

「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

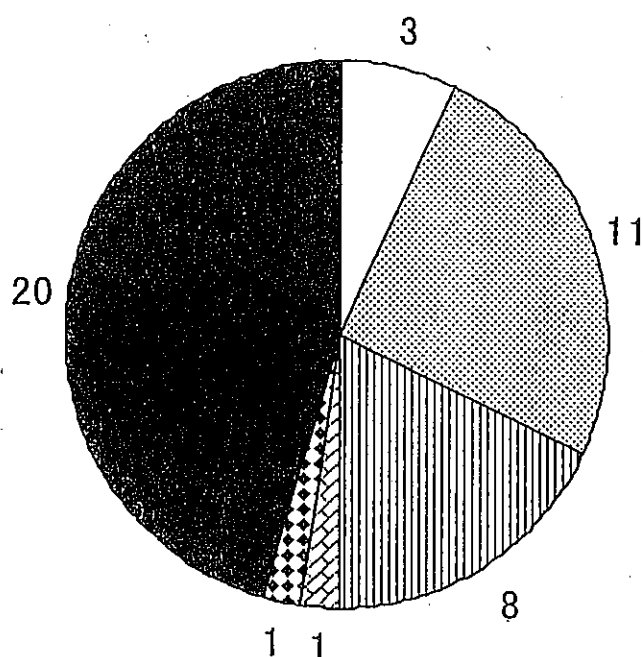
- 検討会議は、年4回定期的に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

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での検討状況 (平成17年1月～平成21年2月)

【現在の状況】(平成21年2月末現在)



□ 開発企業募集中 ▨ 治験計画等検討中 □ 治験実施中
 ▤ 承認申請準備中 ▩ 承認審査中 ■ 承認済み

(検討品目の分類)

抗がん剤	22
先天代謝異常症などの小児用薬	11
その他	11
合計	44

出典：「第20回未承認薬使用問題検討会議」資料（平成21年3月10日）

「未承認薬使用問題検討会議」での検討結果等について

(平成21年2月28日現在)

No.	検討会議開催日	成分名	対象疾患	検討会議での主な検討結果	検討当時の状況	現在の状況等	企業名
1	第1回 (平成17年1月)	オキザリプラチン	結腸・直腸癌	承認までの間に安全性確認試験を実施すべき	承認審査中	平成17年9月18日承認、4月6日薬価収載	ヤクルト本社
2	第1回 (平成17年1月)	ペムレキセド	悪性胸膜中皮腫	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	平成19年1月4日承認、1月19日薬価収載	日本イーライリリー
3	第1回 (平成17年1月)	サリドマイド	多発性骨髄腫	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	平成20年10月16日承認、12月10日薬価収載	塚本製薬
4	第4回 (平成17年4月)	ボルネゾミブ	多発性骨髄腫	早期の承認申請が行われるべき、承認までの間に安全性確認試験を実施すべき	国内治験中	平成18年10月20日承認、12月1日薬価収載	ヤンセン ファーマ
5	第4回 (平成17年4月)	ラロニダールゼ	ムコ多糖症Ⅰ型	早期に治験が開始されるべき。欧米臨床データをもつて承認申請を認め、審査期間中に国内治験データの中間報告を求め、承認までの間に安全性確認試験を検討すべき	国内治験前	平成18年10月20日承認、12月1日薬価収載	ジェンザイム・ジャパン
6	第9回 (平成17年4月)	ジアゾキサイド	高インスリン血症による低血糖症	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	シェリング・プラウ
7	第5回 (平成17年7月)	ペバシズマブ	転移性結腸・直腸癌	欧米臨床データ及び国内Ⅰ相試験データ等を基に早期に承認申請が行われるべき。申請準備期間中及び審査期間中に安全性確認試験が実施されるべき	国内治験中	平成19年4月18日承認、6月8日薬価収載	中外製薬
8	第5回 (平成17年7月)	セツキシマブ	転移性結腸・直腸癌	併用療法による第Ⅱ相試験が早期に開始されるべき	国内治験中	平成20年7月16日承認、9月12日薬価収載	メルク
9	第5回 (平成17年7月)	エルロチニブ	非小細胞肺癌	進行中の治験状況を注視していくべき	国内治験中	平成19年10月19日承認、12月14日薬価収載	中外製薬
10	第5回 (平成17年7月)	テモゾロミド	悪性神経膠腫	国内試験データ(頭形成性星細胞腫)及び治外臨床データ(脳脊髄)等を基に早期に承認申請が行われるべき。審査期間中に安全性確認試験(膠芽腫:放射線との併用)が実施されるべき	国内治験終了	平成18年7月26日承認、9月15日薬価収載	シェリング・プラウ
11	第5回 (平成17年7月)	ストレプトゾシン	肺がん細胞癌	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(ライセンズ交渉中)	(調査中)
12	第5回 (平成17年10月)	ガルスルフアーゼ	ムコ多糖症Ⅵ型	欧米臨床データをもつて承認申請を認め、審査期間中に国内治験データの中間報告を求め、承認までの間に安全性確認試験による治療研究によるデータの活用も考慮すべき	国内治験前	平成20年3月28日承認、4月11日薬価収載	アンジェスMG

3品目
 11品目
 8品目
 1品目
 1品目
 1品目
 承認済み
 承認済み
 承認済み
 計 44品目

「未承認薬使用問題検討会議」での検討結果等について

(平成21年2月28日現在)

No	後付全編 開催日	成分名	対象疾病	検討会議での主な検討結果	検討当時の 状況	現在の状況等	企業名
13	第6回 (平成17年10月)	イブリツモマブ チウキセタン	B細胞性非ホジキンリンパ腫	早期に承認申請が行われるべき	国内治験終了	平成20年1月25日承認、6月13日薬価収載	バイエル薬品
14	第6回 (平成17年10月)	リポソームマルドキシルピジン	卵巣癌、 AIDS関連カポジ肉腫	早期に承認申請が行われるべき	国内治験中	AIDS関連カポジ肉腫 平成19年1月4日承認、1月19日薬価収載 卵巣癌 平成21年1月29日医薬品第二部会で審議済	ヤンセンファーマ
15	第6回 (平成17年10月)	リアブチン	HIV患者のMAC感染症	早期に承認申請が行われるべき	国内治験中	平成20年7月16日承認、9月12日薬価収載	ファイザー
16	第6回 (平成17年10月)	クロファアラピン	小児急性リンパ性白血病	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	ジェンザイム・ジャパン
17	第7回 (平成18年1月)	ネララピン	T細胞性急性リンパ芽球性白血病 T細胞性リンパ芽球性リンパ腫	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	平成19年10月19日承認、12月14日薬価収載	グラクソ・スミスクライン
18	第7回 (平成18年1月)	ベグアスバラガーゼ	レアスバシキナーゼに過敏症の急性リンパ性白血病	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(導入先と協議中。厚生労働省からも、導入先に早期開発への協力を依頼)	(調整中)
19	第7回 (平成18年1月)	フェニル酪氨酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	欧米臨床データ及び国内使用症例データ等を基に早期に承認申請が行われるべき。審査期間中に国内治験データ等が収集されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(国内企業と交渉中。希少疾病用医薬品に指定)	ユニサイクリッド・ファーマ社(米国)
20	第7回 (平成18年1月)	オクスカルバゼピン	てんかん部分発作	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	ノバルティス ファーマ
21	第8回 (平成18年4月)	ボサコナゾール	侵襲性真菌感染症	欧州における臨床試験の状況も身つつ、選択肢を増やすという観点からも、開発が検討されるべき	国内治験前	治験実施中	シェリング・プラウ
22	第8回 (平成18年4月)	アバタセプト	中等度・高度の活動性関節リウマチ	進行中の治験を見守るべき	国内治験中	治験実施中	プリストル・マイヤーズ
23	第8回 (平成18年4月)	レナリドミド	骨髄異形成症候群による貧血	早期に治験が開始されるべき。その際には、妊婦・妊婦可能な女性には使用されないようにするなど十分に留意すべき	国内治験前	治験実施中	セルジーン
24	第8回 (平成18年4月)	アルグルコングダーゼ アルファ	糖尿病Ⅱ型(ボンベ病)	日本人患者データを含む欧米臨床データをもつて承認申請を認め、長期の製造販売後調査等で国内情報収集すべき	国内治験前	平成19年4月18日承認、6月8日薬価収載	ジェンザイム・ジャパン

開発企業募集 3品目
 治験計画等検討中 11品目
 治験実施中 8品目
 申請準備中 1品目
 審査中 1品目
 承認済み 20品目
 計 44品目

「未承認薬使用問題検討会議」での検討結果等について

(平成21年2月28日現在)

No.	検討会議開催日	成分名	対象疾病	検討会議での主な検討結果	検討当時の状況	現在の状況等	企業名
25	第9回 (平成18年7月)	スニチニブ	消化管間質腫瘍(イマチニブ耐)、進行性腎細胞癌	欧米臨床データ及び国内第Ⅱ相試験データ等を基に早期に承認申請が行われるべき	国内治験中	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	ファイザー
26	第9回 (平成18年7月)	ソラフェニブ	進行性腎細胞癌	迅速な審査が望まれる	承認審査中	平成20年1月25日承認、4月18日薬価収載	ハイエル薬品
27	第9回 (平成18年7月)	フォスフェニトイン	てんかん様重症症他	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	ノーベルファーマ
28	第9回 (平成18年7月)	デフェラシロクス	輸血による慢性鉄過剰	外国臨床データの活用も考慮した上で、早期に承認申請が行われるべき	国内治験中	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	ノバルティス ファーマ
29	第10回 (平成18年10月)	デンタヒン	骨髄異形成症候群	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	ヤンセン ファーマ
30	第10回 (平成18年10月)	ダサチニブ	成人慢性骨髄性白血病、成人急性リンパ性白血病	外国臨床データ及び国内第Ⅰ/Ⅱ相試験データ等を基に早期に承認申請が行われるべき	国内治験中	平成21年1月22日承認、3月13日薬価収載予定	ブリストル・マイヤーズ
31	第10回 (平成18年10月)	イデュルスルファアーゼ	ムコ多糖症Ⅱ型(ハンター症候群)	日本人患者データを含む欧米臨床データをもって承認申請を認め、長期の製造販売後調査等で国内情報を収集すべき	国内治験前	平成19年10月4日承認、10月17日薬価収載	ジェンザイム・ジャパン
32	第11回 (平成19年1月)	アレムツスマブ	B細胞性慢性リンパ性白血病	B細胞性慢性リンパ性白血病に対する治験が早期に開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(09年第1四半期に治験開始予定)	ハイエル薬品
33	第11回 (平成19年1月)	タルク	悪性胸水	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(09年5月より医師主導治験開始予定)	ノーベルファーマ
34	第12回 (平成19年4月)	ボリノスタット	皮膚T細胞性リンパ腫	皮膚T細胞性リンパ腫に対する治験が早期に開始されるべき	国内治験前	治験実施中	高有製薬
35	第12回 (平成19年4月)	システアミン	システアノーシス	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)
36	第12回 (平成19年4月)	ベタイン	ホモシステチン尿症	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 11品目
 治験実施中 8品目
 申請準備中 1品目
 審査中 1品目
 承認済み 20品目
 計 44品目

「未承認薬使用問題検討会議」での検討結果等について

(平成21年2月28日現在)

No	検討会議開催日	成分名	対象疾病	検討会議での主な検討結果	検討当時の状況	現在の状況等	企業名
37	第13回 (平成19年7月)	スチリベンツール	乳児重症ミオクロニートてんかん	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	Bioacadex SA (国内連絡先: 明治製薬)
38	第13回 (平成19年7月)	経ロリン酸塩錠剤	原発性低リン血症性クルル病	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)
39	第14回 (平成19年10月)	ルブイナマイド	レノックス・ガスト一症候群	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	エーザイ
40	第14回 (平成19年10月)	オキニコドン注射剤	がん性疼痛	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	権野産製薬
41	第14回 (平成19年10月)	メサドン	がん性疼痛	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	帝國製薬
42	第14回 (平成19年10月)	エクリズマブ	発作性夜間血色素尿症	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	申請準備中(国内治験終了。希少疾病用医薬品に指定)	アレクシオンファーマ
43	第16回 (平成20年2月)	ヒトヘミン	ポルフィリン症	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	シミック
44	第19回 (平成20年12月)	テトラベナジン	ハンチントン舞踏病	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(ライセンス交渉中)	(調整中)

出典：「第20回未承認薬使用問題検討会議」資料（平成21年3月10日）

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 11品目
 治験実施中 8品目
 申請準備中 1品目
 審査中 1品目
 承認済み 20品目
 計 44品目

医療上の必要性が高い未承認の医薬品又は適応の開発の要望に関する意見募集について

平成21年6月18日

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

海外では認められている医薬品のうち、わが国では承認されていない医薬品、あるいは承認等された効能・効果又は用法・用量が異なる医薬品（以下「未承認薬等」という）であって、医療上の必要性が高いものについては、わが国の患者に早急に提供できるよう、その開発を促進すべきであると考えています。

つきましては、医療上の必要性が高い未承認薬等の開発について、ご要望を募集しますので、ご要望がある場合には、下記によりご提出をお願いいたします。皆様からいただいたご要望については、検討の対象として活用させていただきます。

なお、ご提出いただいたご要望に対しては、結果の公表をもって回答に代えさせていただきますので、予めご了承ください。

記

1. 募集期間

平成21年6月18日（木）～平成21年8月17日（月）※ 郵送の場合は必着

2. 提出方法

ご要望については、別添の注意事項及び様式によって、以下に掲げるいずれかの方法で提出してください。

なお、提出していただくご要望には必ず件名として「未承認薬等について」と明記して提出してください。

○ 電子メールの場合

アドレス misyouninyaku1@mhlw.go.jp

厚生労働省医薬食品局審査管理課

○ ファクシミリの場合

ファクシミリ番号：03-3597-9535

厚生労働省医薬食品局審査管理課宛

○ 郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

厚生労働省医薬食品局審査管理課宛

3. ご要望の提出上の注意

ご提出いただくご要望につきましては、日本語で記載されたものに限ります。

また、個人の方は住所・氏名・職業を、団体の場合は団体名及び所在地を記載してください。ご提出いただきましたご要望については、住所・電話番号・ファクシミリ番号及び電子メールアドレスを除き、公開される可能性があることを、予めご承知おきください。

ご要望中に個人に関する情報があつて、個人名を伏せることを希望される場合は、個人名の記載の後に「非公表希望」と明記してください。また、団体等の財産権を害するおそれがあると判断される場合には、公表の際に当該箇所を伏せさせていただく場合もあります。

なお、提出された要望については、その内容について関係企業に確認を求めるために提示することとなりますが、予めご了解いただくようお願いします。

※ 別添（略）

未承認薬・適応外薬解消のためのご意見募集

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療上必要な医薬品や適応(未承認薬等)を解消するため、未承認薬等の優先度の検討、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。
 このため、本年6月18日から、厚生労働省ホームページにおいて、未承認薬・適応外薬に係る要望の公募を開始した。募集期間は8月17日までの2ヶ月間。

＜公募する要望の条件＞

○未承認薬

欧米4か国(米、英、独、仏)のいずれかの国で承認されていること

○適応外薬

欧米4か国のいずれかの国で承認(公的医療保険制度の適用を含む)されていること

「医療上その必要性が高い」とは次の(1)及び(2)の両方に該当するもの

(1) 適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の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) 医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米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 欧米において標準的療法に位置づけられている

学会等にあつては、科学的エビデンスに基づく有効性及び安全性の評価等を添付して提出

＜参考＞検討の流れ(イメージ)

