

オーファンドラッグ制度の概要 及び 最近の検討状況等について

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かかわらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器の開発を支援する。

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・医療機器又は治療方法がないこと、又は既存の医薬品・医療機器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・医療機器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・
医療機器を指定
(薬事法第77条の2)

支援等の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施 <PMDA>

総審査期間の中央値 ⇒ 新医薬品（優先品目）9ヵ月（通常品目は12ヵ月）
(平成23年度PMDA目標) 新医療機器（優先品目）は15ヵ月（通常品目は20ヵ月）

申請手数料の減額

試験研究費への助成金交付 <医薬基盤研究所>

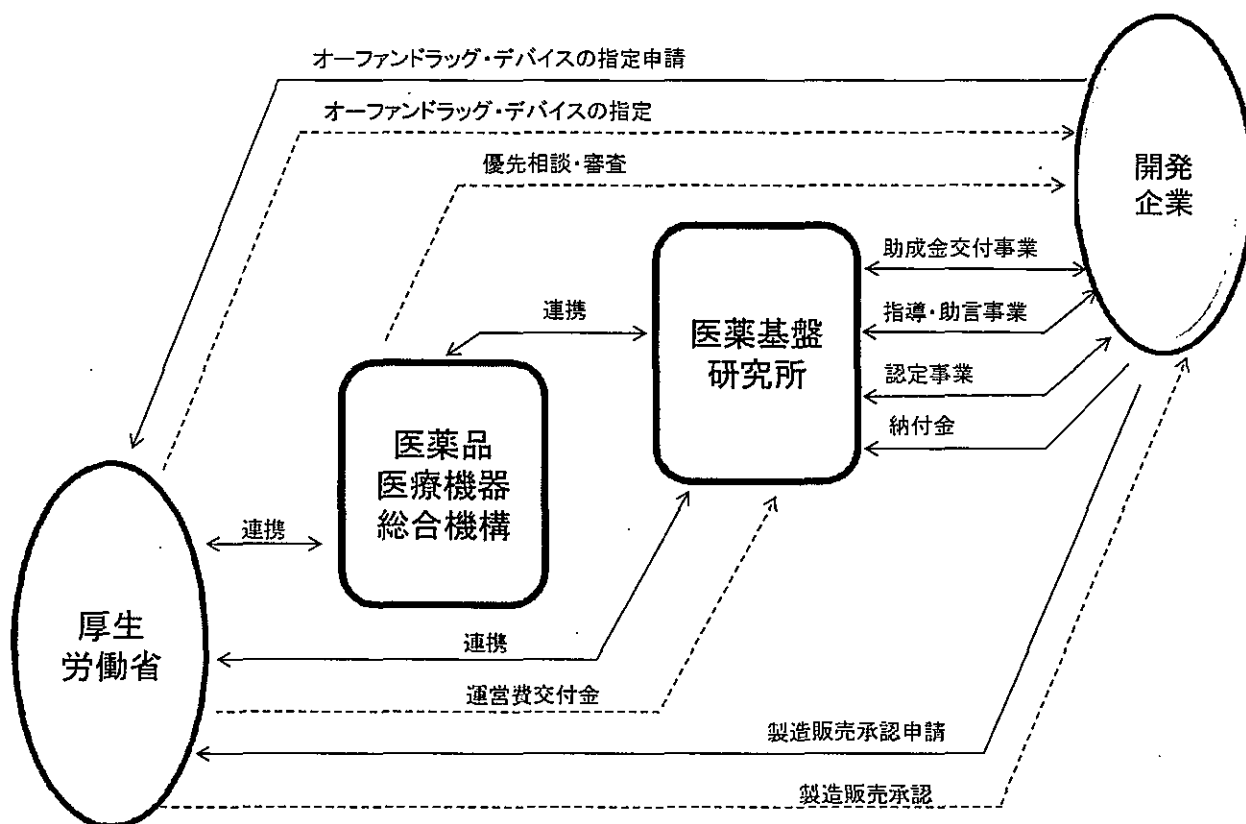
指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

税制措置上の優遇措置 <医薬基盤研究所による認定>

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。

研究開発に関する指導・助言 <医薬基盤研究所>

希少疾病用医薬品・医療機器の指定から製造販売承認までの流れ



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

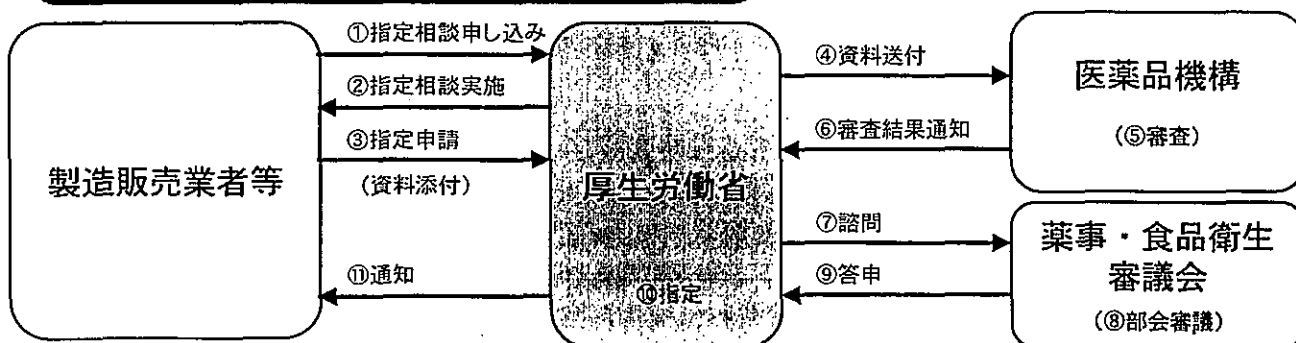
理論的根拠に関する資料 (入手可能な範囲で)

・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

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



希少疾病用医薬品・医療機器の指定年度別の承認取得、開発、指定取消の状況 (平成23年3月31日現在)

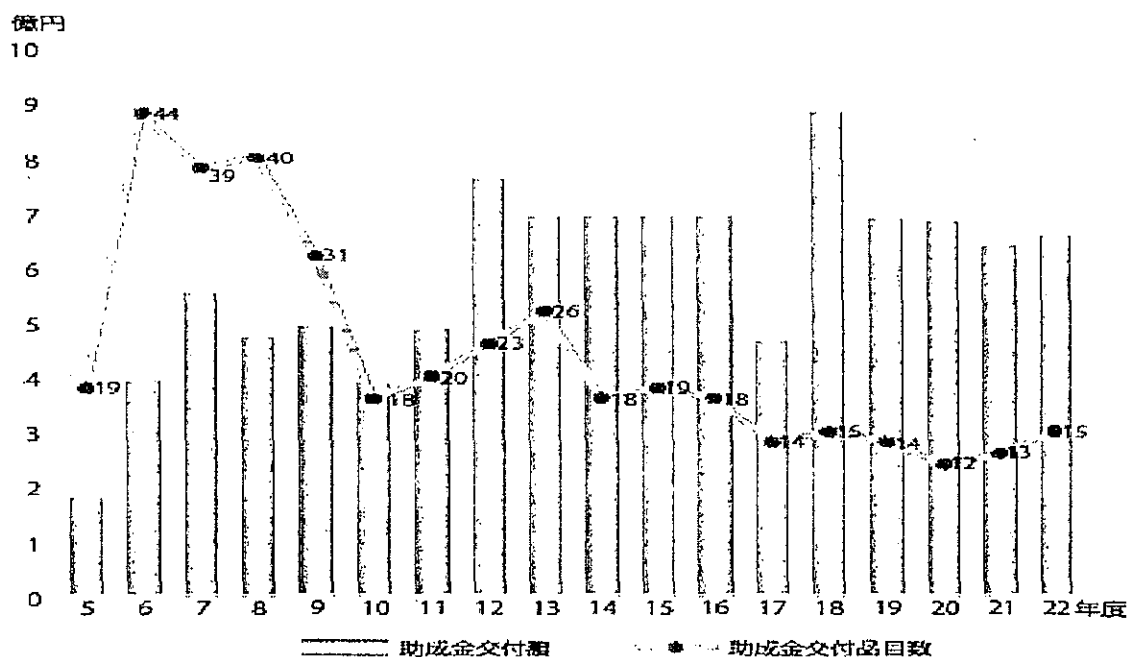
年度 (平成)	医薬品(品目数)				医療機器(品目数)			
	指定	承認	開発中	取消	指定	承認	開発中	取消
5	40	33	0	7	2	2	0	0
6	29	18	1	11	0	0	0	0
7	11	7	0	4	2	1	0	1
8	28	22	1	6	1	0	0	1
9	4	2	1	1	0	0	0	0
10	13	9	1	3	0	0	0	0
11	14	12	1	1	2	2	0	0
12	9	8	1	0	1	0	0	1
13	8	4	2	2	2	2	0	0
14	5	5	0	0	0	0	0	0
15	7	6	1	0	0	0	0	0
16	11	8	2	1	0	0	0	0
17	3	2	1	0	2	1	1	0
18	17	13	3	1	0	0	0	0
19	8	6	2	0	1	1	0	0
20	16	7	9	0	5	1	4	0
21	4	1	3	0	3	0	3	0
22	15	0	15	0	1	0	1	0
合計	242	163	44	37	22	10	9	3

※ 指定を受けた後、開発途中で、合併などにより指定を受け直した場合は最初の指定年度で集計。

※ 複数の効能・効果で指定を受けたもので、製造販売承認を受けた年度が異なる場合など、製造販売承認年度が複数存在する場合は、最初の製造販売承認年度で集計。

希少疾病用医薬品・医療機器への助成金交付状況

平成5年の制度発足以降の推移



医薬基盤研究所による助成金交付事業について

助成対象

厚生労働大臣から指定を受けたオーファンドラッグの研究開発に助成金を交付。助成対象は、指定を受けた日以降、承認申請までに行われる試験研究の費用であるものの、指定を受けたからといって助成金交付を受ける義務を課すものではない。

助成経費

オーファンドラッグに関する試験研究を遂行するため直接必要な経費。

助成額

運営費交付金の範囲で、助成金の交付対象となる経費の50%に相当する金額を限度とする。なお、人件費は経費総額の3割を限度。

しかしながら、平均助成率は平成21年度で36.9%、平成22年度は38.2%で40%を下回っている状況。

助成期間

助成金の交付が開始された事業年度から原則として3事業年度。

オーファンドラッグ開発振興事業における医薬基盤研究所の支援

オーファンドラッグ開発振興事業には、幅広い研究開発動向に関する知識を持った専属のプログラムオフィサー(PO)^注が開発初期段階から承認申請に至るまで、支援することで効率的な開発を行うことが可能になります。

注: プログラムオフィサー(PO)とは

医薬品や医療機器の開発に必要な専門知識を持つ6人のPOが働いています。すべて公的研究機関や製薬企業での基礎医学研究や研究開発の経験者です(医学、薬学あるいは工学博士)。セミナーや学会に出席して常に研究開発の動向を把握し、広い人的ネットワークを持っています。



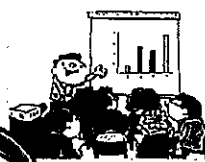
基盤研プログラムオフィサー(PO)の仕事

1. 助成金交付申請書の審査(5月、12月)



開発企業が提出してきた助成金交付申請書の内容を審査します。

4. 試験研究実施報告書の審査(3月)



1年間の開発状況を審査し、次年度も継続して助成するかどうかを判断します。

2. 開発企業からのヒアリング(6月、1月)



開発企業から直接話を聞き取り、事業内容の妥当性を評価します。

3. 進捗状況の現地調査(9月～10月、1月～2月)



開発企業を直接訪問して、開発の進捗状況を調査します。



いわゆる難病※に対する治療薬の開発状況

(※ 難治性疾患克服研究事業の臨床調査研究分野が対象としての130疾患)

開発状況	件数/139疾患	主な稀少難病疾患
日米欧共に開発されている疾患	24/139	骨髄異形成症候群、発作性夜間ヘモグロビン尿症、肺動脈性高血圧症、加齢性黄斑変性症、先端巨人症、潰瘍性大腸炎、ファブリー病、ポンベ病、ムコ多糖症Ⅵ型、多発性嚢胞腎など
日本でのみ開発されている疾患	9/139	再生不良性貧血、中枢性摂食異常症、脊髄小脳変性症、亜急性硬化性全脳炎、難治性ネフローゼ症候群など
欧米でのみ開発されている疾患	29/139	血栓性血小板減少性紫斑病、アミロイドーシス、骨髄線維症、ニーマン・ピック病、異染性白質変性症、ミトコンドリア病、若年性肺気腫、腭嚢胞線維症、表反水痘症など
日米欧共に開発されていない疾患	77/139	自己免疫性溶血性貧血、バージャー病、致死性家族性不眠症、線条体黒質変性症、有棘赤血球舞踏病、ペルオキシソーム病、難治性視神経症、メニエール病、肥大型心筋症、肺リンパ管筋腫症、先天性魚鱗剥離様紅皮症、色素性乾皮症、IgA腎症など

出典：JPMA News Letter No.142 (2011/03)

未承認薬・適応外薬解消に向けての検討について

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。

未承認薬・適応外薬に係る要望の公募を実施。募集期間は2009年6月18日から、8月17日まで。

<公募した要望の条件>

○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、患者団体等】 未承認薬・適応外薬に係る要望

→ 205の団体・個人から
651の要望。重複をまとめると
374件※の要望(未承認薬89件、
適応外薬等285件)
※昨年10月に承認済の2件を除く

【製薬企業】
要望に係る見解の提出
(2009年11月、2010年2月)

医療上の必要性を評価

医療上の必要性の
高い未承認薬・適応
外薬検討会議

WG(分野ごと検討)

企業に開発要請
第1回91件
(5月21日)
第2回72件
(12月13日)

開発企業を募集
19件
※うち1件は開
発要請に切替え

【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

- ・希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- ・公知申請への該当性の妥当性を確認
- ・承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

検討会議では引き続き医療上の必要性の評価を行い、企業への開発要請又は開発企業の募集につなげる。

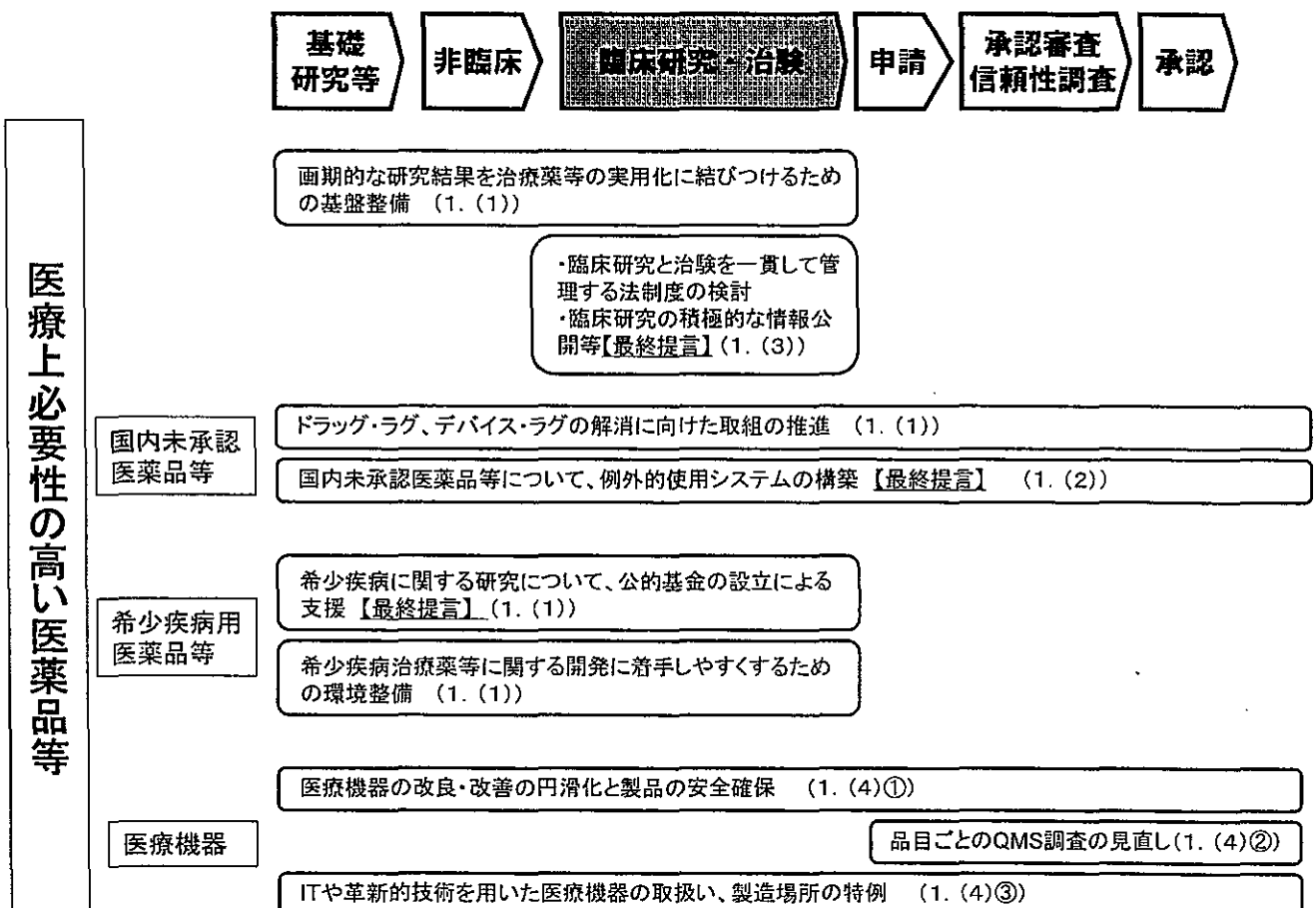
10

医療上必要性の高い医薬品等の 迅速な承認等について

- (1) 医療上必要な医薬品・医療機器の承認審査、開発について
【最終提言で指摘（一部）】
- (2) 医療上必要な医薬品・医療機器へのアクセスについて
【最終提言で指摘】
- (3) 臨床研究のあり方について
【最終提言で指摘】
- (4) 医療機器の特性を踏まえた制度のあり方について
 - ① 改良・改善の円滑化と製品の安全確保
 - ② 品目ごとのQMS調査の見直し
 - ③ その他

第3回厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会（平成23年5月27日）資料1より抜粋

医療上必要性の高い医薬品等の各開発ステージにおける論点



(1) 医療上必要な医薬品・医療機器の承認審査、開発について

【最終提言で指摘（一部）】

1. 論点

- 欧米で使用されている医薬品・医療機器を我が国でも早期に使用できるようにするという観点から、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に向けたより一層の取組を進めるべきではないか。
- 希少疾病に関する研究については、薬剤疫学研究等の促進とともに、公的基金の設立による支援が検討されるべきである。【最終提言で指摘】
- 希少疾病に関して、患者数が極端に少ないなど特に治療薬等の開発が困難な分野については、開発に着手しやすくするための、さらなる環境整備が必要ではないか。
- 画期的な研究成果を治療薬の実用化にむすびつけるための基盤整備が必要ではないか。

2. 現状（次頁に続く）

- ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ解消に向けたこれまでの対策として、PMDAの審査人員の増員、全ての治験相談にタイムリーに対応できる体制の整備、事前評価相談制度の導入、ガイドラインの策定等による審査基準の明確化などの取組を進めている。
- また、これらに加えて、
 - ・ 世界に先駆けた革新的医薬品等創出に向け、ベンチャー・アカデミア等の優れたシーズを実用化につなげるための薬事戦略相談の創設
 - ・ 世界で先行している未承認薬等への対応として、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に基づく企業への開発要請、このうち薬事・食品衛生審議会で公知申請で差し支えないとされた適応外の効能等について、承認を待たず保険適用とする取組
 - ・ 医療機器については、「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」において、学会等からの要請をもとに早期導入に向けた品目の選定を実施している。
- 医薬品等の承認に係る薬事・食品衛生審議会における手続きについて、安全性の適切な評価や透明性の確保を図りつつ、効率的な運用が求められており、部会審議の充実等を図った上で、分科会／部会の審議の対象範囲の見直しを行ったところ。

2. 現状（前頁より続く）

- 希少疾病用医薬品・医療機器は、薬事法第77条の2に基づき、①対象患者数 ②医療上の必要性 ③開発の可能性を要件として、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて指定している（一般的に、治験（探索的試験）結果をもとに指定の可否を判断）。
- 希少疾病用医薬品・医療機器の指定を受けることにより、開発者は、独立行政法人医薬基盤研究所（以下、「医薬基盤研究所」）による試験研究に関する指導・助言及び助成金の交付、税制上の優遇措置、PMDAによる優先的な治験相談・審査の実施、申請手数料の減額等を受けることが可能となる。
- 医薬基盤研究所が行う希少疾病用医薬品・医療機器に係る業務については、昨年度の事業仕分けの結果を踏まえた「独立行政法人の事務・事業の見直しの基本方針」（平成22年12月7日閣議決定）において、「平成23年度から国による実施スキームを構築する」こととされた。

3. 留意点

- さらなるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に向けて、有効性や安全性の評価を十分に行い、開発期間や審査期間の短縮のために、審査や調査手続きについて一層の効率化を図るべきではないか。
- 細胞・組織加工製品（いわゆる再生医療製品）など、先端技術を用いた製品の開発初期段階からの開発支援のために、薬事戦略相談の強化・拡充が必要ではないか。
- 先端技術を実用化につなげるために標準的な試験方法や評価の基準等を示した各種ガイドラインの策定等が求められるが、先端技術に対応した適切なガイドライン策定の基盤として、レギュラトリーサイエンス研究を充実させることが必要ではないか。
- 希少疾病用医薬品・医療機器の更なる開発促進のため、試験研究に関する指導・助言体制を充実させるとともに、助成金額の拡充や患者数等に応じた助成率の引上げ（現在は直接的な試験研究費の1/2が限度となっており、また、予算上の制約のため、実際の平均助成率は平成21年度で36.9%、平成22年度で38.2%にとどまっている。）が必要ではないか。
- 医療上の必要性の高い医薬品・医療機器については、早期の段階から開発を支援するため、希少疾病用医薬品・医療機器指定制度の柔軟な運用や、開発者を幅広く支援する観点から、法的措置を視野に入れた新たな制度について検討してはどうか。

【（１）に関連する条文等】

○薬事法（昭和３５年法律第１４５号）（抄）

（医薬品等の製造販売の承認）

第十四条

（略）

- 7 厚生労働大臣は、第一項の承認の申請に係る医薬品又は医療機器が、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器その他の医療上特にその必要性が高いと認められるものであるときは、当該医薬品又は医療機器についての第二項第三号の規定による審査又は前項の規定による調査を、他の医薬品又は医療機器の審査又は調査に優先して行うことができる。

（略）

（指定等）

第七十七条の二 厚生労働大臣は、次の各号のいずれにも該当する医薬品又は医療機器につき、製造販売しようとする者（本邦に輸出されるものにつき、外国において製造等をする者を含む。）から申請があつたときは、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、当該申請に係る医薬品又は医療機器を希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器として指定することができる。

一 その用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しないこと。

二 申請に係る医薬品又は医療機器につき、製造販売の承認が与えられるとしたならば、その用途に関し、特に優れた使用価値を有することとなる物であること。

- 2 厚生労働大臣は、前項の規定による指定をしたときは、その旨を公示するものとする。

（資金の確保）

第七十七条の二の二 国は、前条第一項各号のいずれにも該当する医薬品及び医療機器の試験研究を促進するのに必要な資金の確保に努めるものとする。

（税制上の措置）

第七十七条の二の三 国は、租税特別措置法（昭和三十二年法律第二十六号）で定めるところにより、希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の試験研究を促進するため必要な措置を講ずるものとする。

○薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について （平成５年８月２５日付け厚生省薬務局長通知 薬発第７２５号）

第二 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定等に関する事項

1 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定

（１）指定の基準

法第七十七条の二第一項の規定による希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療用具（以下「希少疾病用医薬品等」という。）の指定は、指定の申請に係る医薬品又は医療用具（以下「医薬品等」という。）につき、次のいずれの要件にも該当するものについて行うものであること。

ア 対象者数

当該医薬品等の用途に係る対象者（感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品にあつては、当該申請時において当該医薬品につき、製造販売の承認が与えられたならば、その用途に使用すると見込まれる者。）の数が、本邦において五万人未満であること。

イ 医療上の必要性

当該医薬品等の製造又は輸入の承認が与えられたならば、その用途に関し特に優れた使用価値を有することとなること。

なお法第七十七条の二第一項第二号の「特に優れた使用価値を有する」とは、いわゆる難病など重篤な疾病を対象とするとともに、次のいずれかに該当するなど、特に医療上の必要性の高いことをいうものであること。

（ア）代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと。

（イ）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。

ウ 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理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められること。



希少疾病用医薬品等の開発支援

2億円【要望】

オーファンドラッグ
とは

患者数が全国で5万人未満のまれな疾患

開発企業にしてみると、せっかく開発して
医薬品・医療機器を上市してもあまり売れない

国として支援策

開発企業が開発を足ふみしてしまう

平成5年度以降実施してきたスキーム
助成金交付(3事業年度で上限:50%)、
指導・助言、税制上優遇

さらに強力な支援が必要

それでも、開発が進まないものがある。
また、今後、
従来の規制枠にとらわれない品目(長期間助成が必要)や
人道的配慮から審査中も承認まで続く継続試験の費用、
品質確保のための不可欠な安定性試験の費用も
支援しないと開発が減速する。

特に患者数が少ない
ウルトラオーファンの
開発には極めて消極的

患者は一刻も早く医薬品・医療機器が
承認・販売され、使えることを強く切望している。

事業の助成スキーム(ウルトラオーファンを開発する企業への助成を強化する。)

ウルトラオーファンに該当する品目:対象患者数が百から数千人単位となる等の医薬品・医療機器
従来の希少疾病用医薬品等試験研究助成金では、平成22年度実績において
4品目(医薬品3品目、医療機器1品目)が該当し、臨床試験を中心に助成して合計約1億円交付。
但し、平均助成率は38.2%で上限50%に届かず。
一方、試験研究実施者(開発企業)からは臨床前段階の品質に係る試験や非臨床試験に広げ、
さらに、製造販売承認申請後、承認されるまでの間に実施される患者に供給を前提として行われる
継続試験や品質に係る安定性試験にも助成を望む要望あり。

医薬品・医療機器の開発スキーム

1. 開発初期段階の
品質試験や非臨床試験
(薬理、動態、毒性等)
の費用が総額に占める
割合増加。

従来の希少疾病用医薬品等試験研究助成金
では主に臨床試験を助成対象にしてきたが、
平均助成率は上限50%に届かない状況。

ウルトラオーファンの助成率50%へ 戻す

とりわけ、
2. 再生医療分野では、
第Ⅰ・Ⅱ・Ⅲ相試験という
既存の区別が難しい治験が
長期間実施されることも。

ウルトラオーファン
これまで
特別扱いできず
約1億円。

H22年度実績:
助成率38.2%

1. 承認されるまでの間、患者に
供給を前提として行われる継
続試験の費用
2. 品質に係る安定性試験の
費用

さらに、
3. 規制当局から指示された追
加試験の費用

オーファン

指定 再生利用分野等にみられる
指定時期の繰り上がり傾向
(早期指定)

オーファン

指定 これまで原則3事業年度助成

製造販売
承認申請

審査期間

承認
薬価収載

継続試験 → 臨床現場

薬事法等制度改正についてのとりまとめ

平成24年1月24日

厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会

はじめに

- 薬害肝炎事件を踏まえ、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及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」（以下「肝炎検証・検討委員会」という。）が厚生労働省に設置された。肝炎検証・検討委員会は、約2年にわたり議論を重ね、一昨年4月に「最終提言」が取りまとめられた。
- この「最終提言」には、医薬品・医療機器等の承認時及び販売後における安全対策の充実強化、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、多岐にわたる貴重な提言が盛り込まれている。
- 厚生科学審議会では、平成23年2月に医薬品等制度改正検討部会（以下「検討部会」という。）を設置し、本検討部会で「最終提言」を踏まえ、医薬品・医療機器等の安全対策の強化について議論してきた。
また、医薬品・医療機器等は患者の生命や健康を守るために必要不可欠なものであり、新しい医薬品・医療機器等を一日も早く日々の診療に使えるようになることを望む多くの患者・医療関係者がいることを踏まえ、医療上の必要性の高い医薬品・医療機器等を速やかに使用できるようにするために必要な制度改正事項についても議論してきた。
- この「とりまとめ」は、平成23年3月から本検討部会において計10回にわたり議論してきた事項をとりまとめたものである。特に、法律改正を必要とする事項については、関係機関等との調整を速やかに行い、今後、厚生労働省において具体的な法制化の作業を進めて行くことを強く期待する。
- 一方、法律改正を必要としない事項についても、厚生労働省は、運用の改善も含めた検討を迅速に進めていくべきである。
- また、本検討部会においては医薬品・医療機器等に関わる幅広い課題について議論を重ねてきたが、その中には当面の制度改正にとどまらず、更なる

検討の上で制度改正に取り組むべきものも多く含まれている。さらに、国際的な規制動向や医薬品・医療機器開発を支える技術が日々進展している状況に対応し、不断の制度的な取組を続けていかねばならない。

- 今後の社会経済環境の変化や技術開発の動向に合わせて、それらの動きに遅れることがないように、厚生労働省は、医薬品・医療機器等の有効性及び安全性を適切に評価し、迅速に医療現場で使用できるように制度の在り方を不断に見直し、必要に応じて改めていくことが必要である。
なお、このような見直し等により我が国が直面している少子高齢化社会における医療の充実、国民福祉の向上にもつながっていくことを期待する。
- また、最終提言には、健康被害救済制度についても言及があったが、現行の医薬品副作用被害救済制度において対象外とされている抗がん剤等の副作用による健康被害の救済については、別途「抗がん剤等による健康被害の救済に関する検討会」が設置されているところであり、当該検討会において、議論を尽くすことを期待する。

I 医薬品・医療機器等関係者の安全対策への取組の促進について

【基本的考え方】

- 肝炎検証・検討委員会がとりまとめた「最終提言」では、サリドマイド、スモン、HIV感染、更にはC型肝炎ウイルス感染など度重なる薬害問題を再び起こさないように真摯かつ詳細に議論された貴重な提言がなされている。
- 本来、人の命を守るための医薬品・医療機器等については、完全には避けることができない副作用等を最小化するために慎重に承認審査が行われることは当然であるが、市販後に新たなリスクとして、想定されない健康への影響が生じてても可及的速やかに対策を講じ、その被害を最小に食い止めるような制度が構築され、適切に運営されるべきである。
- 本検討部会においては、医薬品・医療機器等の安全対策の課題について議論してきたが、中でも、「最終提言」にある、添付文書の位置づけの問題及び医薬品行政の評価・監視組織、いわゆる第三者組織に関して集中して議論を行った。

- 添付文書の位置づけについては、その重要性に鑑み、国の監督権限を薬事法上明確にする必要性について確認し、その方法として、承認の対象とするか、企業に届出義務を課して国の改善命令と関連付けることを明確化するかについて議論を行った。

また、医薬品等の安全対策にとって、常に最新の知見が添付文書に迅速に反映されていくことを確保することが重要であるという点が確認され、情報提供の充実を含め、市販後安全対策を強化することの必要性が認識された。

- 第三者組織については、薬事行政に対する国民の信頼を回復し、度重なる薬害の再発防止のためには重要な組織であるため、最終提言で求められている権能を持ち、実際に機能する組織として、できる限り早く設置することを望む。

(1) 薬事法の目的規定等の見直し

- 薬事法は、医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器に係る規制に関する法律であるが、その規制がどのような社会的利益を実現するためのものであるかを明確にするため、目的規定に保健衛生上の危害の発生又は拡大の防止のために必要な規制を行うことを新たに定めるべきである。
- 併せて、薬害の再発を防止するため、以下のように、医薬品・医療機器等を製造・販売する者、医薬関係者、規制措置を講ずる国及び地方公共団体の責務を明らかにするとともに、医薬品・医療機器等を使用する国民の役割も明らかにすることが適当である。
 - ① 国は、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する施策を策定し、実施する責務を負うこと。
 - ② 地方公共団体は、国との適切な役割分担を踏まえて、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する施策を策定し、実施する責務を負うこと。
 - ③ 医師、歯科医師、薬剤師、看護師その他の医療の担い手は、医薬品・医療機器等を使用するに当たり、患者等に対して情報提供を行うよう努めること。
 - ④ 医薬品・医療機器等関連事業者は、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性を確保するために適切な措置を講ずる責務を負うこと。
 - ⑤ 国民は、医薬品・医療機器等の適正な使用や有効性及び安全性の確保に関する知識と理解を深めること。

なお、③の責務については、薬事法第77条の3の規定との整合性も踏まえ、医師等と同様に、薬局開設者、病院若しくは診療所の開設者に対しても規定するべきではないかとの意見があった。また、同じく③については、情報提供だけではなく、情報収集と活用の責務も設けるべきではないか、との意見もあった。

一方で、医師、医療関係者等のみならず患者等からも医療関係者等への情報提供を適切に行えることが重要ではないか、との意見もあった。

また、この責務規定の中で、「品質、有効性及び安全性」を「安全性、有効性及び品質」に変更すべきではないか、との意見もあった。

(2) 市販後安全対策の充実強化

① 市販後調査の充実と医薬品リスク管理制度の整備

- 医薬品・医療機器等の安全性の確保に当たっては、承認審査とともに市販後の安全対策が極めて重要である。承認までに得られる情報には自ずから限りがあることから、市販後臨床試験の実施などの市販後調査を必要に応じて実施するなど市販後に引き続き積極的な情報収集を進めることが製造販売業者に求められる。

また、大学等が主導する市販後の臨床研究・薬剤疫学等について、国による研究費補助金のみならず、製造販売業者も薬剤疫学研究実施に伴う再審査期間の延長等の活用等も含め、利益相反に留意し、透明性を確保しつつ、その充実に協力することが重要である。

- 薬事法第79条において、許可、認定又は承認には条件又は期限を付すこと及びそれを変更することができることとされており、医薬品等の承認時には、必要に応じて、市販後臨床試験の実施などの条件が付されている。これに加えて、許可後、認定後又は承認後においても、医薬品・医療機器等について、新たなリスクが判明した場合に適切に対応できるよう、条件又は期限を追加して付すことができる規定を新設するべきである。これにより、市販後に判明した新たなリスクに対し、より高い安全性が保たれた上での使用が可能となる。

- 厚生労働省においては、開発段階から承認審査を経て市販後にわたって医薬品のリスクを適切に管理するため、製造販売業者が『医薬品リスク管理計画』を策定してリスク監視のための調査やリスク最小化策を実施するための制度の検討を進めている。この制度を科学的かつ効果的に

活用するため、製造販売業者等が承認審査段階から行政と協議できる仕組みを構築することや、医薬品の使用者にもリスク管理の内容を理解しやすく情報提供することが重要であり、これらの方策について、さらに検討するべきである。

- 再評価制度については、今後、適時適切に医薬品のリスク評価を行うことができるような制度の運用の改善を図るべきである。

② 副作用報告等の収集・整理・分析の強化

- 医薬品・医療機器等の副作用等の情報は承認までに得られる情報は限られており、承認後に実際に使用されることにより、より多くの情報が得られることで明らかになることもあることから、市販後に、迅速かつ網羅的に安全性に関する情報を収集することが必要である。このために、厚生労働省では、平成23年度から大規模医療情報データベースの構築を開始しており、薬剤疫学手法に関する調査研究、人材の育成によりこれを活用する環境の整備を進め、安全対策の一層の推進を図ることが重要である。

また、大規模医療情報データベースの将来の拡充のためには、電子カルテ等の医療情報連携等が推進されることを期待する。

- 医薬品・医療機器等の副作用等の報告については、現在は、医薬関係者からは厚生労働大臣に、製造販売業者等からは独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に報告することとされている。こうした副作用等の情報の収集・整理については、収集窓口を一元化することが効率的であり、医薬関係者からの報告についても、製造販売業者等からの報告と同様に、PMDAに一元化するよう改めるべきである。

加えて、医薬関係者からより多くの報告を得られるように、医薬関係者による副作用報告制度（医薬品・医療機器等安全性情報報告制度）について、広く周知を促すような方策を引き続き実施すべきである。

- また、PMDAが実施している医薬品副作用被害救済制度において、救済給付の申し出を受けた副作用症例も貴重な情報であり、市販後の安全対策に活用すべきであることから、副作用救済給付を請求する者からの情報についても、PMDAにおいて副作用等報告症例としての整理対象とできるようにすべきである。

- 市販後に収集される情報については、PMDAにおいて分析し、安全対策

に活用されているが、現在進められているPMDAの安全対策部門の体制強化により、一層の分析能力の向上を図り、PMDAが医薬品・医療機器の安全対策により重要な役割を果たすことが期待される。また、特に新医薬品・新医療機器の市販直後の一定期間については、製造販売業者はPMDAと緊密に連携して、安全性の確保に引き続き努めるべきである。

- 分析・評価した情報は、医薬関係者に迅速に提供されることが重要であり、PMDAにより医薬品・医療機器等の安全性に関する情報を提供する医薬品医療機器情報配信サービス「PMDAメディナビ」の一層の利用促進を図るべきである。特に、「緊急安全性情報（イエローレター）」、「安全性速報（ブルーレター）」の配布に当たっては、平成23年10月よりその提供に関する指針が施行されたが、医学、薬学等の関係団体、関係学会などとの連携も図り、医薬関係者への情報提供がより迅速に徹底されるよう努めるべきである。また、医療機関の開設者、医師、歯科医師、薬剤師等の医薬関係者は、医薬品・医療機器等の適正な使用のために必要な情報の収集に努め、患者への適切な情報提供が行われるよう努めるべきである。

（3）添付文書の位置づけ等の見直し

- 添付文書は、医薬品を適正に使用するための情報を医療現場に伝達する手段として最も基本的なものであり、常に最新の知見に基づいて作成されるべきものであることから、製造販売業者にその義務を課す規定を新設する必要がある。

- 本検討部会においては、添付文書の内容に対する国の責任をより明確にするという観点から、

- ① 添付文書を承認制度の対象とする場合
 - ② 企業に添付文書の届出義務を課して国等が監督する場合
- について議論された。

- ①については、
 - ・ 薬害の再発防止のためには、製薬会社の作成した添付文書案が不適切である場合には、厚生労働大臣が承認を拒否できることを明確にすべきではないか
 - ・ 国の責任をより明確にできるのではないか
 - ・ 薬事法施行規則第47条の定める軽微変更手続や欧米の制度などを参考

に、添付文書改訂について一部変更承認手続によらない簡略な手続を設けることによって、迅速な改訂の要請にも応えることができるのではないかと、

- 添付文書を承認の対象としたとしても、安全性に関して「明確な根拠をもって検証されている情報だけを記載させる」ことが法的に要求されるわけではなく、むしろ安全性に関する十分な情報を提供することが求められるようになるのではないかと

- 添付文書を承認の対象としたとしても、添付文書の医師に対する法的効果は従前と変わりがないから、医療現場の萎縮や医師の裁量を狭めるなどの問題は生じ得ないのではないかと

- 欧米では承認制度に位置付けているが問題は起こっていないのではないかと

とする意見があったが、

- 添付文書の内容のうち特に「使用上の注意」については、承認制度の対象となっている「効能又は効果」や「用法及び用量」と異なり、十分なデータがない場合であっても危険性が否定できないという理由で一定の記載を行う場合があり、より柔軟な性格をもっていることから同じ承認制度の対象とすることは馴染まないのではないかと

- 承認制度の対象とした場合、改訂のための承認審査に一定の時間を要することからリスクに柔軟かつ臨機応変に対応できないおそれがあるのではないかと

- 現場の医師は「使用上の注意」以外の使用方法では使用しない等の萎縮が起こるなど、医師の裁量を狭め、患者の医薬品アクセスを狭めるおそれがあるのではないかと

等の意見が多かった。

さらに、欧米の実態及び制度との比較について、以下のような意見もあった。

- 日本の添付文書改訂は、欧米と比較しても迅速に対応が行われており、迅速性を損なわないようにすべきではないかと

- 承認の内容に対する法的責任や保険上の取扱い等の違いから、欧米と日本の承認制度を必ずしも同様に考えることはできないのではないかと

○ 一方、②であっても、国等が改善命令を出す権限が明確であれば、①と②で国の責任について大きな違いがないのではないかとする意見があり、この視点から、以下のように制度を改めることが適当であるとする意見が多かった。

- 医薬品・医療機器等の製造販売業者等に、承認申請時に添付文書案及び

それに関する資料を厚生労働大臣に提出する義務を課すよう改めること。

- 医薬品・医療機器等の製造販売業者等に、製造販売前及び改訂の際に、添付文書又はその改訂案を厚生労働大臣に予め届け出る義務を課す規定を新設すること。

なお、届出の対象となる品目については、そのリスク等を踏まえて検討するべきである。

○ 添付文書について、現行薬事法においては、「これに添附する文書又はその容器若しくは被包」に「用法、用量その他使用及び取扱い上の必要な注意」等を記載することとされているが、近年の情報処理技術の進展を踏まえ、CD-ROM等の電子媒体を活用するなど電子化に対応した制度についても検討することが適当である。また、添付文書の記載内容の充実を含めて、医師が処方する際の参考情報として有益な情報の提供の在り方についても、検討するべきである。

(4) 医薬品等監視・評価組織の設置

○ 先に述べたように、薬害の再発を防止するとともに、医薬品行政に対する国民の信頼を回復するためには、規制の実施当局から一定の距離を置く第三者的な組織として医薬品・医療機器行政を評価・監視する仕組みを新たに構築することが重要である。

○ 肝炎検証・検討委員会の「最終提言」では、薬害再発防止という観点に立って、第三者組織を既存の審議会とは別個の独立した審議会・委員会として創設し、この組織に法律上一定の調査・意見具申・勧告などについての権限を与えることが必要であると明記されている。

○ 審議会等は原則として新設しないこととした閣議決定（「審議会等の整理合理化に関する基本的計画（平成11年4月27日閣議決定）」）があるが、今後二度と薬害を発生させないためには、法律に根拠を有する独立の組織という形で新たに薬害防止のために適切な措置を採るように提言、勧告、意見具申を行うことなど、「最終提言」で求められている権能を有する第三者組織を設置するべきである。

第三者組織は、薬事行政の信頼を回復するために、ぜひとも望まれるものであるから、厚生労働省においては、最終提言で求められている権能を持った組織の実現に向けて、関係機関等と精力的に調整を行っていくべきである。

(5) 回収報告の範囲拡大

- 医薬品・医療機器等の自主回収については、医療機関の協力も得ながら、その回収漏れや回収遅延による保健衛生上の被害等を防止する制度を構築する必要がある。この観点から、現在の薬事法で製造販売業者等に義務づけられている回収の着手報告に加えて、厚生労働大臣が回収の計画や状況を把握して適切な指導を行うことができるよう、必要な規定を整備することが必要である。

(6) 患者とのリスクコミュニケーションの推進

- 副作用等の健康被害を防止するためには、国及び地方公共団体の規制部局、製造販売業者等、医薬関係者だけでなく、患者自らが副作用等についての理解を深めることも重要である。このため、特に患者自身への注意喚起が必要な医療用医薬品について作成されている「患者向医薬品ガイド」が掲載されているPMDA医薬品医療機器情報提供ホームページについて、医薬品の調剤時に患者に提供される「薬剤情報提供書」に記載する等により周知を図ることが求められる。
- しかし、同ホームページの情報がすべての医療用医薬品に対応しているものではなく、また一般の患者にとって難解である等の指摘があるため、患者が理解しやすい情報の充実が求められ、さらに同ホームページ自体が患者には知られておらず、また、インターネット利用者がでない患者への情報提供手段としても限界があることから、患者の副作用への理解を促すような啓発活動等の充実強化のための方策についてさらに検討するべきである。
啓発に当たっては、副作用等についての情報を十分に提供したうえで、副作用等の問題が発生した場合に、患者が速やかに医師、歯科医師及び薬剤師等の医薬関係者に連絡すべきことを徹底することも重要である。
- また、患者自身が副作用の第一発見者となることもあり、患者から直接副作用報告を収集することもあると考えられる。患者からの副作用報告については、現在、厚生労働科学研究事業においてパイロットスタディが進められているが、これを推進し、得られた副作用情報を安全対策に活用すべきである。

(7) GMP調査の体制強化

- GMP（Good Manufacturing Practice：医薬品及び医薬部外品の品質確保を図るため、原料の受入れから最終製品の包装、出荷に至るまで、全製造工程における組織的な管理に基づく品質保証体制を確立するための諸基準である。）調査については、調査を実施するPMDA、都道府県において国際的に対応できる調査の質を継続的に確保できる体制づくりが求められている。このため、研修等により都道府県、国、PMDA等の職員の資質向上を図り、都道府県間の調査の連携若しくは都道府県とPMDAの調査の連携を行うなど、関係機関の協力により効果的に調査を行うための方策について検討するべきである。

(8) 苦情解決機関

- 医薬品・医療機器等についての苦情解決機関として、現在、PMDAの相談窓口が対応しているが、より多様な関係者からの様々な苦情や問い合わせに対応するための体制整備や寄せられた苦情や問い合わせに安全対策を講ずるべき端緒が含まれていないかといった分析を通じて安全対策を進められないか、引き続き検討するべきである。

Ⅱ 医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認等について

1. 医療上必要な医薬品・医療機器等の迅速な承認

【基本的考え方】

- 希少疾病薬や難治性の疾病の治療薬など医療上必要性が高い医薬品・医療機器等について、より早く患者の元に届けることは、薬事行政において重要な要素である。
- これまでにドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に向けPMDAにおける審査体制の拡充・強化や審査担当者の質の向上等の取組が行われてきている。しかしながら、特に一部の医療機器の審査についてはデバイス・ラグが改善していないとの批判もある。このため、これまでの取組を引き続き強化することはもとより、医療機器の特性を踏まえて規制制度の在り方を広く見直す必要がある。
- しかしながら、本検討部会に示された審議項目は非常に幅広く、「医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認」に関わる課題について、検討するための時間が十分であったとは言えない。以下では取り急ぎ講ずべき

制度の見直しについて意見をまとめたものである。

可能なものから、速やかに実現を図るとともに、引き続き、基本的な制度の在り方について検討を進め、関係者の合意のもとに、実現を図るべきである。

(1) 希少疾病用医薬品・医療機器への開発支援

- 患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器については、治験の困難さや市場規模の小ささ等により開発が進まない現状がある。有効性及び安全性等を十分に確認しつつ、より重点的な開発支援を検討するべきである。
- 具体的には、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器を新たに規定するなど法制度の見直しを行うことや、これら患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器の助成金の拡充（助成率の引き上げ）や申請手数料の改訂や、開発早期の段階では開発の実現性は十分に確認できないが、希少疾病用医薬品・医療機器の指定をより早期に行う等の各種支援策の強化について検討するべきである。
- さらに、患者数が特に少ない希少疾病では、レギュラトリーサイエンス研究を推進し、少数の被験者数でも合理的に安全性・有効性を評価できるように、ガイドラインを整備すべきである。
- 特に、開発支援に当たっては、国で直接支援するのではなく、専門的な指導・助言体制を有する独立行政法人医薬基盤研究所の更なる充実強化及び事業費の拡充を図るとともに、医療機器に対する開発支援も一層進めるべきとの意見があったことから、厚生労働省の関係部局が連携し、同研究所の機能の強化に努めるべきである。

(2) 医療上必要性が高い未承認医薬品・医療機器へのアクセス

- 致死的な疾患や日常生活に著しい支障があり、その医薬品・医療機器を使用する以外には治療法がない疾患等に対する、医療上の必要性が高い未承認医薬品・医療機器のうち、国内で治験が行われている医薬品・医療機器に限定して、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対しても当該医薬品・医療機器にアクセスするための制度については、本検討部会としては創設すべきと考えるが、実際の導入に当たっては丁寧に議論し進めるべきとの意見が多かった。

- アクセス制度は、承認取得のための開発を阻害しないことが前提である。
- アクセス制度の導入に当たっては、以下の点等に関して、治験実施企業等から制度の対象となる薬物等が提供されるとともに、その医薬品の開発を阻害しないこととのバランスを保持した制度を念頭に検討に着手すべきである。
 - ・ 対象となる薬物等は、欧米等の我が国と同等の規制水準を有する国で承認があること。
 - ・ アクセス制度を実施する医療機関として、患者の治療における安全の確保が図られるなど、一定の体制が整っていることや、対象となる疾病や当該薬物の適正使用にあたっての専門知識を有していることが必要であり、治療へのアクセスを確保しつつ、必要な医療機関の要件を定めることや、実施医療機関や医師を特定する方策を検討すべきこと。
 - ・ アクセス制度を利用して薬物を使用する場合には、十分なインフォームドコンセントが徹底されることが求められる。
 - これを確保するための方策や、患者がリスク等の説明を受けて同意できる責任の範囲、補償や免責等の在り方について、引き続き検討することが必要であること。
 - ・ アクセス制度により未承認薬が国内で使用するようになる場合には、個人輸入によりいわゆる「偽薬」を購入することがないよう、当該未承認薬の個人輸入の制度（薬監証明制度）との関係については検討することが必要であること。
 - ・ アクセス制度のもとで使用した薬物の副作用報告の収集や実施医療機関への安全性情報の提供等のシステムを構築する等、十分な安全対策を行うこと。
- なお、欧米での承認や公的保険での償還等があり、医療上必要な適応外薬の取扱いについても、すべてに薬事承認を必要とするべきかどうか、今後検討が必要であるとの意見があり、厚生労働省において本検討部会とは別に引き続き検討すべきである。
- 再審査期間が終了した適応外薬においても、アクセスが不十分であるとの意見があった。薬事承認申請はあくまでも企業が行うものであるということが前提であり、再審査期間が終了した適応外薬の使用の取扱いについては今後更に検討するべきとの意見があった。

- いわゆる55年通知の現状を踏まえた上で、適応外薬の取扱いの見直しについて検討すべきではないかとの意見もあった。
- 医薬品へのアクセスにおいて、米国等で導入されているいわゆるコンベンディウムのような制度（米国では産学が連携したGCP水準の医師主導臨床試験が多数実施されており、それによって得られたエビデンス（論文が査読のある世界的雑誌に掲載されることが前提）がさらに第3者評価機関で評価され承認されれば、FDAの薬事承認がなくとも適応外薬にアクセスできるとのこと。）の検討が必要であり、PMDAの審査の負担を軽減できるのではないかという意見があった。
- なお、薬剤、それに伴う手技等の患者負担については過度にならないように配慮する必要があるとの意見があった。アクセス制度における承認薬については、原則企業からの無償提供ではなく患者負担であるべきとの意見があったが、一方で、すべてを患者が負担することは困難との意見があった。

（3）優先審査権の付与

- 医療上特に必要性が高いが、企業による開発が進みにくい医薬品について、迅速な開発を促すため、このような医薬品を開発し、承認を取得した者に対して、当該医薬品とは別の品目に対する優先審査権の付与等の優遇措置等については、十分な議論の時間は得られなかったが、PMDAの審査体制の充実が前提となることから、その在り方は引き続き検討を続けるべきである。

（4）その他の運用改善が望まれる事項

- 医療上必要な医薬品・医療機器等の迅速な承認については、上記のとおり制度の見直しを進めるべきであるが、その他にも以下の課題について運用や制度の改善の検討を引き続き進めるべきである。
 - ・ 定められた期間内に一定の承認手続を終了し、薬事・食品衛生審議会で審議する仕組み
 - ・ 外国製造業者の認定を届出制度に変更し、製造業者の構造設備基準をGMPと統合
 - ・ 国内製造業の許可も、製造業者の構造設備基準をGMPと統合
 - ・ 輸出届書及びGMP調査申請書を製造業者のみならず製造販売業者からも提出できる制度

- ・ 表示面積が狭い製剤での直接の容器の表示の簡略化・省略の特例の拡大
- ・ 外国製造業者が行う原薬等登録原簿申請を国内管理人を経由せずに直接申請できることとし、国内管理人の業務及び資務を明確に規定
- ・ 審議会審議の利益相反の適切な管理の徹底

2. 医療機器の特性を踏まえた制度の創設

【基本的考え方】

- 医療機器については、その種類が多岐にわたること、革新的医療機器に加え、他の機械製品と同様に短いサイクルで数次にわたり改善・改良が行われた製品が市場に供給される場合が多いこと、ベネフィットとリスクは使用者の手技によるところが大ききことなど、医薬品と大きく異なる特性を有する。
- また、医療機器の開発は、臨床の現場において、医師が主体的に医療機器を考案した後、企業による開発が進められることが多い。したがって、医療機器の開発では、申請データを取得するための医師主導治験や医療技術の開発のための臨床研究が実施しやすい医療機関の体制の整備・充実が必要である。
- 本検討部会では、当面の制度改正事項として以下のような医療機器等に関わる幅広い課題について議論してきた。医療機器の安全性・有効性の確認をおろそかにすることなく、迅速な審査をするためには、当面の制度改正にとどまらず、一層合理的な規制のために更なる検討の上で制度改正に取り組むべきものも多く含まれており、議論を重ねる必要があると考える。また、法律改正を要せずに承認・認証制度や品質管理制度の合理化を図ることができることも多岐にわたり、着実に制度運用の改善を図るべきである。
- したがって、厚生労働省は、文部科学省、経済産業省とも連携しつつ、医療機器業界の要請や実情把握を踏まえ、より良い制度とするよう引き続き議論を進めることを期待する。その議論を踏まえ、当面の薬事法改正のみならず、必要な法制度についても検討がなされるべきである。

（1）医療機器に関する制度の見直しをするべき事項

- 医療機器や体外診断用医薬品が多様な専門性を持った要素技術の集合体である特性を踏まえて、医療機器の製造販売業の許可要件・遵守事項、体外診断用医薬品の管理者の資格要件や基本要件の位置づけの見直しについて、検

討すべきである。

○ QMS (Quality Management System: 医療機器及び体外診断用医薬品の全製造工程における組織的な管理に基づく品質保証体制を確立するための諸基準である。) 調査については、医療機器には例えば同一の製造工程において、一つの製品を改良・改善して供給される場合が多いという特性を踏まえる必要がある。このため、国際的な製造管理・品質管理の方法との整合性に配慮しつつ、調査の実効性を高めるため、かつ、事業者の申請事務負担を軽減する観点から、特にリスクの高い医療機器等を除き、現在は品目ごとに調査を行っているものを、製品群ごとに調査対象をまとめるための方策について検討すべきである。

○ 今日では数年前には想像できないほどに情報通信技術等が発達し、医療機器の分野においても、コンピュータが制御する製品も多く、医療機器を制御するコンピュータに搭載されているソフトウェアも医療機器の重要な要素となっている。ソフトウェアの性格上その不具合の修正が多くあることや、ソフトウェアを改善することにより医療機器の性能が大きく変わることもある。こうしたことから、ソフトウェアも単体として医療機器として有効性・安全性を評価することが必要である。このため、薬事法においてソフトウェアが医療機器であることを明らかにするとともに、その有効性・安全性を評価する仕組みを検討することが必要である。

○ 医薬品と医療機器を組み合わせた製品の安全性等をより一層担保するため、医療機器の医薬品部分又は医薬品の医療機器部分に対する製造時の品質管理や副作用・不具合報告の現在の取扱いを明確化するための方策について検討すべきである。

(2) その他の運用改善が望まれる事項

○ 上記の他、必ずしも法律改正を要するとは考えられないが、医療機器等の承認・認証等の合理化のため、医療機器等に特徴的な以下の課題について、運用の改善も含めた検討を進めるべきである。

- ・ 製造所での組立てが困難な大型の医療機器の製造所以外の場所での組立て
- ・ 一部変更承認申請を不要とする範囲の明確化
- ・ 信頼性調査が必要な範囲の明確化
- ・ 海外市場実績のある医療機器の非臨床試験や臨床試験データの取扱い

- ・ 一般医療機器の届出手続きの在り方
- ・ 容器への記載事項について規格化されたシンボルマーク (図記号) の表記
- ・ 認証制度における国際規格の利用拡大や承継制度
- ・ 個別化医療推進のため医薬品審査と連携したコンパニオン体外診断用医薬品の審査方策

3. 再生医療製品など先端的技术を用いた製品への対応

【基本的考え方】

○ 再生医療製品については、今後も、臓器機能の再生等を通じて、重篤で生命を脅かす疾患等の治療等に、ますます重要な役割を果たすことが期待される。特に、iPS細胞の研究など再生医療に資する知見・技術は日々進歩し続けている段階であること等を踏まえ、再生医療製品の品質、有効性及び安全性を維持しつつ、迅速に開発が行われ承認されるための支援策が求められている。

○ 代替治療がないような重篤な疾患等では、新薬の承認審査で求められるようなランダム化比較試験が必ずしも容易ではないことを踏まえ、合理的に有効性や安全性を評価することが可能なデータで審査が進められるようにする必要がある。

○ 更に、今まさに日々技術が進歩していること等を踏まえ、厚生労働省においては、医薬品及び医療機器と同様に関係学会の専門家、PMDAとの人事交流などにより、レギュラトリーサイエンスの考え方に基づく共通の基盤に立ち、今後の製品開発、治験、承認審査の方針等を明らかにするガイドラインの策定、早期・探索的な医師主導治験に対する相談の充実、新たな審査の仕組みの構築が計画的、かつ、着実に進むような方策を検討すべきである。

○ 我が国の現行の薬事法では、再生医療製品など先端的技术を用いた製品について、法制度上どのように取り扱うべきなのか知見が確立しているとはいえない。

そのため、医療機器と同様に、再生医療についても、医療関係者が主体となった診療技術の開発に伴う臨床研究の果たすべき役割が大きいため、厚生労働省においては、臨床研究やその実施体制を担当する部局の間での連携を図り、再生医療製品の製造業界の実情を把握し、再生医療製品の特性を踏まえた制度の在り方についても検討すべきである。

再生医療には先進医療で認められているものもあり、今後もその活用が期待されるとの意見があった。

- なお、再生医療製品については、今までも、再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」にて議論を行い、平成23年3月に、再生医療製品の有効性・安全性の評価、管理の在り方等について提言として取りまとめた。今後は、この提言の見直しや医療機関における培養施設の要件の検討等も含めフォローアップを行うことが必要である。

4. PMDA等の体制の充実等

【基本的考え方】

- 医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認等について、医薬品、医療機器、再生医療製品と分けて、それぞれの課題を整理すると、上記の1.～3. のように整理される。一方で、法律改正は要しないものの、審査体制の充実・強化など、迅速な承認等を可能にするための方策についても、以下のような点についても見直しが必要と考えられるので、厚生労働省は、それらの点についての検討を引き続き進めるべきである。

（１）PMDA等の体制の充実について

- PMDAは、承認審査、安全対策等の業務により、国が医薬品の承認、安全対策措置等を決定する際の重要な根拠を提供している。そのため、PMDAは、国の承認等の権限行使のために質の高い基礎的業務を国と一体となって行うことが求められており、国との密接な連携が不可欠な組織であることを念頭に、承認審査、安全対策を更に充実する目的で、その体制の強化とともに、専門的知見を有する人材の確保・育成を図るべきである。
- また、革新的医薬品・医療機器に対する的確な相談対応や迅速な承認という観点に注目すると、レギュラトリーサイエンス研究の成果を規制の基礎として活用することが不可欠である。したがって、PMDA及び国立医薬品食品衛生研究所において、レギュラトリーサイエンス研究を充実し、特に新たな技術に対する対応方針の確立に役立つようにするべきである。

（２）臨床研究等について

- 革新的医薬品・医療機器の開発促進のため、戦略的な臨床研究の推進は必要であり、その中でも早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP（日米EU医薬品規制調和国際会議で合意された医薬品の臨床試験に関する基準）水準の臨床研究や医師主導治験を実施する臨床研究中核病院（仮称）の創設による治験・臨床研究の体制を整備することが必要と考えられる。
- 臨床研究中核病院（仮称）等において、ICH-GCPに準拠して実施された臨床研究については、資料の位置づけ等を考慮した上で、承認申請資料として活用する可能性を判断する運用について検討すべきである。
一方、治験における被験者の契約症例数や分担医師の変更等に伴う手続き、定期的な副作用報告の効率化等を図るため、ICH-GCPとの整合性をとりつつ、GCP上の取扱いも見直すことが合理的と考えられる。
- 法制化を含めた臨床研究の在り方については、平成25年7月を目途とした臨床研究指針全般の見直しの議論（厚生科学審議会科学技術部会）において、引き続き検討されることとなっているが、被験者が臨床研究に関する知識や理解を深めることができるような取組みを進めるとともに、「最終提言」が求めた被験者の権利の確立が必要であり、治験以外の臨床研究と治験を一貫して管理する法制度の整備を視野に入れた検討を望む。

- 患者が主体的に治験に参加しやすくするために、疾病等から治験・臨床研究の情報を検索できるホームページの充実等の環境整備を行うべきである。

Ⅲ 医薬品等監視の強化について

【基本的考え方】

- 個人輸入をしている医薬品等の中には、その使用により重篤な有害事象が起きている場合がある。
個人輸入により海外から輸入される医薬品については、現在整備を進めている個人輸入のデータベース等により状況把握に努めるとともに、より適切な医薬品等監視のための方策について検討するべきである。
また、指定薬物については、近年のいわゆる違法薬物の流通の広がりや、規制の網をかいくぐる悪質な事例が後を絶たない。このため、指定薬物による健康被害の発生を防止するため、販売者に対する監視指導・取締りの強化

に加え、より効果的な規制方法や効果的な情報提供等の方策について検討するべきである。

(1) 個人輸入等への対応強化

- 個人輸入については、偽造医薬品等による健康被害の事例が生じている状況等を踏まえ、偽造医薬品等による健康被害の防止の観点からも、医療上必要な未承認医薬品のうち、Ⅱ 1. (2) の新たなアクセス制度により対応することが検討されるべき医薬品については、当該制度の活用によるべきである。また、偽造医薬品等による健康被害が起きないように、偽造医薬品等については、国、都道府県等が連携して、その流通等の監視、健康被害等に係る情報収集、並びに国民に対する情報提供及び周知・啓発を効果的に行うための体制作りを進めるとともに、薬監証明のデータベース化により把握した個人輸入の状況を公表する他、薬監証明制度や個人輸入を巡る課題を整理して、必要な対応について検討するべきである。
- 適応外使用の情報提供、広告等については、医薬品業界団体の自主ガイドライン（医薬品の適応外使用の情報提供に関する総括報告書）を各都道府県に周知するなどにより、適切な情報提供・広告等の手法の普及を進めるとともに、業界団体と連携して、違法な事例の取締りにつながる仕組みを強化するべきである。

(2) 指定薬物の取締りの強化

- 麻薬取締官（員）が司法警察員として職務を行う範囲に、新たに薬事法に規定されている指定薬物を追加し、麻薬取締官（員）が指定薬物の取締りを行うことができるための規定を新設するとともに、予防的視点から迅速かつ円滑な取締りが可能となるよう必要な規定を新設するべきである。
- 国、都道府県等が連携して監視・取締りを行えるような体制作りを進めるとともに、健康被害の情報、危険性に関する国民への効果的な周知・啓発手法、新たに国内で流通する指定薬物の包括的な規制方法について検討するべきである。

Ⅳ その他

(参考) 厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会の開催経緯

第1回 日時：3月22日（火）

議題：医薬品行政の現状と課題について、今後の検討の進め方について

第2回 日時：4月21日（木）

議題：医薬品等関係者の安全対策への取組みの促進について

第3回 日時：5月27日（金）

議題：医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について
医薬品等監視の強化について

第4回 日時：6月20日（月）

議題：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）
望月（眞）委員の研究班の結果について
澤委員の医療イノベーションの観点からの薬事法関連規制に対する提言について

第5回 日時：7月22日（金）

議題：論点整理（案）について

第6回 日時：9月16日（金）

議題：論点整理を踏まえた必要な制度改正案の基本的な方向性について

第7回 日時：10月19日（水）

議題：薬事法等改正の方向性（たたき台案）について

第8回 日時：11月16日（水）

議題：医療上特に必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について
第三者組織について

第9回 日時：12月16日（金）

議題：薬事法等制度改正についてのとりまとめ（案）について

第10回 日時：12月26日（月）

議題：薬事法等制度改正についてのとりまとめ（案）について

厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会委員名簿

片木 美穂	卵巣がん体験者の会スマイリー代表
坂田 和江	薬害肝炎全国原告団
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科教授
鈴木 達夫	東京都福祉保健局健康安全部食品医薬品安全担当部長
寺野 彰	獨協学園理事長・獨協医科大学名誉学長
◎永井 良三	東京大学大学院医学系研究科教授
長野 明	第一三共株式会社専務執行役員
七海 朗	日本薬剤師会副会長
花井 十伍	全国薬害被害者団体連絡協議会代表世話人 (大阪H I V薬害訴訟原告団代表)
羽生田 俊	日本医師会副会長
原澤 栄志	日本光電工業株式会社取締役専務執行役員
藤原 昭雄	中外製薬株式会社医薬安全性本部ファーマコビジランス部 部長
堀田 知光	国立病院機構名古屋医療センター院長
○望月 正隆	東京理科大学薬学部教授
望月 眞弓	慶應義塾大学薬学部教授
山本 隆司	東京大学大学院法学政治学研究科教授

(◎：部会長、○：部会長代理)

(五十音順、敬称略)