

「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱

1. 目的

- 欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、
 - ・ 欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を定期的に把握し、
 - ・ 臨床上の必要性と使用の妥当性を科学的に検証する
- とともに、
- ・ 当該未承認薬について確実な治験実施につなげる
- ことにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的とする。

2. 検討事項

- (1) 欧米諸国での承認状況の定期的な把握
- (2) 学会及び患者の要望の定期的な把握
- (3) 未承認薬の臨床上の必要性と使用の妥当性に関する科学的検証
- (4) 「企業依頼」及び「医師主導」の治験への振り分けと確実な実施
- (5) 安全性確認試験の確実な実施 等

3. 構成員

- 検討会議の構成員は、がんや循環器等の重篤な疾患領域における薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回定期的に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局で行い、医政局及び保険局がこれに協力する。

「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

有吉 寛	愛知県がんセンター愛知病院名誉院長
大澤真木子	東京女子医科大学医学部教授
川西 徹	国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部長
栗山 喬之	千葉大学医学部教授
黒川 清	東京大学先端科学技術研究センター客員教授
後藤 元	杏林大学医学部教授
篠山重威	浜松労災病院長
寺岡 暉	日本医師会治験促進センター長
浜田知久馬	東京理科大学工学部助教授
林 昌洋	虎ノ門病院薬剤部長
堀田知光	東海大学医学部教授
堀内龍也	群馬大学医学部附属病院薬剤部長
吉田茂昭	国立がんセンター東病院長

(※ 他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。)

「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品

類型	概要
I	平成17年4月以降に欧米4か国(米・英・独・仏)のいずれかの国で承認されたもの
II	過去5年間に学会・患者団体からの要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国のいずれかの国で承認されたもの
III	学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4か国のいずれかの国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの

未承認薬を治験対象とする場合の考え方

医療上特に必要性が高いと認められるもの

考え方

適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定

(1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- ② 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 等

(2) 医療上の有用性

- ① 既存の治療法・予防法がない
- ② 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の治療法・予防法と比べて明らかに優れている
- ③ 欧米において標準的治療法に位置付けられている 等

未承認薬の欧米における承認状況の把握について

1. 趣旨

- 欧米では承認されているが国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、切実な患者要望に的確に対応するため、未承認薬使用問題検討会議では、米、英、独、仏で承認されたものについて自動的に検討の対象とすることとしている。
- そのため国は、上記4か国での承認状況を定期的に把握する必要がある。

2. 調査対象薬の範囲

国内では未だ承認されていない新規薬剤【未承認薬】

3. 調査対象国の範囲

米、英、独、仏

その他、承認審査に係る薬事規制が我が国と同等と考えられる国であって、検討会議が妥当と認めた国

4. 調査項目の範囲

- A 承認された国名
- B 承認年月日
- C 成分名（一般的名称）
- D 銘柄名
- E 会社名及び国内法人の有無
- F 剤型・規格
- G 効能・効果
- H 用法・用量
- I 承認された国における添付文書の記載内容（作用機序、副作用等） 等

5. 調査の方法

- FDA のウェブサイト、EMA のウェブサイト、外電情報、Scrip 及び FD&C Report 等により、新薬承認情報等入手・調査する。
- 四半期（3ヵ月）を調査期間とし、調査期間の翌月までに結果をとりまとめる。
- 調査は（財）日本医薬情報センターに委託する。

ワーキンググループの設置について

- ・ ワーキンググループは、がん、小児、循環器の3領域の専門家で構成し、その他の領域(例:精神・神経、臓器移植など)については、品目に応じて、随時専門家を選定する。
- ・ ワーキンググループの専門家は、各領域における医薬品の研究開発及び治験制度に精通した者を座長が指名し、検討会議に報告する。
- ・ メンバーは、検討品目に関して関与又は特別の利害関係を有する場合は座長に申し出ることとし、関与等がある場合は、当該品目について発言することができない。

過去5年間に学会・患者団体からの早期承認・早期保険適用の要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国のいずれかの国で承認された未承認薬
(「類型II」の未承認薬) (改訂)

(*は第1回検討会議で検討した品目を示す)
 (網掛けはワーキンググループで検討した品目を示す)

1. 国内治験前の未承認薬

(1) サリドマイド*

- ・ 概要：抗癌剤
- ・ 海外承認状況：米（結節性紅斑）、（オーストラリア（多発性骨髄腫））
- ・ 要望元：日本骨髄腫患者の会（平成14年10月、平成15年7月）、日本ハンセン病学会（平成15年2月）

(2) ラロニダーゼ (α -L-イズロニダーゼ (遺伝子組換え))

(→未承認薬としての使用要望あり)

- ・ 概要：酵素製剤
- ・ 海外承認状況：米（I型ムコ多糖症）、EU（I型ムコ多糖症）
- ・ 要望元：日本ムコ多糖症親の会（平成16年11月）

(3) ジアゾキサイド

(→未承認薬としての使用要望あり)

- ・ 概要：低血糖症用剤
- ・ 海外承認状況：米（低血糖症）、独（低血糖症）、仏（低血糖症）
- ・ 要望元：日本小児内分泌学会（平成17年3月）

2. 国内治験中～申請準備中の未承認薬

(1) 一酸化窒素

(→未承認薬としての使用要望はなし)

- ・ 概要：呼吸器官用薬
- ・ 海外承認状況：米（新生児の低酸素性呼吸不全）

- ・ 要望元：日本未熟児新生児学会（平成13年11月）

（2）エノキサパリン

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：血液凝固阻止剤
- ・ 海外承認状況：米（深部静脈血栓症、不安定狭心症、非Q波心筋梗塞）、独（血栓症）、英（血栓症、深部静脈血栓症）、仏（血栓症）
- ・ 要望元：日本血栓止血学会、日本産科婦人科学会、日本産婦人科・新生児血液学会、日本集中治療医学会、日本静脈学会、日本心臓病学会、日本整形外科学会、日本泌尿器科学会、日本麻酔科学会、肺塞栓症研究会（平成16年8月）

（3）エベロリムス

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：免疫抑制剤
- ・ 海外承認状況：独（移植片拒絶反応）、EU（移植片拒絶反応）
- ・ 要望元：国立循環器病センター、大阪大学医学部附属病院、東京女子医科大学、日本心臓移植研究会（平成16年3月）

（4）フォンダパリヌクス

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：血液凝固阻止剤
- ・ 海外承認状況：米（深部静脈血栓症）、EU（深部静脈血栓症）
- ・ 要望元：日本血栓止血学会、日本産科婦人科学会、日本産婦人科・新生児血液学会、日本集中治療医学会、日本静脈学会、日本心臓病学会、日本整形外科学会、日本泌尿器科学会、日本麻酔科学会、肺塞栓症研究会（平成16年8月）

（5）ペメトレクスド*

- ・ 概要：抗癌剤
- ・ 海外承認状況：米（悪性胸膜中皮腫）
- ・ 要望元：中皮腫・アスベスト疾患患者の会（平成16年8月）

（6）ボルテゾミブ

（→未承認薬としての使用要望あり）

- ・ 概要：抗癌剤
- ・ 海外承認状況：米（多発性骨髄腫）、EU（多発性骨髄腫）
- ・ 要望元：日本骨髄腫患者の会（平成15年7月、平成16年6月）

（7）ナタリズマブ

（→未承認薬としての使用要望あり：米国では、インターフェロンベータ - 1aとの併用で進行性多病巣性白質脳障害（PML）が発現した有害事象が2例報告されたため、販売が自主的に中止された（平成17年3月）。臨床データを再検討した結果、更に1例の追加報告がなされた（平成17年4月）。）

- ・ 概要：抗多発性硬化症剤
- ・ 海外承認状況：米（多発性硬化症）
- ・ 要望元：国立病院機構宇多野病院・関西脳神経筋センター（平成17年2月）

3. 国内承認審査中の未承認薬

（1）アリピプラゾール

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：統合失調症用薬
- ・ 海外承認状況：米（統合失調症）、EU（統合失調症）
- ・ 要望元：全国精神障害者家族会連合会（平成16年1月）

（2）イヌリン

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：腎機能検査薬
- ・ 海外承認状況：米（腎機能検査）
- ・ 要望元：日本腎臓学会（平成15年1月）

（3）クロザピン

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：統合失調症用薬
- ・ 海外承認状況：米（統合失調症）、英（統合失調症）、仏（統合失調症）
- ・ 要望元：全国精神障害者家族会連合会（平成16年1月）

（4）硫酸クロピドグレル

（→未承認薬としての使用要望はなし）

- ・ 概要：血液凝固阻止剤
- ・ 海外承認状況：米（虚血性心疾患、脳卒中）、独（虚血性心疾患、脳卒中）、英（虚血性心疾患、脳卒中）、仏（虚血性心疾患、脳卒中）
- ・ 要望元：日本循環器学会、日本心臓病学会、日本心血管インターベンション学会（平成14年12月）、日本脳卒中学会（平成16年2月）

(5) 抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン

(→未承認薬としての使用要望はなし)

- ・ 概要：免疫抑制剤
- ・ 海外承認状況：米（腎移植における急性拒絶反応）、仏（臓器移植における急性拒絶反応）
- ・ 要望元：日本血液学会、日本臨床血液学会（平成14年12月、平成15年7月）、名古屋第一赤十字病院（平成14年12月）

(6) 酢酸セトロレリクス

(→未承認薬としての使用要望はなし)

- ・ 概要：生殖器官用剤
- ・ 海外承認状況：米（不妊症）、独（不妊症）、英（不妊症）、EU（不妊症）
- ・ 要望元：日本産婦人科学会（平成16年5月）、日本受精着床学会（平成16年6月）、日本不妊学会（平成16年11月）

(7) 塩酸レミフェンタニル

(→未承認薬としての使用要望はなし)

- ・ 概要：鎮痛剤
- ・ 海外承認状況：米（全身麻酔の導入・維持、術後疼痛）、独（全身麻酔の導入・維持、術後疼痛）、英（全身麻酔の導入・維持、術後疼痛）
- ・ 要望元：日本麻酔科学会（平成16年6月）

(8) ロテプレドノール

(→未承認薬としての使用要望はなし)

- ・ 概要：眼科用剤
- ・ 海外承認状況：米（アレルギー性結膜炎、眼炎症）
- ・ 要望元：日本眼科アレルギー研究会（平成13年9月）

(9) インターフェロンベータ - 1a

(→未承認薬としての使用要望あり：米国では、ナタリズマブとの併用で進行性多病巣性白質脳障害(PML)が発現した有害事象が2例報告されている(ナタリズマブは自主的に販売中止(平成17年3月)))

- ・ 概要：抗多発性硬化症剤
- ・ 海外承認状況：米(多発性硬化症)、英(多発性硬化症)、独(多発性硬化症)、仏(多発性硬化症)、EU(多発性硬化症)
- ・ 要望元：国立病院機構宇多野病院・関西脳神経筋センター(平成17年2月)

(参考) 国内で承認された医薬品

(1) オキサリプラチン*

(→平成17年3月18日付で承認(「エルプラット注射用100mg」(株式会社ヤクルト本社)))

- ・ 概要：抗癌剤
- ・ 海外承認状況：米(転移性結腸直腸癌)、英(転移性結腸直腸癌)、仏(転移性結腸直腸癌)
- ・ 要望元：癌と共に生きる会(平成16年1月)

(2) ポセンタン水和物

(→平成17年4月11日付で承認(「トラクリア錠62.5mg」(アクテリオンファーマシューティカルズジャパン株式会社)))

- ・ 概要：血圧降下剤
- ・ 海外承認状況：米(肺高血圧症)、EU(肺高血圧症)
- ・ 要望元：日本循環器学会、日本心臓病学会(平成15年11月)

(3) ポリコナゾール

(→平成17年4月11日付で承認(「ブイフェンド錠50mg、ブイフェンド錠200mg及びブイフェンド200mg静注用」(ファイザー株式会社)))

- ・ 概要：合成抗菌剤(抗真菌剤)
- ・ 海外承認状況：米(真菌症)、EU(真菌症)
- ・ 要望元：日本化学療法学会(平成15年10月)