

平成23年11月16日

委員 長野 明

委員 藤原 昭雄

日薬連発第571号

平成23年9月14日

厚生労働大臣 小宮山 洋子 殿

日本製薬団体連合会

会長 庄田



薬事法等の医薬品制度改正に係る要望書

日頃より当連合会の活動にご支援賜り厚く御礼申し上げます。

医薬品業界は、優れた医薬品を開発・供給することにより国民の福祉と医療の向上に貢献し、健康で質の高い生活の実現に寄与するという使命の下、革新的新薬の研究開発と上市、研究開発から製造販売後まで一貫した安全対策などの課題解決に向け、鋭意取り組みを行っています。

さて、今般の薬事法等の医薬品制度改正に係る検討に合わせて、別紙のとおり医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認に関する事項、医薬品等関係者の安全対策への取組みの促進に関する事項についての医薬品業界からの要望書を提出します。また、現行薬事法に関する改正への要望についても、その他薬事制度に関する事項としてあわせて提出します。

要望書の趣旨、内容をご理解の上、ご対処のほどよろしくお願い申し上げます。

I 医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について

I-1. 希少疾病用医薬品の指定・開発について

【背景】

わが国では希少疾病用医薬品には助成金の支給等種々の支援を行い、制度面から研究開発を促進しているが、現状、欧米に比してその研究開発は遅延している。医薬品等制度改正検討部会における論点の一つとして「医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認」が挙げられ、希少疾病用医薬品の開発が積極的に行われるよう制度の見直しを図る必要があるのではないかと議論が行われている。

【要望】

1) 希少疾病用医薬品指定申請書提出までの当局検討期間の短縮

指定相談後の指定申請書案提出から実際に指定申請書を提出するまでのプロセスについてタイムスケジュールを明確にし、数ヵ月から数年を要している現状を改善し、短期間で処理する。

2) 指定相談組織の再構築

審査管理課（全体の窓口）、PMDA 審査チーム（実質の資料評価）、基盤研（助成金関連）及び薬食審（諮問機関としての審査）という複数の組織が関与することによる指定審査の非効率な面を改める。

例えば、審査形態として欧米には希少疾病（オーファン）に特化した以下のような組織がある。

FDA : Office of Orphan Product Development

EMA : Committee for Orphan Medicinal Products

3) 対象患者数の見直し

現在、指定の基準として薬事法施行規則に対象者数の上限は「5万人」と規定されているが、米国では「20万人」である。欧米でオーファン指定され開発が進められるものが日本では対象患者数の基準のために指定されない場合、世界同時開発はもとより日本での開発が困難となるので、対象者数の上限を見直す。

4) 開発の可能性の要件見直しと指定時期の早期化

指定手続きにおいて、「海外で既承認となっていること」、「第Ⅱ相臨床成績の提出」までが求められる場合があり、指定時期が欧米より遅れる要因となっている。指定時期の遅

れはドラッグ・ラグの要因となることから、指定要件の見直しを行うなど、欧米と同様の時期に指定する。

5) 医療上の必要性の見直し

医療上の必要性として設定されている「既存の医薬品等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」については、先行品でオーファン効能での承認が得られた後は、その疾患に対する新たな治療薬のオーファン指定がほとんど受けられず、当該疾患に罹患している患者において異なる治療の選択肢が供与されない状況になっている。患者の不利益を避けるため、「既存の医薬品等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」の基準については、「治療の選択肢として一定の有効性が期待できる等」といったものに改める。

6) 対象患者数のより少ない希少疾病用医薬品の開発に対する支援

対象患者数が極端に少ないいわゆるウルトラオーファンのような医薬品に関しては、開発を促進するために、特別な開発支援策（公知申請を可とするなど）を講じる。

7) ベンチャー等に対する助成の拡大

希少疾病用医薬品の開発を手がけるベンチャー企業に対しては、現状以上の開発支援（手数料の減額等）を実施する。

8) 助成金交付事務手続きの簡素化

希少疾病用医薬品の助成金を受けた場合の実績報告等にかかる事務手続きが非常に煩雑であるため、この作業に関し事務作業の簡素化を検討する。

I-2. 医薬品アクセス制度について

【背景】

薬害肝炎検証検討委員会最終提言では、個人輸入の課題に対して「人道的な医薬品の使用手続きの国内導入等の例外的使用システムを構築すべき」であるが、「その構築すべきシステムでは、一方では患者に対する上記未承認薬への例外的なアクセスの要望と、他方では患者の安全性確保や製造販売承認に必要な科学的に評価可能な臨床試験の円滑な実施を妨げないこととの過不足のないバランスを保持する必要がある。」とあり、国内未承認（外国既承認）薬の使用に当たっては、例外的アクセスの要望、患者の安全性確保、治験の円滑な実施の三者のバランスの必要性が指摘されている。

【要望】

1) 対象疾患及び対象療法の範囲

平成 22 年に開始された医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で示された医療上の必要性の評価の基準における疾病の重篤性及び医療上の有用性の定義に準じて、有効性・安全性が確立されていない外国治験中薬剤は対象外とし、以下の条件を満たすよう要望する。

- (1) 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）、又は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
- (2) 既存の療法が国内にない、又は有効性・安全性等が既存療法と比べて明らかに優れていることが示され、当該疾患に対する適応が欧米では既に承認されている医薬品

2) 対象薬剤の範囲

国内で承認されていない医薬品へのアクセスの改善を第一の目的とし、提供する薬剤（以下、アクセス薬とする。）の範囲については以下のように要望する。

- (1) 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議のような国による一定の評価を経て医薬品アクセスの対象として選ばれた国内未承認医薬品を対象とするが、国内既承認医薬品の適応外の効能・効果及び用法・用量については対象としない。
- (2) 欧米で既承認の適応症について国内で治験実施中又は承認申請中の薬剤に限定し、その提供を当該製薬企業が受け入れた場合にのみ提供可能とする。

3) 詳細な制度設計への要望事項

患者の安全性確保及び治験への影響も考慮した上で、アクセス薬の提供を行う場合の条件として以下のように要望する。

- (1) 提供先の医療機関

提供先は以下のすべての条件を満たす医療機関に限定する。

- ①当該品目の治験実施施設あるいは治験実施可能なインフラを有し当該治療の専門医が所属する施設
- ②医薬品アクセスに関する倫理的・科学的な審査が可能な施設
- ③患者への文書による説明及び同意の取得が可能な施設
- ④当該品目の使用により生じた副作用の当局及び提供企業への適切な報告並びに届出等の必要な手続きに同意した施設

(2) 提供の期間

当該品目の国内発売日の前日迄とする。

(3) 提供の中止

以下の場合には患者の不利益を勘案し、アクセス薬の提供を中止できるものとする。

- ①継続提供を危ぶむ何らかの安全性上の問題が生じた場合（例えば、欧米における承認の取り消し、開発中止、国内治験の中止など）
- ②代替薬・代替治療が可能となる等の妥当な理由が生じた場合

(4) アクセス薬費用の負担

費用は受益者負担とし、提供企業はその費用を医療機関等へ請求可能とする。アクセス薬費用算定ルールは別途検討する。

4) その他の要望事項

以下の三点を要望する。

(1) 医薬品アクセス制度における届出や副作用報告の法制化

医薬品アクセス制度では治験制度の枠組みの外で国内未承認医薬品を提供することになるため、使用届出のような制度を新設する必要があると考える。さらに、医薬品アクセス制度において生じた副作用報告システムの新設も検討が必要である。

(2) 重大な副作用被害に対する責任の明確化

安全性を十分に担保できない製造販売承認取得前の提供となることから、重大な副作用被害が生じた場合においても、明らかにアクセス薬の品質不良が原因である場合を除き、自己責任が原則であることを医師から患者へ十分に事前説明を行い、文書による同意取得がなされることを規定する。

(3) 迅速な承認審査

アクセス薬は、選定の前提として医療上の必要性が高く迅速なアクセスが強く求められていることから、その承認審査は速やかに行われるべきであり、例外なく優先審査品目として審査を行う。

