

(別添)

医療上の必要性が高い未承認薬等の開発の要望提出に当たっての注意事項

## 1. 要望される未承認薬等の範囲

### (1) 未承認薬

要望の対象となる医薬品については、欧米4か国（米・英・独・仏）のいずれかの国で承認された医薬品であって、医療上その必要性が高い<sup>(注)</sup>もの

(注)「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 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
- 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

### (2) 適応外薬

要望の対象となる適応（効能・効果、用法・用量の両方又はいずれかが異なるもの）については、欧米4か国（米・英・独・仏）のいずれかの国で承認された適応（欧米4か国のいずれかの国の公的医療保険制度の下で償還対象となる適応を含む）であって、医療上その必要性が高いもの

## 2. 学会等からの要望について

学会等医学薬学の専門家からなる団体（個人を含む）にあつては、要望にあたり、別添様式1-1（未承認薬）又は別添様式1-2（適応外薬）に基づき、①医薬品名、②会社名、③承認国（又は公的医療保険適用国）、④効能・効果、⑤用法・用量、⑥文献・学会発表、国内外の学会ガイドライン等への収載状況等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価、⑦医療上の必要性に係る基準への該当性を記載していただくようお願いします。あわせて、別添様式2（総括表）を提出いただくようお願いします。

### 3. 患者団体等から要望について

患者団体等にあつては、上記2と同様に、別添様式1-1（未承認薬）又は別添様式1-2（適応外薬）に基づき、要望の提出をお願いしますが、記載できない欄については空欄でも差し支えありません。あわせて、別添様式2（総括表）の提出をお願いします。

### 4. 要望書（別添様式1-1、1-2）の記載における留意点

- (1) 別添様式1-1及び1-2については、1要望あたりの枚数制限はありませんので、できるだけ詳細に記載ください。
- (2) 団体又は個人ごとに要望の優先順位をつけてください（未承認薬でも、適応外薬でも区別せず通しで優先順位をつけてください）
- (3) 医薬品の販売名が国ごとに違う場合は、○○○（米）、▲▲▲（英）のように記載してください。
- (4) 「承認国」又は「承認又は公的保険適用国」欄については、欧米4か国全ての承認の有無、どの国でも承認されてはいない場合は欧米4か国全ての公的医療保険制度の適用の有無がわかるように記載してください。  
（例1：米国・英国で承認、独国・仏国で未承認、例2：4か国とも未承認だが公的医療保険は米で適用、英・独・仏で不適用）
- (5) 「効能・効果」、「用法・用量」欄においては、欧米で承認又は公的医療保険適用される効能・効果、用法・用量について正確に把握する必要があるため、その内容を全文記載するとともに、適応拡大要望においてはわが国で適応外の部分に下線を付してください。
- (6) 「文献・学会発表等のエビデンスに基づく安全性・有効性の評価」欄では、根拠となる文献等ごとにその概要を示して下さい。また、承認のためのエビデンスレベルが十分かどうか（追加の治験があるかどうか）、治験をすれば比較臨床試験までいるのかどうかなど、また、その評価理由について団体（個人）としての総合的な評価をできるだけ詳細に記載してください。
- (7) 「医療上の必要性に係る基準への該当性」欄においては、1. 適応疾病の重篤性、2. 医療上の有用性のそれぞれについて、以下の判断基準のどの項目に該当するかとともに、その根拠を記載してください。

(判断基準)

「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