

承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見

2006年11月24日

東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学
辻 香織、 津谷喜一郎

「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」における協議事項として、下記の意見を提出します。

1. ドラッグラグ（欧米に比べ日本において医薬品へのアクセスが遅れていること）の実態を全体像としてシステマティックに把握し、議論の基礎とすること。

「未承認薬使用問題検討会議」では、学会・患者団体から要望のある未承認薬についての議論が主体であり、ドラッグラグの全体像が把握できていないことは会議中でも指摘されている。政策研の報告（政策研リサーチペーパーNo.31, 2006）がよく引用されているが、少数（88品目）の売上上位品目を対象としているため全体像は把握できず、市場の小さいオーファンドラッグについては把握されていない。有用な医薬品を迅速に提供する方策を考えるにあたり実態の把握と要因分析は重要であることから、産学の研究成果の収集につとめ、議論の基礎としていただきたい。当研究室では、日米 EU で承認された新有効成分含有医薬品について過去7年間の状況をデータベース化しており、マクロ、ミクロの視点での分析が可能である（添付資料参照、11/30 日本臨床薬理学会で発表予定）。

2. 産官学連携によるコンソーシアムなどの設立などにより、海外で開発中の有望な新薬に関する情報を早期に把握し、日本での早期承認・上市につなげるための施策を講じること。

海外で承認された時点で議論を開始しても遅く、ドラッグラグの問題は解消されない。海外における新薬の開発状況を早期に把握し、評価し、ライセンスの促進、国際共同治験の促進など早期に対策を講じていくための仕組みが必要である。

3. 従来不明瞭であった「承認基準」を明確にすること。従来の「承認条件」に代わり「条件付承認」の概念を導入し、通常の「承認基準」を満たすものではないことを明確にすること。条件付承認の対象となる薬剤については、承認時まで具体的な市販後安全性監視計画、（必要な場合には）市販後臨床試験計画の概略を策定し、「条件付承認」から正式な承認へと移行する時期と条件を事前に定めること。

ブリッジングにより限られた日本人データで承認がなされるようになり、承認条件が付される医薬品が急激に増加している。しかし、承認条件は、正式な承認と「条件付承認」とを区別するものではなく、その内容は医薬品によりさまざまである。今後ドラッグラグの解消を目的

として承認条件を付した承認が増加することが予想されるが、本来開発段階で行われるべきデータ収集が市販後に移動することにより、十分な安全対策のもとに必要なデータ収集を行うためには、市販後のコストが膨大になる可能性も考えられる。また「条件付」承認である場合はそれを国民に伝達する説明責任があると考えられる。見かけ上ドラッグラグを小さくするのではなく、上記の対策を伴った早期承認を目指すべきである。

4. 治験相談、承認審査体制の充実を考えるにあたっては、単なる増員ではなく、下記のような効率性を高める施策を講じること。

- (1) 米国、EU との協議により世界同時審査・同時承認の体制整備を目指すこと。
- (2) オリジナルの申請資料が欧米のデータを中心とした英文であるものについては、翻訳の事務的労力を省くため、オリジナルを用いて審査を行うこと。
- (3) 治験相談にあつては、相談結果としての合意事項（合意に達しない場合には機構と申請企業双方の考え方）を明確にした上、記録に残し、正式文書として扱うこと。

医薬品医療機器総合機構の人員が他地域に比べ少ないのは確かであるが、増員すれば簡単に効率が上がるとは考えられない。総合機構の人材不足の原因は給与などのインセンティブの問題ではなく、必要な能力・経験を有する人材が国内市場全体に不足していることではないだろうか。審査を行う能力・経験は短期間に身につくものではなく、コストを投入して単純に人数を増やしても、教育などに余計時間がかかることが考えられる。むしろ、関係する組織間の作業の重複などによる非効率の改善に焦点を当てるべきである。(1) 申請資料中の個々の試験の有効性、安全性の評価基準はほぼ世界共通であることから、3 極の合同体制で審査を行うことは、作業の重複を省く上で是非検討すべきである。それにより国内供給に必要な体制作りや市販後計画の策定に時間をかけることができる。(2) 翻訳や申請資料の見た目を整える事務的作業に労力を割くべきではなく、本質的に重要なことに注力すべきである。(3) 治験相談の結論が曖昧であるため申請企業内での調整に労力を要すること、治験届提出時の質疑応答で機構相談と同じ質問を繰り返されること、「未承認薬使用問題検討会議」などの決定事項が総合機構に正確に伝達されていないなどの問題が指摘されている。これらの調整費用・取引費用を削減することで、かなりの効率化が期待できると考えられる。

5. 国内における未承認薬の使用実態を把握すること。未承認薬使用ルール（登録制度、IRB 審議、患者のインフォームドコンセントや安全対策に関わるガイドラインの策定、副作用被害救済制度など）を定めること。

国内未承認薬の個人輸入は医師の責任下で行われており、輸入されている医薬品の種類や数量は把握されていない。費用負担、患者への説明とインフォームドコンセントの有無、IRB 審議などの実態も不明瞭であり、重篤有害事象が起きた場合の救済措置も存在しない。米国においては、未承認薬の使用は個人単位であってもすべて GCP 臨床試験として届出のうえ実施しなければならず、EU 主要国においても、未承認薬の使用は国の承認のもとに行われている。日本

では未承認薬個人輸入が世界で最も頻繁に行われている一方、使用ルールが存在しないという状況にある。未承認薬個人輸入の実態を可能な限り把握してリスクの大きさを評価し、患者保護の観点から使用ルールを定めることが重要である。海外の製薬会社が一部無償提供を行っているが、その対象とならない場合に患者と担当医師は有償での個人輸入を考える。患者の権利を考慮すれば、必要な医薬品へのアクセスを断つことは倫理的に問題であり、事実上困難である。未承認薬輸入を制限するのではなく、早急に上記制度を整備し、患者の安全確保に努めるべきである。将来的には、安全性情報の共有化など未承認薬使用から得られたデータの有効活用も目指すべきである。

承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見

全国パーキンソン病友の会

都道府県 41 支部の連合体、所属会員約 7000 名、医学の進歩に寄与し、社会的啓発活動や会員・家族の相互支援と親睦を図ることなどを目的としている。会報の発行、年 1 回の大会実施などを行っている。

<意見>

1. 海外で使われているパーキンソン病医薬品の日本における治験は、簡略化して早急に許可してほしい。許可していただきたい薬としては、エンタカポンである。
2. 現在パーキンソン病の薬は錠剤と粉薬であるが、海外では貼り薬も使われている。貼り薬が認められれば、患者にとって従来より使用方法の選択肢が増えて、副作用などが軽減される可能性がある。

以上