

「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
医薬食品局審査管理課

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、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、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等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進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) 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食品局審査管理課が行い、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

五十嵐 隆	独立行政法人国立成育医療研究センター 総長
伊藤 進	香川大学 名誉教授
岩田 敏	慶應義塾大学医学部感染制御センター 教授
岡部 信彦	川崎市衛生研究所 所長
小川 聡	国際医療福祉大学三田病院 病院長
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産婦人科 教授
北田 光一	日本病院薬剤師会 会長
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
鈴木 邦彦	日本医師会 常任理事
友池 仁暢	財団法人日本心臓血圧研究振興会附属榊原記念病院 院長
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
樋口 輝彦	独立行政法人国立精神・神経医療研究センター 総長 理事長
藤原 康弘	独立行政法人国立がん研究センター 企画戦略局長
堀田 知光	独立行政法人国立がん研究センター 理事長
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 妊娠と薬情報センター センター長
山本 一彦	東京大学医学部 アレルギーリウマチ内科 教授
横谷 進	独立行政法人国立成育医療研究センター病院 副院長 生体防御系内科部長
吉村 功	東京理科大学 名誉教授

(※ 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24回検討会議 参考人)

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
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 副センター長
山中 康弘	栃木県立がんセンター 医長
山本 晴子	独立行政法人国立循環器病研究センター 先進医療・治験推進部長

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

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

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 兼 未来医療教育研究センター 副センター長
	小早川 雅男	国立国際医療研究センター病院 消化器科第三消化器内科 医長
	川上 由育	広島大学 総合医療研究推進センター 講師
	軒原 浩	国立がん研究センター中央病院 医長
	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 先進医療・治験推進部 部長
	戸高 浩司	九州大学病院 ARO次世代医療センター 准教授
	池田 正行	高松少年鑑別所 医務課長 兼 香川大学医学部附属病院 医療情報部 非常勤講師
	又吉 哲太郎	琉球大学医学部附属病院 医師キャリア支援センター 助教
	水上 愛弓	医療法人財団順和会山王病院 小児科 医長
	海野 信也	北里大学医学部 産婦人科学教室 教授
	齊藤 英和	国立成育医療研究センター 周産期・母性医療センター 副センター長 兼 不妊診療科 医長
	中込 忠好	帝京大学医学部 客員教授
	大門 貴志	兵庫医科大学医学部 数学教室 准教授
精神・神経WG	勝野 雅央	名古屋大学大学院医学系研究科 神経内科 准教授
	渡邊 衡一郎	杏林大学医学部 精神神経科学教室 准教授
	稲垣 衛	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
	笠井 清登	東京大学医学部 精神神経科 教授
	小杉 志都子	慶應義塾大学医学部 麻酔学教室 助教
	塩川 浩輝	九州大学大学院医学研究院 麻酔蘇生学分野 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	埼玉医科大学 呼吸器病センター呼吸器内科 教授
	宮崎 義継	国立感染症研究所 真菌部 部長
	中 圭	博慈会記念総合病院 第一内科 部長
	井上 彰	東北大学病院 臨床試験推進センター 特任准教授
	小早川 雅男	国立国際医療研究センター病院 消化器科第三消化器内科 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 副センター長
	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	国立がん研究センター中央病院 医長
	近藤 直樹	国立病院機構東京医療センター 臨床研究センター政策医療企画研究部 臨床研究・治験推進室
	山中 康弘	栃木県立がんセンター 医長
	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 副部長	
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 治験推進室 室長
	荒戸 照世	北海道大学大学院 医学研究科連携研究センターレギュラトリーサイエンス部門評価科学分野 教授
	齋藤 昭彦	新潟大学医学部 小児科学分野 教授
	石川 洋一	国立成育医療研究センター病院 薬剤部 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
	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 治験推進室 室長
	齋藤 昭彦	新潟大学医学部 小児科学分野 教授
	石川 洋一	国立成育医療研究センター病院 薬剤部 部長
	小村 誠	国立成育医療研究センター病院 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。

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

- 要望された適応外薬については、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
- 要望された未承認薬については、
 - 1 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。
 - 2 1以外の場合で、海外で先発医薬品として承認を取得している企業が特定され、その日本法人企業が存在する場合には、当該企業に対して要請
 - 3 1及び2以外の場合で、わが国での開発権を有することが確認された企業があれば、当該企業に対して要請
 - 4 1～3以外の場合は、開発企業を公募
- 要望された剤型追加については、
 - 1 わが国において新たに追加される剤型と同じ投与経路の製剤について、先発医薬品として承認を取得している企業に要請
 - 2 1以外の場合は、未承認薬の場合と同様の考え方で要請又は公募