

未承認薬・適応外薬検討会議の対象を一定の要件を満たす欧米未承認薬にまで拡大し、企業に対して開発要請を行うことで、世界に先駆けての重篤・致命的疾患治療薬の実用化を加速する。

なお、欧米未承認の品目で国内開発企業とのマッチングに時間を要するものなどについては、**臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験等に積極的に取り組みデータを取得**することで、研究開発支援を強化し、企業が開発に着手しやすい環境を整える。

未承認薬・適応外薬の要望（現在は、欧米既承認のものが対象）

要望は「随時受付」、「随時評価」

要望の対象を、以下のいずれかの要件を満たす欧米未承認の重篤・致命的疾患治療薬にまで拡大

- ① 医師主導による国内第Ⅲ相治験を実施中又は終了したもの
- ② 優れた試験成績が論文等で公表されているもの※
- ③ 先進医療Bで一定の実績があるもの

※オーファンドラッグの指定要件を満たすと見込まれるものについては、必ずしも該当しない場合であっても可とする。

※網掛け部分が前回検討会議からの変更点。

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

（医療上の必要性を判断）

【基本的なスキーム】（ほとんどの品目が該当）

企業に対して開発要請 又は 開発企業を公募

企業による治験の実施

薬事承認申請

【海外ベンチャーが開発したものなどで、国内開発企業とのマッチングに時間を要する場合】

臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等が医師主導治験又は先進医療を実施し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはPMDAの薬事戦略相談等も活用

開発企業

- 当該スキームにおける「医療上の必要性の評価」の基準については、欧米等で承認実績がないことを鑑み修正が必要と考える。

＜現行の評価基準＞

(1) 疾患の重篤性

- 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

(2) 医療上の有用性

- 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。

＜当該スキームにおける評価基準＞案

(1) 疾患の重篤性

- 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
- ※ 現行の評価基準と同一。

(2) 医療上の有用性

- ア 既存の療法が国内にない。
- イ 既存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 (削除)

※ 医療上の有用性については、当該スキームでは欧米未承認薬を対象とすることを踏まえ修正(網掛け部分に変更箇所)。