参考資料　1

「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
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）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、定期的に開発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。

参考資料　2

「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	南八王子病院　副院長
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
岡部	信彦	川崎市健康安全研究所　所長
小国	弘量	東京女子医科大学小児科　教授
落合	和徳	東京慈恵会医科大学　特命教授
北田	光一	千葉大学　名誉教授
合田	幸広	国立医薬品食品衛生研究所　薬品部部長
後藤	元	複十字病院　病院長
佐藤	俊哉	京都大学大学院医学研究科社会健康医学系専攻医療統計学　教授
鈴木	邦彦	日本医師会　常任理事
友池	仁暢	日本心臓血圧研究振興会付属榊原記念病院　顧問
西川	秋佳	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
平安	良雄	横浜市立大学大学院医学研究科精神医学部門　主任教授
藤原	康弘	国立がん研究センター　企画戦略局長
堀田	知光	国立がん研究センター　名誉総長
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
山本	一彦	理化学研究所統合生命医科学研究センター　副センター長
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

（※　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33回検討会議　参考人）

金澤	實	医療法人熊谷総合病院　副理事長
中川	雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院長
中村	秀文	国立成育医療研究センター　臨床研究開発センター　開発企画部　開発企画主幹
花岡	英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長　兼　未来医療教育研究センター　センター長
山本	晴子	国立循環器病研究センター　臨床試験推進センター　センター長

参考資料 3-1

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

企業見解
文献報告
海外規制情報 等

専門作業班（WG）

7つの班で、品目毎の個別具体的検討

- 代謝・その他WG
- 循環器WG
- 精神・神経WG
- 抗菌・抗炎症WG
- 抗がんWG
- 生物WG
- 小児WG

※ 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

参考資料 3-2

「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　兼　未来医療教育研究センター　センター長
	小早川　雅男	国立国際医療研究センター病院　第三消化器内科　医長
	川上　由育	広島大学　総合医療研究推進センター　准教授
	軒原　浩	徳島大学病院臨床試験管理センター　特任講師
	大門　貴志	兵庫医科大学　医療統計学　教授
循環器WG	山本　晴子	国立循環器病研究センター　臨床試験推進センター　センター長
	戸高　浩司	九州大学　ARO次世代医療センター　准教授
	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
	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病院小児科　第二新生児科医長
	海野 信也	北里大学病院長
	齊藤　英和	国立成育医療研究センター　周産期・母性診療センター　副周産期・母性診療センター長
	大門　貴志	兵庫医科大学　医療統計学　教授
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　国際政治経済学部　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
	塩川　浩輝	九州大学病院　麻酔科蘇生科助教
	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
抗菌・抗炎症WG	金澤　實	医療法人熊谷総合病院　副理事長
	宮崎　義継	国立感染症研究所　真菌部　部長
	竹中　圭	博慈会記念総合病院　第一内科部長
	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
	小早川　雅男	国立国際医療研究センター病院　第三消化器内科　医長
	越前　宏俊	明治薬科大学薬学部　薬物治療学教室　教授
	花岡　英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長　兼　未来医療教育研究センター　センター長
	齋藤　好信	日本医科大学附属病院　呼吸器内科　講師
	味澤　篤	東京都保健医療公社豊島病院　副院長
	松本　哲哉	東京医科大学医学部　微生物学講座　主任教授
	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
抗がんWG	安藤　正志	愛知県がんセンター中央病院　薬物療法部　医長　兼　治験支援室　室長
	軒原　浩	徳島大学病院臨床試験管理センター　特任講師
	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
	山中　康弘	横浜市立市民病院　腫瘍内科　腫瘍内科担当部長
	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
	飯田 真介	名古屋市立大学大学院　医学研究科　血液・腫瘍内科学　教授
	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
生物WG	中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院長
	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
	荒戸　照世	北海道大学病院臨床研究開発センター　教授
	齋藤　昭彦	新潟大学医学部　小児科学教室　教授
	石川　洋一	国立成育医療研究センター　薬剤部長
	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　臨床研究開発センター　開発企画部　開発企画主幹
	中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院長
	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
	齋藤　昭彦	新潟大学医学部　小児科学教室　教授
	石川　洋一	国立成育医療研究センター　薬剤部長
	小村　誠	国立成育医療研究センター　薬剤部　主任
	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。

参考資料　4-1

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

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　一定の要件をみたす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

参考資料　4-2

開発要請先企業の指定の考え方について

＜共通ルール＞

- 既に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が確認された場合、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）

参考資料　５

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）

重篤・緊急性あり
- ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- 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）

有用性・必要性あり
- 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っ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。

参考資料　6

執行部に所属している学会について

平成29年12月22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、日本保育協会、アジア小児医学研究会
伊藤　進	なし
岩田　敏	日本感染症学会、日本臨床腸内微生物学会、日本臨床微生物学会、日本化学療法学会、 日本マイコプラズマ学会、日本環境感染学会、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
岡部　信彦	日本ワクチン学会、日本渡航医学会、日本ウイルス学会
小国　弘量	小児神経学会、日本てんかん学会
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、日本産婦人科乳腺医学会
北田　光一	なし
合田　幸広	日本食品化学学会
後藤　元	日本マイコプラズマ学会
佐藤　俊哉	日本計量生物学会
鈴木　邦彦	なし
友池　仁暢	なし
西川　秋佳	なし
平安　良雄	日本生物学的精神医学会、日本自殺予防学会
藤原　康弘	日本臨床腫瘍学会
堀田　知光	なし
村島　温子	日本リウマチ学会、日本妊娠高血圧学会、日本母性内科学会
山本　一彦	日本リウマチ学会、日本臨床リウマチ学会、日本臨床分子医学会、日本炎症・再生医学会、 日本インターフェロン・サイトカイン学会、アジア太平洋リウマチ学会、日本免疫学会
横谷　進	日本成長学会