

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 第2回要望募集について（案）

1. 基本的な考え方

- ✓ 医薬品の医療上の必要性とエビデンスの有無は表裏一体の部分がある。
- ✓ 第2回要望募集においては、検討会議における作業を円滑に進めるためにも、エビデンスの収集にこれまで以上に要望者に協力いただくことが重要。
- ✓ 希少疾病などにおいては、治験症例数の確保の点で複数の治療薬の開発を同時に進めることが困難な場合もあることから、学会等の要望者には、疾患全体を見渡す広い視野を持ち、優先順位をつけて要望していただくことが適当。

2. 要望募集の対象について

- ① 欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）での承認を要件とする。
※EUで中央承認されているものは、英、独、仏における承認があるものと見なす。
- ② 適応外薬については、これまで公的保険適用を受けている場合についても要望対象としていたところであるが、公的保険適用の確認をやめ、その代替として一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されていることを確認するため、広く医師が参照する学会又は組織のガイドライン及びその根拠となる文献の提出を義務づける。なお、当該資料の提出がない場合には要望対象外として取り扱うこととする。
- ③ 要望は、前回と同様に、学会、患者団体、個人のいずれからでも受け付ける。
- ④ 要望提出の段階で要望者からエビデンスを提出していただく。ただし、患者団体、個人が要望する場合は関連する学会を指定してもらうこととし、当該学会には医療上の必要性に関する意見を聴くこととするとともに、エビデンスの収集についても可能な限り協力いただく。
→医療上の必要性の評価に、どの程度エビデンスがあるのかが必要。また、必要性の検討を円滑に進めて行くために、早い段階でエビデンスを提出いただくことが適当であるため。
- ⑤ 第1回要望の際に医療上の必要性が高いと判断されなかった品目については、第1回要望の評価時点では報告されていなかった新たなエビデンスを追加して要望するようお願いする。
- ⑥ 小児に関する要望の場合には、その旨を明確にしてもらうこととし、小児への使用に関するエビデンスを収集いただくこととする。

⑦ 医療上の必要性が高いものとは、以下の（１）及び（２）のそれぞれについて、ア、イ、ウのいずれかに該当するものとする。

（１）適応疾病の重篤性

- ア 生命に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

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等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 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬 第2回要望募集の流れ

