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、医療上の必要性の評価、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を公募。募集期間は第1回は2009年6月18日から8月17日まで、第2回は2011年8月2日から9月30日まで。

<公募した要望の要件(第2回)>

〇未承認薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認されていること。

〇適応外薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪) のいずれかの国で承認(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 ている場合を含む) されていること。 次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

- (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

医療上の必要性を評価

【学会、患者団体等】未承認薬・適応外薬に係る要望

- → 重複をまとめると
 - 第1回要望は374件
 - 第2回要望は290件

医療上の必要性の 高い未承認薬・適応 外薬検討会議

WG(分野ごと設置)

企業に開発要請 第1回要望は167件

開発企業を募集 第1回要望は19件



【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

【関連学会、製薬企業】 要望に係る見解の提出

検討会議における検討の進め方 学会• 検討会議 患者会等 各企業 (個別具体的検討については、専門作業班(WG)で実施) 開発の検討の開始 要望 22年2月8日 第1回検討会議 医療上の必要性 第1回:374件 の評価 個別ヒアリング 第2回:290件 第2回検討会議第3回検討会議 22年3月31日 22年4月27日 基準に 国内開発企業 欧米等6ヵ国 該当 がない場合 での承認等 22年5月21日 国が企業へ開発要請 (第1回) 開発工程表の作成 22年12月13日 国が企業へ開発要請 (第2回) 必要な試験又は公知申請 23年5月13日 国が企業へ開発要請 (第3回) への該当性に係る、エビデ 要請から1ヵ月後 見解の提出 開発企業を募集 ンスに基づく見解の作成 必要な試験の妥当性又は 随時照会等 公知申請への該当性の評価 必要に応じて、 22年8月3日 第4~10回検討会議 ~23年12月22日 必要な試験の実施検討又 は公知申請の準備(申請 募集に応じた企業を支援するため、 公知に該当 機構に相談 書、添付文書案作成等)等 必要な試験の妥当性又は公知申請 審議会の への該当性の評価 事前評価 定期的に開発状況を確認 治験の着手 中医協 平成23年11月16日 中医協 薬価専門部会 公知申請 承認申請• において開発状況の報告 一変申請