

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。

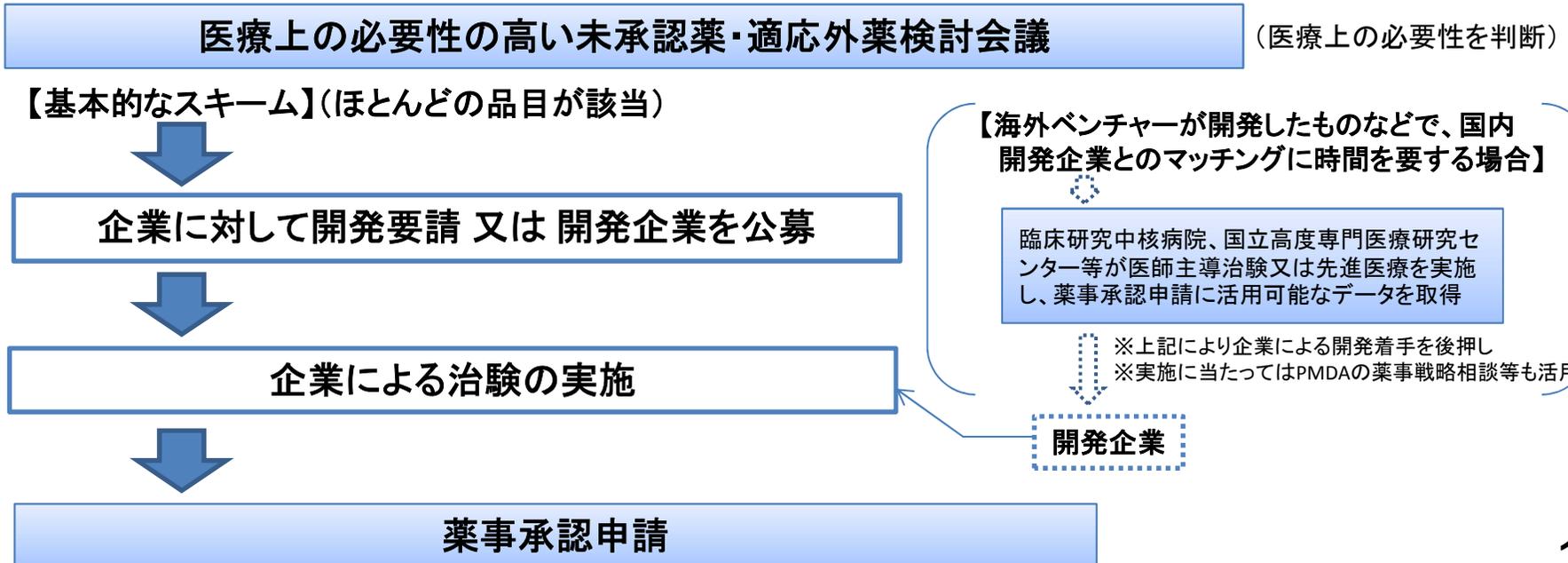
未承認薬・適応外薬の要望（現在は、欧米既承認のものが対象）

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。



現行の運用内容と未承認薬迅速実用化スキーム導入

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薬品や適応（以下「**未承認薬・適応外薬**」という。）について、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。

（「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 1. 目的 抜粋）

現状の運用

未承認薬：海外の承認制度で承認されているが、国内では承認されていない医薬品

適応外薬：海外の承認制度で承認されている（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^{注1}）場合を含む）が、国内では承認されていない適応

注1：海外のガイドラインおよびその根拠論文の提出を義務づけている

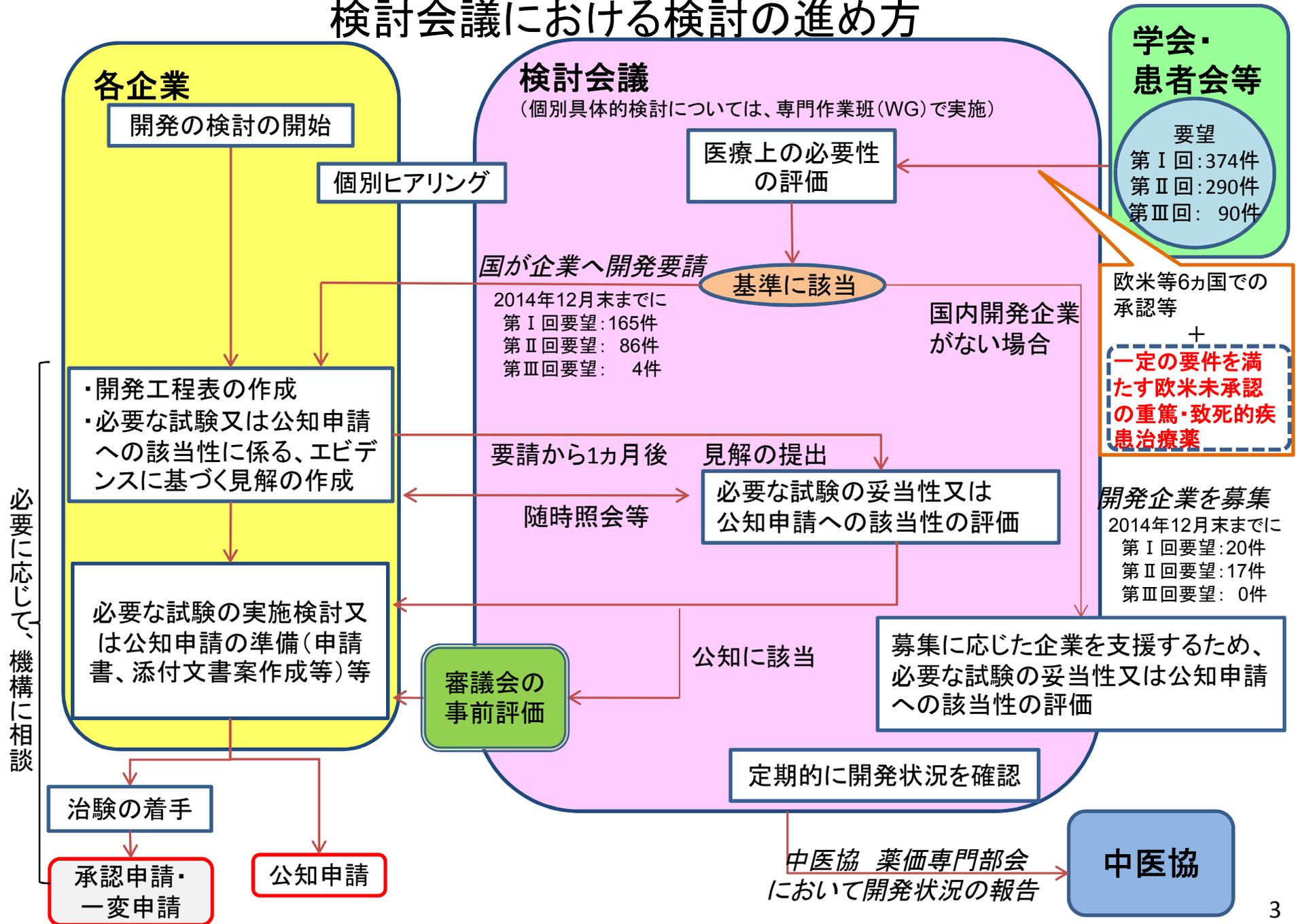
未承認薬迅速実用化スキーム

未承認薬：一定の要件をみたす国内及び海外の承認制度で承認されていない医薬品

適応外薬：海外の承認制度で承認されていないが、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^{注2}場合であって、国内では承認されていない適応

注2：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。

未承認薬迅速実用化スキーム導入に伴う今後の 検討会議における検討の進め方



医療上の必要性の評価の基準

(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

注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。

注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。

注3：一定の要件をみだ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 ー
- エ 該当しない