

医政研発 0126 第 1 号
薬食審発 0126 第 1 号
平成 22 年 1 月 26 日

(別記) 代表取締役社長 殿

厚生労働省医政局研究開発振興課長

厚生労働省医薬食品局審査管理課長

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
意見に対する追加の企業見解の提出依頼等について

平素から医療・薬事行政にご尽力いただきありがとうございます。

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及び適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）であって、医療上の必要性が高いものに係る開発の要望については、平成 21 年 9 月 28 日付け薬食審査発 0928 第 1 号・医政研発 0928 第 1 号厚生労働省医政局研究開発振興課長及び医薬食品局審査管理課長「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に対する企業見解の提出依頼について」（以下「二課長通知」という。）により、当該要望に係る企業見解の提出を頂いたところ です。

その後、平成 22 年度薬価制度改革の骨子（平成 21 年 12 月 22 日中央社会保険医療協議会了解）において、国から要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発に取り組む企業に対して、薬価に一定率を加算する制度を試行的に導入することとなる等状況も変化したことから、今般、当該要望に係る医療上の必要性の評価等を行うにあたり、下記のとおり、当該要望に係る追加の企業見解を提出いただくほか、検討に必要な資料の準備等、必要な対応を行われますようよろしくお願いいたします。

なお、二課長通知により送付した要望については、医療上の必要性を評価の上、開発の要請を行うこととしていますが、平成22年度薬価制度改革の骨子において、原則として評価の対象となる公知申請又は治験着手までの期間が限られていることから、国からの開発要請を待つことなく、公知申請又は承認申請のために追加で実施する必要がある試験等について検討に着手していただくようお願いします。

記

1. 追加の企業見解の提出について

当該要望に係る企業見解をより詳細に把握するため、以下の要領により当該要望に係る追加の企業見解の提出をお願いいたします。

(1) 提出期限

平成22年2月19日（金）

(2) 提出先

厚生労働省医薬食品局審査管理課

(3) 提出方法

要望（成分・効能等で分類）ごとに、追加事項について別添1の追加様式に記入して、電子ファイル（Word形式に限る。）で以下のアドレスに電子メールで送信して下さい。

厚生労働省医薬食品局審査管理課 高梨

電子メール：takanashi-fumihito@mhlw.go.jp

(4) 要望に対する回答企業について

未承認薬にあつては、既に開発を行っている企業、又は親会社等の外国関連企業を含めて開発権を有する企業。

適応外薬にあつては、先発医薬品として承認を取得している企業。なお、要望への対応方法については、後発医薬品として承認を取得している企業と連携して開発を行ったり、後発医薬品として承認を取得している企業の希望により、当該企業に開発を委任したりすることも考えられます。

(5) 追加の企業見解の様式の記入上の注意

① 様式は、二課長通知で用いた様式に追加事項の記載欄を加えたもの

としますので、追加事項を記載するとともに、エビデンスに係る事項等その他の項目についても、現時点での企業見解として、可能な限り充実した記載として下さい。

- ② 様式の記入の際には、別添2の注意事項を参照して下さい。
- ③ 提出する様式のファイル名を「(追加) 00 ○○○ (△△△) .doc」(「(追加) 番号 成分名 (会社名) .doc」)として下さい。
- ④ 提出された追加の企業見解については、公開可能な情報として取り扱います(担当者の氏名等の個人情報を除く。)

(6) その他

開発を行う上での特記事項等については、希望に応じ、本年2月中旬以降、個別に企業と面談を行い確認する予定としています。個別面談の時期、申し込み方法等については、本通知と別途連絡します。

2. 検討に必要な資料の準備について

医療上の必要性の評価等にあたり、以下の資料が必要になるので、2月19日(金)を目途に取り揃えて下さい。

- (1) 欧米4か国(米・英・独・仏)のうち、当該要望に係る医薬品及び適応が承認されている国における当該医薬品の添付文書の電子ファイル。なお、独・仏の添付文書については、効能・効果、用法・用量の和訳を添付。
- (2) 適応外薬であって、欧米4か国(米・英・独・仏)において当該適応の承認がなく、公的医療保険に収載されている場合には、当該適応の公的医療保険への収載が確認できる資料
- (3) エビデンスに関する文献資料(国内外の標準的な教科書、peer reviewed journalの総説、国内外学会等の診療ガイドライン等)、国内の使用実態に関する資料等

(別添1)

未承認薬等の要望に対する追加の見解の様式

1)	番号・名称		
2)	会社名		
3)	担当者	所属 氏名 連絡先 (TEL)	(Email)

4)	医薬品名	一般名	
		販売名	
5)	要望の概略		
6)	国内開発の状況		
7)	海外承認等状況		
8)	エビデンスに関する追加事項		
9)	エビデンスの評価に関する意見		
10)	公知申請の該当性に係る評価の概要		
11)	試験の追加実施が必要な場合、その種類、規模等		

12)	企業としての開発の意思	<input type="checkbox"/> あり ・ <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合、その特段の理由) 個別ヒアリングの希望の有無 <input type="checkbox"/> あり ・ <input type="checkbox"/> なし
13)	開発費の支援の希望（適応外薬に限る。）	<input type="checkbox"/>あり ・ <input type="checkbox"/>なし (希望する場合、その理由)
14)	開発費以外の支援の希望	<input type="checkbox"/> あり ・ <input type="checkbox"/> なし (希望する場合、支援内容とその理由)
15)	補足事項	
16)	<u>医療上の必要性に係る基準への該当性に関する意見</u>	

(下線部が追加事項)

(別添2) 追加の見解の様式の記入に係る注意事項

項目	
1) ～ 15)	基本的に、二課長通知により提出した企業見解と同様であるが、現時点での企業見解として、可能な限り充実した記載とすること。特に、8)、9)、10)及び12)については、以下のとおりであること。 ただし、13)には記載しないこと。
8), 9)	国内外の標準的な教科書、peer reviewed journal の総説、国内外学会等の診療ガイドラインの記述内容と出典、又は記述がないことを確認したことを可能な限り記載すること。
10)	公知申請については、平成11年2月1日付け研第4号・医薬審第104号厚生省健康政策局研究開発振興課長・医薬安全局審査管理課長通知「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて」への該当性を記載頂いているところであるが、当該通知には厳密には該当しないかもしれないが、公知申請でもよいのではないかと考える場合は、その妥当性に係る根拠を記載すること。
12)	開発が困難とする場合には、その特段の理由を記載すること。また、個別ヒアリングの希望の有無を記すこと。 例) ・ 開発権を〇〇社が保有しており、交渉を行ったものの開発権を取得できないため、開発が困難。 ・ 特定剤形（例えば点眼薬）を専門に開発する企業のため、注射剤の剤形開発は実質的に困難。
16)	要望に係る医療上の必要性について、意見がある場合には、下記(※)にある医療上の必要性の判断基準の(1)及び(2)への該当性ととともに、その根拠を記載すること。

※ (判断基準)

「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

(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