

## 「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱

### 1. 目的

- 欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、
  - ・ 欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を定期的に把握し、
  - ・ 臨床上の必要性と使用の妥当性を科学的に検証するとともに、
  - ・ 当該未承認薬について確実な治験実施につなげることにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的とする。

### 2. 検討事項

- (1) 欧米諸国での承認状況の定期的な把握
- (2) 学会及び患者の要望の定期的な把握
- (3) 未承認薬の臨床上の必要性と使用の妥当性に関する科学的検証
- (4) 「企業依頼」及び「医師主導」の治験への振り分けと確実な実施
- (5) 安全性確認試験の確実な実施 等

### 3. 構成員

- 検討会議の構成員は、がんや循環器等の重篤な疾患領域における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回定期的に開催するが、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、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

### 5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局で行い、医政局及び保険局がこれに協力する。

「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

- |       |                      |
|-------|----------------------|
| 有吉 寛  | 愛知県立愛知病院名誉院長         |
| 大澤真木子 | 東京女子医科大学医学部教授        |
| 川西 徹  | 国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部長   |
| 栗山 喬之 | 千葉大学医学部教授            |
| 黒川 清  | 東京大学先端科学技術研究センター客員教授 |
| 後藤 元  | 杏林大学医学部教授            |
| 篠山重威  | 浜松労災病院長              |
| 寺岡 暉  | 日本医師会治験促進センター長       |
| 浜田知久馬 | 東京理科大学工学部助教授         |
| 林 昌洋  | 虎ノ門病院薬剤部長            |
| 堀田知光  | 東海大学医学部教授            |
| 堀内龍也  | 群馬大学医学部附属病院薬剤部長      |
| 吉田茂昭  | 国立がんセンター東病院長         |

(※ 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。)

# 1 国内未承認薬の使用

「国内で承認されるまでに時間がかかり、欧米で承認されているのに、全額自己負担でないと使えない。」

確実な治験実施に繋げ、制度的に切れ目なく  
保険診療との併用が可能な体制を確立

## ③追加的治験の導入

治験開始後にさらに治験に参加したい者を受け入れる仕組みを整備

国内未承認薬

未承認薬使用問題  
検討会議(仮称)

追加的治験

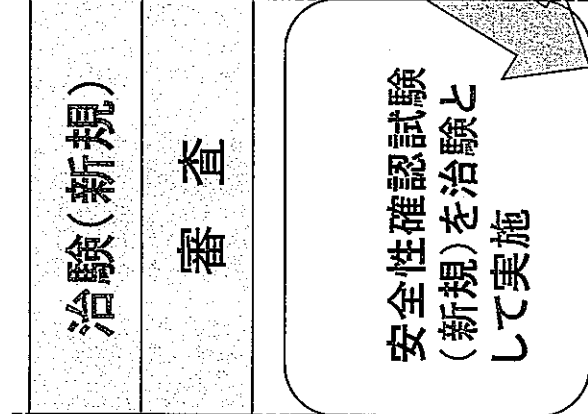
企業の依頼による治験

追加的治験

医師主導の治験

## ①確実な治験実施

- ・未承認薬使用問題検討会議(仮称)を設置
- ・学会・患者の要望を把握し、臨床上の必要性と使用の妥当性を科学的に検証
- ・年4回定期的に開催するとともに、必要に応じ随時開催。最長でも3か月以内に結論を出す。
- ・欧米で新たに承認された薬は自動的に検証の対象とし、患者の要望に的確に対応
- ・「企業治験」と「医師治験」とに振り分け、確実な治験実施へ繋げる。



制度的に断絶を解消

## ②医師主導の治験の支援体制整備

- ・治験導入時の医師への情報提供の充実、各種手続の簡素化による導入時の手続の負担の軽減
- ・医師が患者に薬剤料等の費用負担を求めることができ、より拡大することにより、医師の負担を軽減
- \* 料金が不当に高くならないよう必要な措置を講じる。
- ・治験ネットワークの拡充

## ④保険診療との併用による切れ目のない対応

安全性確認試験を治験として実施する仕組みを創設し、制度的に保険診療との併用の断絶を解消

原則60日

薬価収載

保険適用

## 未承認薬を治験対象とする場合の考え方(改訂案)

### 医療上特に必要性が高いと認められるもの

#### 考え方

適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定

##### (1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- ② 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 等

##### (2) 医療上の有用性

- ① 既存の治療法・予防法がない
- ② 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の治療法・予防法と比べて明らかに優れている
- ③ 欧米において標準的治療法に位置付けられている 等

「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品(案)

| 類型  | 概要   |
|-----|--|
| I   | 平成17年4月以降に欧米4か国で承認されたもの                                |
| II  | 過去5年間に学会・患者団体からの要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国で承認されたもの        |
| III | 学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4か国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの |