

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律（令和4年法律第47号）の概要

参考資料 1-1

改正の趣旨

緊急時において、安全性の確認を前提に、医薬品等の有効性が推定されたときに、条件や期限付の承認を与える迅速な薬事承認の仕組みを整備するとともに、オンライン資格確認を基盤とした電子処方箋の仕組みを創設し、その利活用を促すため、所要の措置を講ずる。

改正の概要

1. 緊急時の薬事承認【医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律】

緊急時の迅速な薬事承認を可能とするため、以下の仕組みを新たに整備する。

① 適用対象となる医薬品等の条件

- 国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止するために緊急に使用されることが必要な医薬品等について、他に代替手段が存在しない場合とする。

② 運用の基準

- 安全性の確認を前提に、医薬品等の有効性が推定されたときに、薬事承認を与えることができることとする。

③ 承認の条件・期限

- 有効性が推定された段階で承認を行うことから、承認に当たっては、当該承認の対象となる医薬品等の適正な使用の確保のために必要な条件及び短期間の期限を付すこととする。

④ 迅速化のための特例措置

- 承認審査の迅速化のため、GMP調査、国家検定、容器包装等について特例を措置する。

2. 電子処方箋の仕組みの創設【医師法、歯科医師法、地域における医療及び介護の総合的な確保の促進に関する法律等】

- 医師等が電子処方箋を交付することができるようにするとともに、電子処方箋の記録、管理業務等を社会保険診療報酬支払基金等の業務に加え、当該管理業務等に係る費用負担や厚生労働省の監督規定を整備する。

施行期日

1については、公布の日（令和4年5月20日）。2については、令和5年2月1日までの間において政令で定める日。

骨太方針等の関連記載（緊急時の薬事承認）

ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）

さらに、発動の要件、運用の基準、補償、免責など緊急事態における特別に使用を認めるための制度の在り方¹⁰について、今後、新型コロナウイルスの感染拡大の収拾にめどが立ち、政府全体における緊急事態の対処にかかる議論が行われる中で、本年中に方向性について結論を出す。

10 米国の緊急使用許可制度（EUA：Emergency Use Authorization）において、今般の新型コロナワクチンに関しては、緊急事態であると宣言した上で、大規模な検証的臨床試験結果を踏まえ、EUAを発出している。

経済財政運営と改革の基本方針2021（令和3年6月18日閣議決定）

- ・ 感染症を巡る状況を踏まえつつ、個々の医療機関の経営リスクに配慮しながら、病床や医療人材の確保に関する協力を国や自治体が迅速に要請・指示できるようにするための仕組みや、平時からの開発支援を含め治療薬やワクチンについて安全性や有効性を適切に評価しつつ、より早期の実用化を可能とするための仕組み、ワクチンの接種体制の確保など、感染症有事に備える取組について、より実効性のある対策を講じることができるよう法的措置を速やかに検討する。あわせて、行政の体制強化に取り組む。
- ・ 緊急時の薬事承認の在り方について検討する。

成長戦略実行計画、成長戦略フォローアップ（令和3年6月18日閣議決定）

（成長戦略実行計画）

- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、ワクチンを国内で開発・生産し、速やかな供給ができる研究開発・生産体制を構築するため、世界トップレベルの研究開発拠点の形成、戦略性を持った研究費のファンディング機能の強化、治験環境の整備・拡充、薬事承認プロセス迅速化の体制・基盤整備、ワクチン製造拠点の整備、ワクチン開発・製造産業の育成・振興等を進める。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

（成長戦略フォローアップ）

- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、政府が一体となって必要な体制を再構築し、長期継続的に取り組む国家戦略として以下の取組を行う。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。
 - ― また、薬事承認プロセスの迅速化のための体制・基盤整備として、新たな感染症に備えて、あらかじめ臨床試験の枠組みに関する手順を作成するとともに、緊急事態に特別に使用を認めるための制度の在り方を政府全体で検討し、今後、新型コロナウイルスの感染拡大の収拾に目途が立ち、政府全体における緊急事態の対処にかかる議論が行われる中で、2021年中に方向性について結論を得る。

緊急時の薬事承認の在り方等に関するとりまとめ（概要）

- 骨太の方針2021等を踏まえ、令和3年11月より厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において感染症等に対する我が国の危機管理強化に向けた緊急時の薬事承認の在り方について議論を開始し、同年12月に「緊急時の薬事承認制度」の概要をとりまとめた。当該とりまとめを踏まえ、**所要の法整備を早急に行っていく。**

緊急時の薬事承認制度の概要

1) 緊急承認制度の対象

- ワクチンや治療薬だけでなく、医薬品全般、医療機器及び再生医療等製品等も制度の対象

2) 発動の要件

- **国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止**するために緊急に使用されることが必要な医薬品等であり、**他に代替手段が存在しないこと**
- 緊急時の消失等、**状況の変化**があれば、有効性・安全性のバランスを継続的に確認し、必要があれば、**承認の期限前**であっても承認内容の変更や取り消し等を実施可能

3) 運用の基準

- **安全性は通常の薬事承認と同等の水準で確認**することを前提
- **有効性は**、例えば、緊急時に暇がなく、検証的臨床試験が完了していない場合でも、**入手可能な臨床試験の試験成績から、有効性が推定**されれば、承認可能
- 承認に当たっては、**薬事・食品衛生審議会**から意見を聴取（軽微な変更を除く。）

4) 承認の期限・条件

- 緊急時であることを踏まえ、承認に当たって付与する**期限は短期間**としつつ、**期限内に改めて有効性等の確認**を求める。必要に応じて**期限の延長**が可能 ※過去の大規模感染症の収束は概ね2年
- **必要な条件**を付与（有効性等に関するデータの収集、保健衛生上必要な措置等）**有効性等が確認されなければ、承認を取り消し**

5) 市販後の安全対策

- 緊急承認された医薬品医療機器等の特性に応じたリスク管理計画等において、安全性監視計画等を設定し、リスク最小化計画を設定
- 高頻度な審議会の開催等により、**専門家の評価**も踏まえつつ、安全対策を実施
- これまでの個別事例の因果関係評価に基づいた安全対策に加え、**リアルワールドデータの活用**や、集積する事例を統計的に解析した上での安全対策の実施

6) 健康被害の救済

- 安全性は**通常の薬事承認と同等の水準で確認**することを前提としているため、**医薬品副作用被害救済制度等の対象**とし、健康被害を救済
- 健康被害が発生した場合には、迅速な健康被害の救済に向け、**所要の手続を速やかに進める必要**

7) 迅速化のための特例措置

- **GMP調査、国家検定、容器包装等を承認の要件とはしないものの**、必要に応じて、緊急承認審査中又はその承認後であっても、これらの調査を実施

8) その他

- 緊急時の生産体制の整備や、新型コロナワクチンの国主導で流通を管理していたことを踏まえ、必要な医薬品等が迅速に国民に行き渡るよう、状況に応じた適切な対応が重要

薬事承認制度の比較

	通常承認	医薬品の性質に応じた平時の承認		緊急時の迅速な承認	
		条件付き承認	再生医療等製品 条件・期限付き承認	特例承認	緊急承認
対象	全ての医薬品等	希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるもの	均質でない再生医療等製品	外国（日本の薬事制度と同等の水準の制度を有する国）で流通している医薬品等	全ての医薬品等
制度趣旨	科学的なエビデンスに基づき、医薬品等の有効性・安全性が確認された医薬品等に承認を与えるもの。	医療上特にその必要性が高い医薬品等だが、有効性・安全性を検証するための十分な人数を対象とする臨床試験の実施が困難であるものに承認を与えるもの。	再生医療等製品の特性（製品の品質や薬理作用物の発現量が不均一）に鑑み、少数例による安全性が確認された上で有効性が推定されるものに承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、外国において販売等が認められている医薬品等に承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、安全性が確認された上で有効性が推定される医薬品等に承認を与えるもの。
有効性・安全性	有効性 確認 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認
各種特例	—	第Ⅲ相試験無しで企業からの申請が可能	—	GMP調査 国家検定 容器包装 等	GMP調査 国家検定 容器包装 等

※ 米国においては、緊急時の制度として、緊急使用許可（EUA = Emergency Use Authorization）が存在。

新たな制度による迅速化事例のイメージ

- 緊急承認制度の効果は、個々の医薬品等の性質等に応じて異なる。想定される典型的な事例としては、以下のとおり。

<海外で開発されたワクチン>

ケース	現行（確認）	新たな制度（推定）
<ul style="list-style-type: none"> 海外で大規模治験（第Ⅲ相）を実施 国内治験が未実施 	<p>×</p> <ul style="list-style-type: none"> 人種差・地域差等がないことの確認のために国内治験が必要 	<p>○</p> <ul style="list-style-type: none"> 顕著な有効性があり、人種差・地域差の懸念があっても高いベネフィットがあると推定できる場合、承認可能 例：日本以外の複数の国、人種において著しい有効性が確認され、日本人での有効性について特段の懸念材料がない場合に、承認の判断を行うことができる可能性 例：抗体価が著しく上昇すること等が確認でき、それまでの限られた知見ではあるが、その水準の抗体価であれば、発症予防効果が期待できる場合に、承認の判断を行うことができる可能性

※米国の緊急使用許可制度（EUA）でも、大規模な治験（第Ⅲ相）を実施。

※ファイザー社の新型コロナワクチンについて、海外データのみで評価を行った場合、承認の時期は2ヶ月程度早くなった可能性。

<国内で開発された治療薬>

ケース	現行（確認）	新たな制度（推定）
<ul style="list-style-type: none"> 比較的小規模な治験（第Ⅰ相＋第Ⅱ相）で一定の有効性が期待される結果 大規模な検証試験（第Ⅲ相）は未実施 	<p>×</p> <ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相までで一定の有効性が期待される結果が出ているが、大規模な試験での有効性を確認する必要があることから、承認判断には第Ⅲ相が必要 	<p>○</p> <ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相までで一定の有効性があり、ベネフィットがあると推定できる場合は、<u>大規模な試験（第Ⅲ相）なしで承認の判断が可能</u>

※条件付き承認制度では、第Ⅱ相治験までで十分な結果が得られ、有効性が確認されれば、第Ⅲ相治験を省略可能。

ただし、そのほかの承認時に必要なGMP調査等を省略できず、結果的に承認までに時間がかかる可能性が高い。

緊急承認制度の適用対象となる医薬品について（1）

制度の対象となる医薬品

緊急承認制度は、国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病の治療のため、①緊急に使用する必要性があり、②他の医薬品での代替が困難な医薬品を制度の対象とした上で、個々の製品の承認については、安全性の確認を前提として、有効性が推定された時に薬事承認を行う仕組み。

①緊急に使用する必要性

- 国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止するため緊急に使用されることが必要な医薬品であること
 - ⇒ 感染者の急速な増加の確認、感染経路の特定が困難であることや医療提供体制のひっ迫状況等を踏まえ、国民生活及び国民経済に及ぼす甚大な影響を回避するために当該医薬品を使用する必要があるか勘案
 - ⇒ 同様の条件が設けられている特例承認制度では、これまで、「新型インフルエンザ」や「新型コロナウイルス感染症」に関する医薬品を制度の対象としており、緊急承認制度も同等の疾病のまん延状況を想定

②代替の困難性

- 他に有効な医薬品が承認されていない場合に加えて、対象となる感染症の治療に用いられる医薬品がすでに承認されている場合であっても、以下の状況を勘案し、承認可能
 - ・ 承認されている医薬品のみでは、治療法として十分ではなく、複数の治療選択肢が臨床的に必要とされている
 - ・ 国民への医薬品の安定的供給という観点から、更なる医薬品が必要とされている
 - ・ 承認されている医薬品と比較し、極めて高い安全性や有効性が見込まれる
- ※ 例えば、国産（国内製造又は国内企業開発）の医薬品の承認申請があった場合は、供給の観点が考慮されることも想定

手続

- 制度の対象となる医薬品について、健康被害の拡大を防止する必要がある疾病を治療する医薬品を政令で指定
- 個々の製品については、通常の薬事承認のプロセスを経て、厚生労働大臣が承認

緊急承認制度の適用対象となる医薬品について（２）

	緊急承認	特例承認
法律	<p>第十四条の二の二 第十四条の承認の申請者が製造販売をしようとする物が、次の各号のいずれにも該当する医薬品として政令で定めるものである場合には、厚生労働大臣は、同条第二項（第三号八に係る部分を除く。）、第六項、第七項及び第十一項の規定にかかわらず、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、その適正な使用の確保のために必要な条件及び二年を超えない範囲内の期限を付してその品目に係る同条の承認を与えることができる。</p> <p>一 国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止するため緊急に使用されることが必要な医薬品であり、かつ、当該医薬品の使用以外に適当な方法がないこと。</p> <p>二 申請に係る効能又は効果を有すると推定されるものであること。</p> <p>三 申請に係る効能又は効果に比して著しく有害な作用を有することにより医薬品として使用価値がないと推定されるものでないこと。</p>	<p>第十四条の三 第十四条の承認の申請者が製造販売をしようとする物が、次の各号のいずれにも該当する医薬品として政令で定めるものである場合には、厚生労働大臣は、同条第二項、第六項、第七項及び第十一項の規定にかかわらず、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、その品目に係る同条の承認を与えることができる。</p> <p>一 国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止するため緊急に使用されることが必要な医薬品であり、かつ、当該医薬品の使用以外に適当な方法がないこと。</p> <p>二 その用途に関し、外国（医薬品の品質、有効性及び安全性を確保する上で我が国と同等の水準にあると認められる医薬品の製造販売の承認の制度又はこれに相当する制度を有している国として政令で定めるものに限る。）において、販売し、授与し、又は販売若しくは授与の目的で貯蔵し、若しくは陳列することが認められている医薬品であること。</p>
政令	<p>第二十六条の七 法第十四条の二の二第一項（法第十九条の二第五項において準用する場合を含む。）の政令で定める医薬品は、新型コロナウイルス感染症（病原体がベータコロナウイルス属のコロナウイルス（令和二年一月に、中華人民共和国から世界保健機関に対して、人に伝染する能力を有することが新たに報告されたものに限る。）であるものに限る。第二十八条第一項において同じ。）に係る医薬品であつて、法第十四条の二の二第一項第二号及び第三号のいずれにも該当するものとする。</p>	<p>第二十八条 法第十四条の三第一項（法第二十条第一項において準用する場合を含む。以下この条において同じ。）の政令で定める医薬品は、新型コロナウイルス感染症（病原体がベータコロナウイルス属のコロナウイルス（令和二年一月に、中華人民共和国から世界保健機関に対して、人に伝染する能力を有することが新たに報告されたものに限る。）であるものに限る。）に係る医薬品とする。</p>

緊急承認制度における承認審査の考え方（ガイドライン）について（概要）

- 緊急承認制度における承認審査の考え方については、主に以下のような内容をガイドラインとして課長通知において規定。

（「緊急承認制度における承認審査の考え方について」（令和4年5月20日付け薬生薬審発0520 第1号））

有効性・安全性の評価

- ・ 緊急時におけるリスクとベネフィットのバランスを考慮し、有効性を推定するために必要な臨床試験成績に基づき、推定される有効性に比して、安全性が許容可能であることを確認する必要がある。
- ・ 感染症の治療薬とワクチンについては具体的には次のとおり。

治療薬

- ・ 探索的な臨床試験において、臨床的意義の認められた評価指標により一定の有効性が示されている場合が想定。
- ・ 探索的な臨床試験としては、通常は、後期第Ⅱ相試験程度の臨床試験が該当。
- ・ 外来因子であるウイルスをターゲットとする抗体医薬品などの場合は、日本人成績は必要でない場合がある。

ワクチン

- ・ 代替指標の臨床的意義が明らかになっていない場合は、発症予防効果を評価指標とした検証的な第Ⅲ相臨床試験が原則。ただし、第Ⅲ相臨床試験の中間解析等の段階で有効性を推定できる場合は想定される。
※ なお、今後の技術革新等を否定するものではない。
- ・ 海外の検証的な大規模臨床試験で顕著な成績が得られている場合には、日本国内での臨床試験成績は必要ではない場合がある。

適用の要件

緊急性の要件

- ・ 最も想定されるのは感染症のアウトブレイク
- ・ 原子力事故、放射能汚染、バイオテロ等も想定

代替性の要件

- ・ ①既承認薬がない、②既承認薬はあるが複数の治療選択肢が必要、③供給が不十分、④極めて高い有効性・安全性が見込まれること、のいずれかに該当すること。
- ・ ②の例としては、作用機序が異なる場合や、禁忌の対象が異なる場合等が含まれる。

期限内の本承認申請の際の取扱い

- ・ 有効性確認のため、原則として検証的な第Ⅲ相臨床試験が必要。
- ・ 感染者が急速に減少するなど、検証的な第Ⅲ相臨床試験の完遂が困難であると合理的と考えられる場合その他の場合には、リアルワールドデータを活用して有効性の確認を行う方法を検討できる場合がある。

その他

- ・ 申請資料、猶予資料の取扱い、GCP調査・GMP調査の取扱い、期限、機構における審査の取扱いについて規定