施できない場合も想定され得る。

- ① 既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない【制度該当性事由】
- ② 治験薬の供給に余裕がないこと等【絶対事由】
- ③ 主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること【時期的事由】
- ④ 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められないこと等【個別事由】

注2) 本検討会議においては、制度該当性事由（制度該当性事由を含む複数の事由の場合も含む。）により人道的見地から実施される治験の実施ができないと治験実施者から回答をうけた主治医及び患者が、第三者の観点から、制度該当性について確認することを要望する場合に、該当性の評価を実施する。

特定用途医薬品への該当性の基準について

特定用途医薬品に係る開発の要望があった場合には、要望された医薬品を下記のとおり分類する。

1. 小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

(1) 対象とする用途に関して開発を行う必要があること

- ア 用法又は用量の変更
- イ 剤形の追加
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの(既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む)
- イ 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること

- ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの
- ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

2. 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

2-1. 薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤の場合

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 効能又は効果の変更
- イ 用法又は用量の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること

- ① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する（又は有することとなる可能性がある）病原体を対象とするものであること
- ② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと

- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること

- ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと
- ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

2-2. 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 用法及び用量の変更
- イ 効能又は効果の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること
- イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

- ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること
 - ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと
 - ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合、最も適切と判断されるものに当てはめることとする。

※2 特定用途医薬品への該当性の評価結果は、要望された医薬品の製造販売業者へ通知される。

執行部に所属している学会について

令和3年7月12日現在

氏名	学会
新 博次	なし
五十嵐 隆	日本こども環境学会
伊藤 進	なし
岩田 敏	日本臨床腸内微生物学会、日本マイコプラズマ学会、 日本臨床寄生虫学会、日本感染症医薬品協会、日本ワクチンアクション、TDM品質管理機構
大江 裕一郎	日本臨床腫瘍学会、日本肺癌学会
大久保 善朗	なし
大森 栄	日本医療薬学会、HAB研究機構
岡部 信彦	日本渡航医学会、日本ウイルス学会
小川 久雄	なし
落合 和徳	アジアオセアニア産婦人科学会、アジア婦人科腫瘍研究機構、 日本遺伝性乳癌卵巣癌総合診療制度機構、日本臨床医学リスクマネジメント学会
合田 幸広	日本食品化学学会、レギュラトリーサイエンス学会
田村 直人	日本脊椎関節炎学会、日本リウマチ学会
平林 容子	日本食品衛生学会、日本毒性学会
堀田 知光	アジア細胞療法学会
宮川 政昭	
村島 温子	日本母性内科学会
柳原 克紀	日本環境感染学会、日本臨床微生物学会、日本DDS学会、日本嫌気性菌感染症学会、 日本臨床検査医学会
山口 拓洋	日本臨床試験学会、日本薬剤疫学会、日本臨床腫瘍薬学会
山本 仁	なし
横谷 進	日本成長学会