

# 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」 検討状況の概要について(平成23年3月1日時点)

要望のあった374件の検討状況

承認済み	企業に開発要請したもの	開発企業を公募したもの	開発要請等について検討中	医療上の必要性高くない	海外承認等なし	合計
4	163	19	12	72	104	374

第1回開発要請等(平成22年5月21日)

企業に開発要請したもの	開発企業を公募したもの
91	17
108	

第2回開発要請等

企業に開発要請したもの	開発企業を公募したもの
72	2
74	

このうち13件は、既に開発の意思を示す企業あり  
1件は、当該医薬品製剤について別の適応で承認を取得した企業が現れたことを踏まえ、開発要請を行った。

平成22年5月21日に開発要請した品目の検討状況

公知申請が妥当	治験中(承認申請中を含む)	治験予定	公知申請が妥当か検討中	合計
21	43	14	13	91

# その他のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ対策について (基盤となる事項について)

## その他の取組

### 医薬品・医療機器

#### ● 審査人員の増員

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)  
(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

医薬品:平成19年1月:112人 → 平成22年4月:286人(目標:348人)  
医療機器:平成21年1月:35人 → 平成22年4月:56人(目標:104人)

継続実施

・医薬品  
平成19年度  
から  
・医療機器  
平成21年度  
から

### 医薬品・医療機器

#### ● 治験相談等の体制整備

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)  
(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

すべての治験相談にタイムリーに対応できる体制整備

継続実施

・医薬品  
平成20年度  
から  
・医療機器  
平成21年度  
から

### 医薬品・医療機器

#### ● 国際共同治験の推進

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)

臨床研究・治験環境の整備を通じて症例集積の向上、治験コストの低下を  
図ることにより、国際共同治験に組み込まれる環境を整備

継続実施

平成19年度  
から

### 医薬品・医療機器

#### ● 事前評価相談制度の導入

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)  
(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

医薬品:承認申請前に申請資料の評価を行う事前評価相談制度の導入  
医療機器:治験終了前に非臨床試験部分の評価を行う事前評価制度の導入

継続実施

・医薬品  
平成21年度  
から試行  
・医療機器  
平成22年度  
から試行

### 医薬品・医療機器

#### ● 審査基準の明確化

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)  
(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

ガイドラインの策定など

継続実施

平成19年度  
から

### 医薬品・医療機器

#### ● 国際連携の強化

(革新的医薬品・医療機器創出のための5カ年戦略)

FDA等海外規制当局との連携強化、ICH(日米EU医薬品規制調和国際会議)・  
GHTF(医療機器規制国際統合化会議)による国際調和の取組等

継続実施

平成19年度  
から  
・ICHは  
平成2年から  
・GHTFは  
平成4年から

### 医療機器

#### ● クラスⅡ医療機器の第三者認証制度への移行

(医療機器の審査迅速化アクションプログラム)

すべてのクラスⅡ医療機器を第三者認証制度へ移行し、クラスⅢ、Ⅳ医療機器といったハ  
イリスク品目に対する審査の重点化に努める。

継続実施

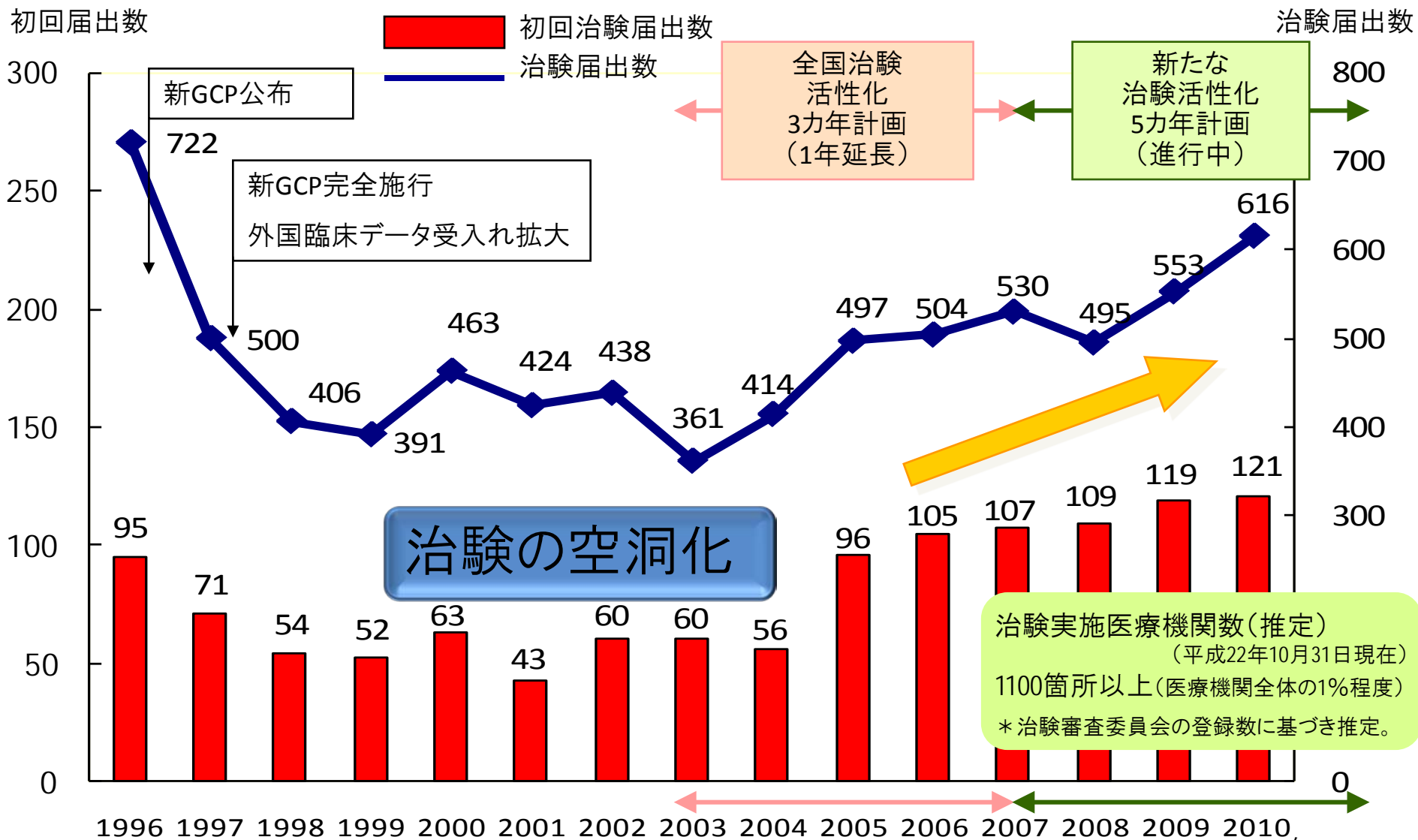
平成21年度  
から  
順次実施

# 人員体制の推移

## 【機構の常勤役職員数の推移】

	平成 16年 4月1 日	平成 17年 4月1 日	平成 18年 4月1 日	平成 19年 4月1 日	平成 20年 4月1 日	平成 21年 4月1 日	平成 22年 4月1 日	平成 22年 10月1 日	第2期 中期計 画期末 (25年 度末)
機構全体 (役職員含 む)	256 名	291 名	319 名	341 名	426 名	521 名	605 名	607 名	751名 (予定)
うち審査 部門	154 名	178 名	197 名	206 名	277 名	350 名	389 名	395 名	
うち安全 部門	29名	43名	49名	57名	65名	82名	123 名	115 名	

# 治験届出数の推移(医薬品)



# 希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・デバイス） の指定制度について

## 制度の目的

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品等の開発を支援する。

## オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

### 対象者数

対象者数が国内において5万人に達しないこと

### 医療上の必要性

代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、  
又は既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は  
安全性が期待されること

### 開発の可能性

対象疾病に対して、当該医薬品等を使用する根拠  
があり、開発計画が妥当であること

これらの条件  
を満たす医薬  
品等を指定  
(薬事法第77条の2)

## 支援の内容について

### 優先的な治験相談及び優先審査の実施

総審査期間の中央値  
(平成22年PMDA目標)



新医薬品（優先品目）10ヵ月（通常品目は16ヵ月）  
新医療機器（優先品目）は16ヵ月（通常品目は21ヵ月）

### 申請手数料の減額

### 再審査期間の延長

通常8年を10年（医薬品）、4年を7年（医療機器）に延長。この間後発品は、承認申請の際に、新薬同様の資料を求められる。（→その結果、この期間は新薬等の開発企業のみが市場供給を行う場合が多い）

### 試験研究費への助成金交付

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

### 税制措置上の優遇措置

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

# 希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス) の指定までの手続き

## 必要な資料(医薬品の場合)

### 対象者数に関する資料

・我が国における当該医薬品の用途に係る対象者数に関する客観的な統計資料

### 医療上の必要性に関する資料

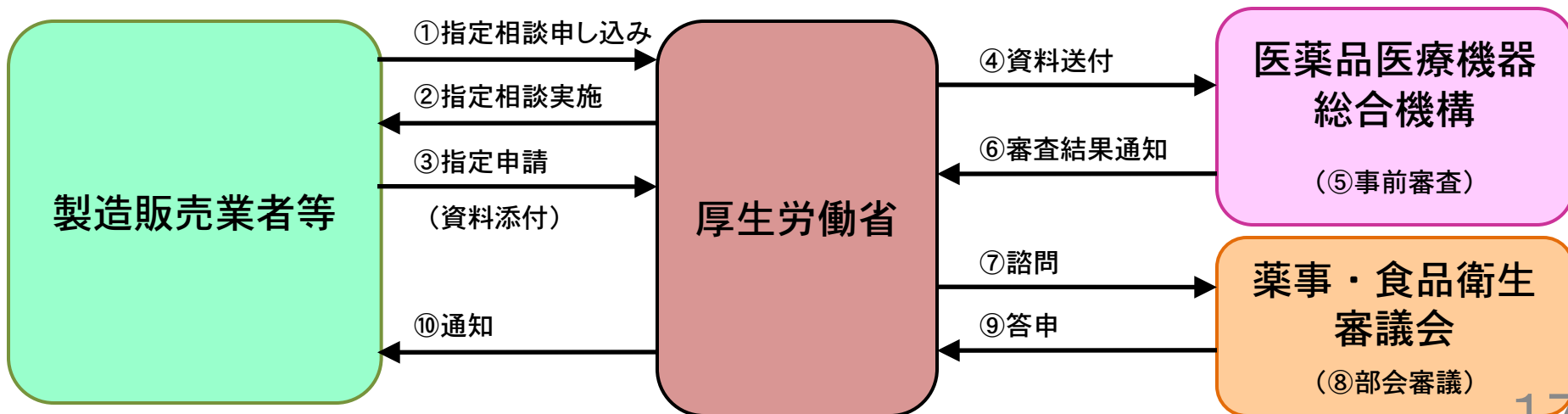
- ・ 病因、病状等対象疾病に関する資料
- ・ 類似の医薬品の有無、治療方法の有無など、医療の現状に関する資料概要
- ・ 起源、経緯、諸外国での使用状況等に関する資料
- ・ 製造方法並びに規格及び試験方法に関する資料
- ・ 安定性に関する資料
- ・ 薬理作用に関する資料
- ・ 吸収、分布、代謝、排泄に関する資料
- ・ 毒性に関する資料
- ・ 臨床試験の成績に関する資料

### 理論的根拠に関する資料 (入手可能な範囲で)

### 開発計画

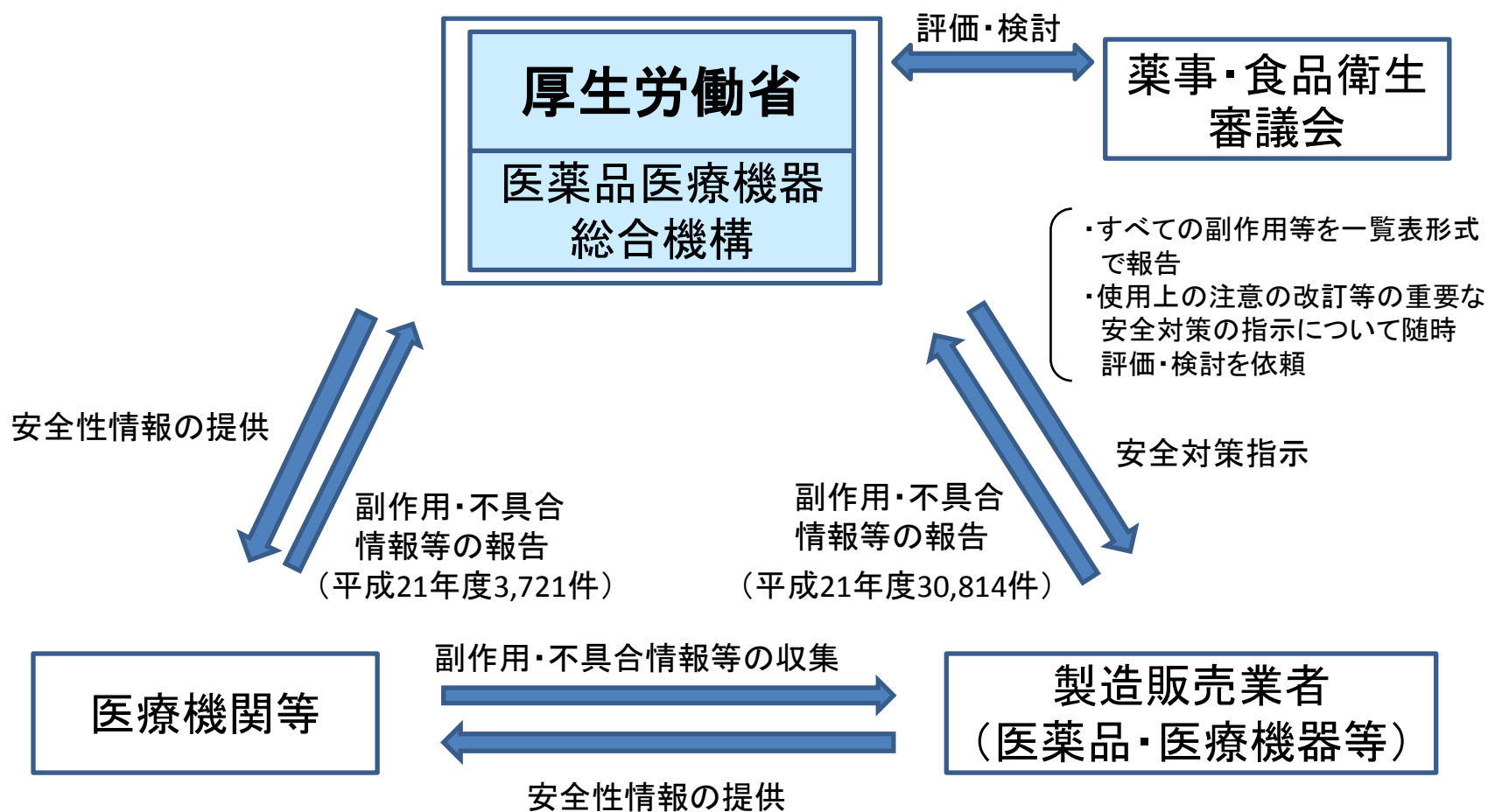
・ 予定している試験項目、試験機関、所要経費などの開発計画の概要資料

## 指定までの手順



## 2. 医薬品・医療機器等の市販後安全対策(1)

### 医薬品医療機器等の市販後安全確保体制の概略図



# 医薬品の市販後安全対策の概要①(安全性に関する情報の収集～分析評価)

## 安全性に関する情報の収集等

※承認条件とは、医薬品の承認後の保健衛生上の観点から必要に応じ承認時に付される条件であり、条件を付された医薬品は、当該条件の履行を前提として承認が与えられる。

### ○副作用・感染症等報告制度

薬事法に基づき、①製薬企業や②医師、歯科医師、薬剤師等の医薬関係者に対し、医薬品による副作用・感染症が疑われる症例について、厚生労働大臣への報告を義務づけた制度。また、製薬企業に対しては、外国で販売の中止、回収等の措置が実施された場合等についても、厚生労働大臣への報告を義務付け。  
※①は企業報告、②は医療機関報告

### ○感染症定期報告制度 ※生物由来製品(血液製剤等)のみ

薬事法に基づき、製薬企業に対し、生物由来製品の感染症に関する情報を収集・評価し、定期的(半年毎)に厚生労働大臣に報告することを義務づけた制度。

### ○承認条件に基づく調査等の実施

例: 全例調査、小児等の特定使用成績調査、販売にあたっての制限 等

承認条件  
付与

承認

開発・承認申請

販売開始

市販後

6ヶ月間

4～10年後

必要に応じ随時

### ○市販直後調査制度

新医薬品について、販売開始直後6か月間、医療機関に対して適正な使用を繰り返し促すとともに、重篤な副作用等を可能な限り迅速に把握し、必要な安全対策を講じる制度。薬事法に基づき、製薬企業に対し実施を義務付け。

### ○再審査制度

承認段階では十分に得られない情報(小児、高齢者又は長期使用の成績等)を製薬企業が収集し、承認後一定期間(通常8年)後に国が有効性等を再確認する制度。

### ○再評価制度

医学薬学の進歩に応じ、有効性、安全性、品質を国が再度見直す制度。

分析・評価

安全性に関する措置・情報提供

※上記の他、医薬品等健康危機管理実施要領に基づき、厚生労働省が直接、国内外の文献等の安全性情報や研究機関等からの安全性情報等を収集。



# 医薬品の市販後安全対策の概要②(安全性に関する措置～情報提供)

## 安全性に関する措置・情報提供

### ○安全対策措置

- ・承認の取消し
- ・承認事項(効能・効果、用法・用量等)の変更
- ・使用上の注意の改訂等

大

緊急性・重大性

小

### ○安全対策措置の医療現場等への伝達・情報提供

#### ・厚生労働省緊急ファックス情報

厚生労働省から登録医療機関に対して直接ファックスを送付。

(実績:H7年のシステム創設以降3件)

#### ・緊急安全性情報(ドクターレター)

厚生労働省からの指示に基づき、企業が速やかに医療機関に配布。

(実績:H18年度1件、H15年度1件、H14年度6件)

#### ・医薬品・医療機器等安全性情報

添付文書の使用上の注意の改訂のうち重要なものについて、厚生労働省が症例、解説記事を取りまとめて学会等に対して情報提供するとともに、機構HPで公開することにより広く医薬関係者に対して情報提供。

(実績:H20年度12件、H19年度24件、H18年度26件)

#### ・添付文書の使用上の注意の改訂

厚生労働省からの指示に基づき、企業が添付文書の使用上の注意を改訂し、医療機関に情報提供。(実績:H20年度144件、H19年度132件、H18年度135件)

### ○適正使用推進のための各種安全性情報の提供

#### ・添付文書

医薬品の用法・用量、使用上の注意等、医師等が医薬品を適正に使用するために必要な情報が記載された文書。

薬事法に基づき、製薬企業が作成して医薬品毎に添付。機構HPでも公開。

#### ・副作用報告の症例概要の公表

薬事法に基づき企業が厚生労働省に報告された副作用報告の症例概要(患者性別・年齢、副作用、被疑薬等)。

機構HPで公開。

#### ・重篤副作用疾患別対応マニュアル

患者及び臨床現場の医師、薬剤師等が副作用の早期発見・早期対応に活用できるよう、重篤な副作用に関する治療法、判別法等を包括的にまとめたもの。機構HP等を通じて広く情報提供。

#### ・患者向医薬品ガイド

医薬品の正しい理解と、重大な副作用の早期発見等に役立てるために、医薬品を使用するときに重要な情報を、患者・家族向けにわかりやすく記載したもので、特に患者に注意喚起すべき情報のある医薬品について作成。機構HP等を通じて広く情報提供。

## 2. 医薬品・医療機器等の市販後安全対策(2)

### (1) 最終提言について

- 薬害肝炎を踏まえ、二度と薬害を起こさないことを課題とし、平成20年5月に「薬害肝炎事件の検証と再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」を設置。約2年にわたる議論をかさね、昨年4月に、「最終提言」をとりまとめたところ。（詳細は次頁）
- 最終提言には、安全対策を充実強化し、薬害の発生・拡大を防止するため、医薬品行政を監視・評価する第三者組織の設置など、多岐にわたる提言が盛り込まれており、実現可能なものから迅速かつ着実に実施。

#### 【主な提言の進捗状況】

(第三者組織の設置)

平成23年10月に、法律に基づかない組織を設置予定。

(データベースの構築と利活用) (詳細は(2))

(リスクコミュニケーションの充実)

(6)の研究班と連携して対応。

平成23年1月～、患者さんからの副作用報告制度のパイロット事業を開始。

# 薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて（最終提言）の概要

（薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会）

厚生労働省医薬食品局

## 第1 はじめに

- 委員会は、薬害肝炎事件の検証と再発防止のための医薬品行政の見直し等について提言することを目的に設置。
- 開催経過：平成20年5月から平成22年3月まで23回開催。
- 構成：第1次提言を基礎に平成21年度の審議結果を追加。

## 第2 薬害肝炎事件の経過から抽出される問題点

- 薬害肝炎事件の経過の中から、今後の再発防止の観点から抽出される問題点を整理。
  - (1) フィブリノゲン製剤に関する経過関連
  - (2) 第Ⅸ因子製剤に関する経過関連
  - (3) 上記製剤を通じた事実関係
- 平成21年度は新たに以下の検証を実施し、問題点を整理
  - (1) 事件当時の行政及び製薬企業担当者へのヒアリング
  - (2) 医療関係者の意識調査（医師アンケート、医師インタビュー）
  - (3) 被害者実態調査（患者調査、遺族調査）

## 第3 これまでの主な制度改正等の経過

- 医薬品行政のこれまでの主な制度改正等について整理。
  - ・ 薬事法改正等の経過関係
  - ・ 医薬品行政組織の変遷関係

## 第4 薬害防止のための医薬品行政等の見直し

- 薬害の再発防止のための医薬品行政等の抜本の見直しを提言。
  - (1) 基本的な考え方
    - ① 医薬品行政に携わる者に求められる基本精神及び法の見直し、
    - ② 医薬品行政に係る行政機関の体制とこれに携わる人材の育成、
    - ③ 薬害教育・医薬品評価教育、④ 薬害研究資料館の設立、
    - ⑤ 専門家の育成と薬剤疫学研究等の推進

(2) 臨床試験・治験

(3) 承認審査

- ① 安全性・有効性の評価、② 審査手続、審議の中立性・透明性等、③ 添付文書、④ 再評価

(4) 市販後安全対策等

- ① 情報収集体制の強化、② 得られた情報の評価（新たなリスク管理手法の導入等）、③ リスクコミュニケーションの向上のための情報の積極的かつ円滑な提供と患者・消費者の関与、④ 副作用情報の本人への伝達や情報公開の在り方、⑤ 適正な情報提供及び広告による医薬品の適正使用、⑥ GMP調査、⑦ GVP、GQP調査、⑧ 個人輸入

(5) 医療機関における安全対策、(6) 健康被害救済制度

(7) 専門的な知見を有効に活用するための方策

(8) 製薬企業に求められる基本精神等

## 第5 医薬品行政を担う組織の今後の在り方

- 医薬品行政組織についての議論を整理
  - ・ 医薬品行政組織の一元化（国か独立行政法人か）などの論点を中心に議論。今年度は、職員に対するアンケート調査を実施。
  - ・ 最終的には国が責任を負う形とすることなど、組織の形態にかかわらず、医薬品行政組織の望ましい在り方を指摘。
- 第三者監視・評価組織の創設
  - ・ 薬害の発生及び拡大を未然に防止するため、医薬品行政に関わる行政機関の監視及び評価を行い、適切な措置を取るよう提言等を行う「第三者組織」の設置が必要。

## 第6 おわりに

- 提言実現のため、医薬品行政に関する総合的な基本法の制定を検討する必要があるとの意見があり、これも考慮されるべき。

## (2) 医療情報データベース基盤整備事業について

○現在の副作用報告制度においては、

①副作用の発生頻度が把握できない。

②類似薬との比較が困難

③罹患している病気による症状との区別ができない

など、得られる情報に限界がある。

○このため、全国の大学病院等5箇所にも1,000万人規模のデータを収集するための医療情報データベースを構築するとともに、医薬品医療機器総合機構に情報分析システムを構築し、医薬品等の安全対策を推進する。

# 医療情報データベース基盤整備事業

(平成23年度予算案(国費) 3.7億円※)

※ 費用負担:国50%/ (独)医薬品医療機器総合機構50% 総額7.4億円

全国の大学病院等5か所に1,000万人規模のデータを収集するための医療情報データベースを構築するとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構に情報分析システムを構築し、医薬品等の安全対策を推進する。

