

# 未承認薬・適応外薬解消に向けての検討について

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（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。

未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。募集期間は第Ⅰ回は2009年6月18日から8月17日まで、第Ⅱ回は2011年8月2日から9月30日まで。第Ⅲ回の第一期募集は2013年8月1日から12月27日で一旦締め切り、第二期募集は2014年6月末に一旦締め切った。

## ＜公募した要望の要件（第Ⅱ及びⅢ回）＞

### ○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されていること。

### ○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されていること。

次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

(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

## 【学会、患者団体等】 未承認薬・適応外薬に係る要望

→ 重複をまとめると

- ・第Ⅰ回要望は374件
- ・第Ⅱ回要望は290件
- ・第Ⅲ回要望は80件※

※ 要望件数は第一期募集分

## 【関連学会、製薬企業】 要望に係る見解の提出

## 医療上の必要性を評価

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

WG（分野ごと設置）

2014年6月末まで

企業に開発要請  
第Ⅰ回要望は165件  
第Ⅱ回要望は83件  
第Ⅲ回要望は0件

開発企業を募集  
第Ⅰ回要望は20件  
第Ⅱ回要望は17件  
第Ⅲ回要望は0件

## 【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
- ・承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

# 第Ⅲ回要望の考え方

学会、患者団体、個人

2013年8月1日から継続的に募集を開始しており、定期的にとりまとめる予定

要望

【優先的に取り扱う対象】

- 未承認薬：2009年4月以降に、FDA及びEMAで承認され、国内承認のない品目のうち、医療上の必要性の高いもの
- 適応外薬：医師主導治験や先進医療B（ただし、ICH-GCPを準拠できたものに限る。）等が実施され、医療上の必要性が高いもの

- 要望の収集、重複整理
- 未承認薬／適応外薬の整理
- 優先的に取り扱う対象の品目の整理

要望品目リスト作成

優先的に取り扱う対象の品目から、  
医療上の必要性の評価を実施

各企業に対して開発要請等実施

治験の着手

承認申請・  
一変申請

公知申請の妥当性の評価

公知申請