

未承認薬使用問題検討会議 議事次第

平成 17 年 3 月 31 日 (木) 14:00～16:00
東海大学校友会館 阿蘇の間

議 事

1. 未承認薬の治験実施までの手順等について
2. 検討する必要がある未承認薬について
3. その他

配付資料一覧

- 資料 1 「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱
- 資料 2 「未承認薬使用問題検討会議」構成員
- 資料 3 未承認薬に係る3種類の治験の実施までの流れ(案)
- 資料 4 未承認薬を治験対象とする場合の考え方(改訂案)
- 資料 5 未承認薬の欧米における承認状況の把握について(改訂案)
- 資料 6 ワーキンググループの設置について(案)
- 資料 7 未承認薬に係る治験について(案)
- 資料 8 「追加的治験」と「安全性確認試験(仮称)」(案)
- 資料 9 「追加的治験」実施までの流れ(案)
- 資料 10 「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品(案)
- 資料 11 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か国で承認された未承認薬(「類型II」の未承認薬)(改訂)
- 資料 12 過去2年間に米国で承認された新有効成分含有医薬品

- 参考資料 1 抗がん剤併用療法の適応拡大スキーム進捗状況
- 参考資料 2 治験のあり方に関する検討会の設置について
- 参考資料 3 治験に係る特定療養費制度について
- 参考資料 4 医師主導治験の流れ

「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。

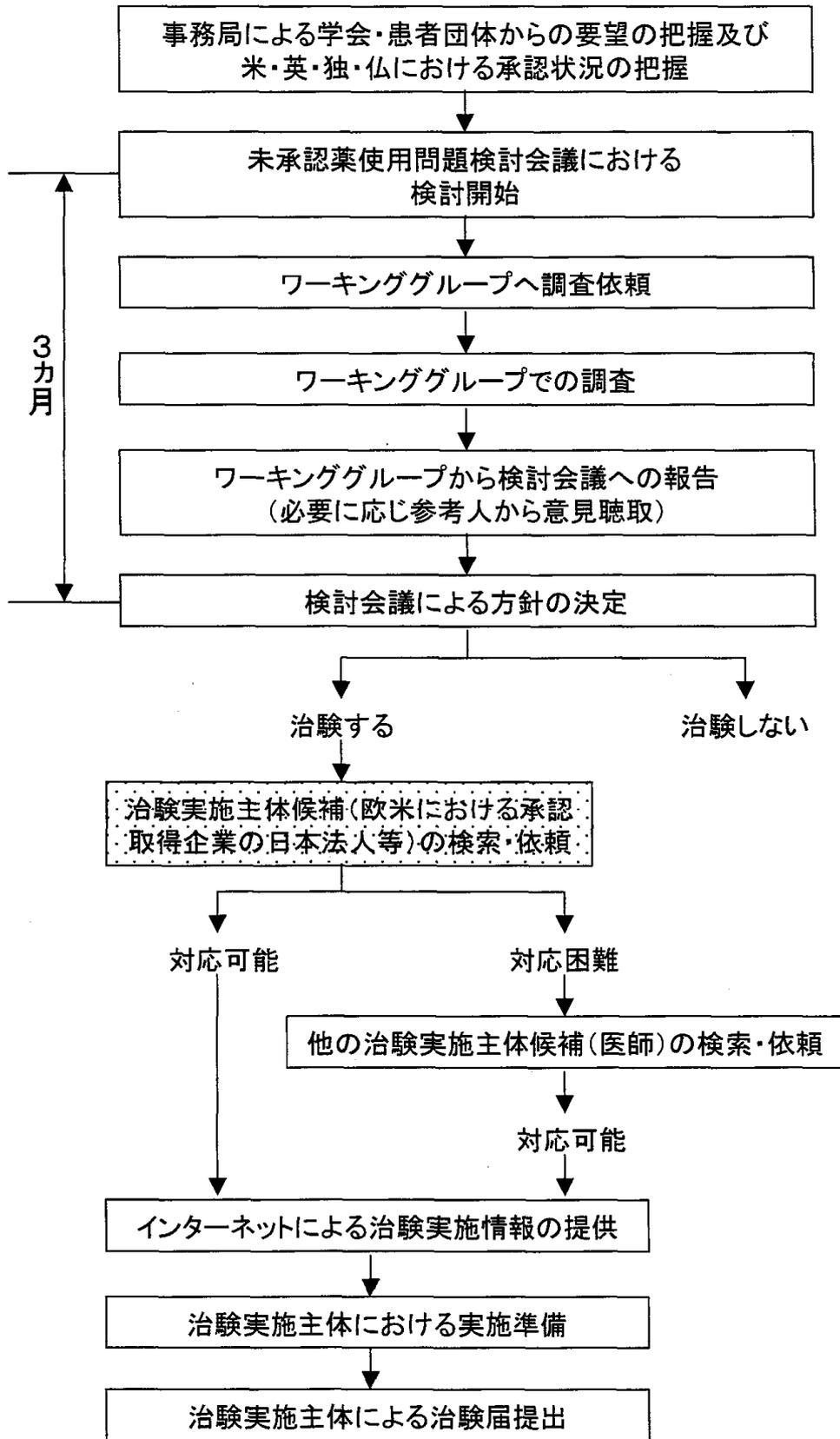
「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

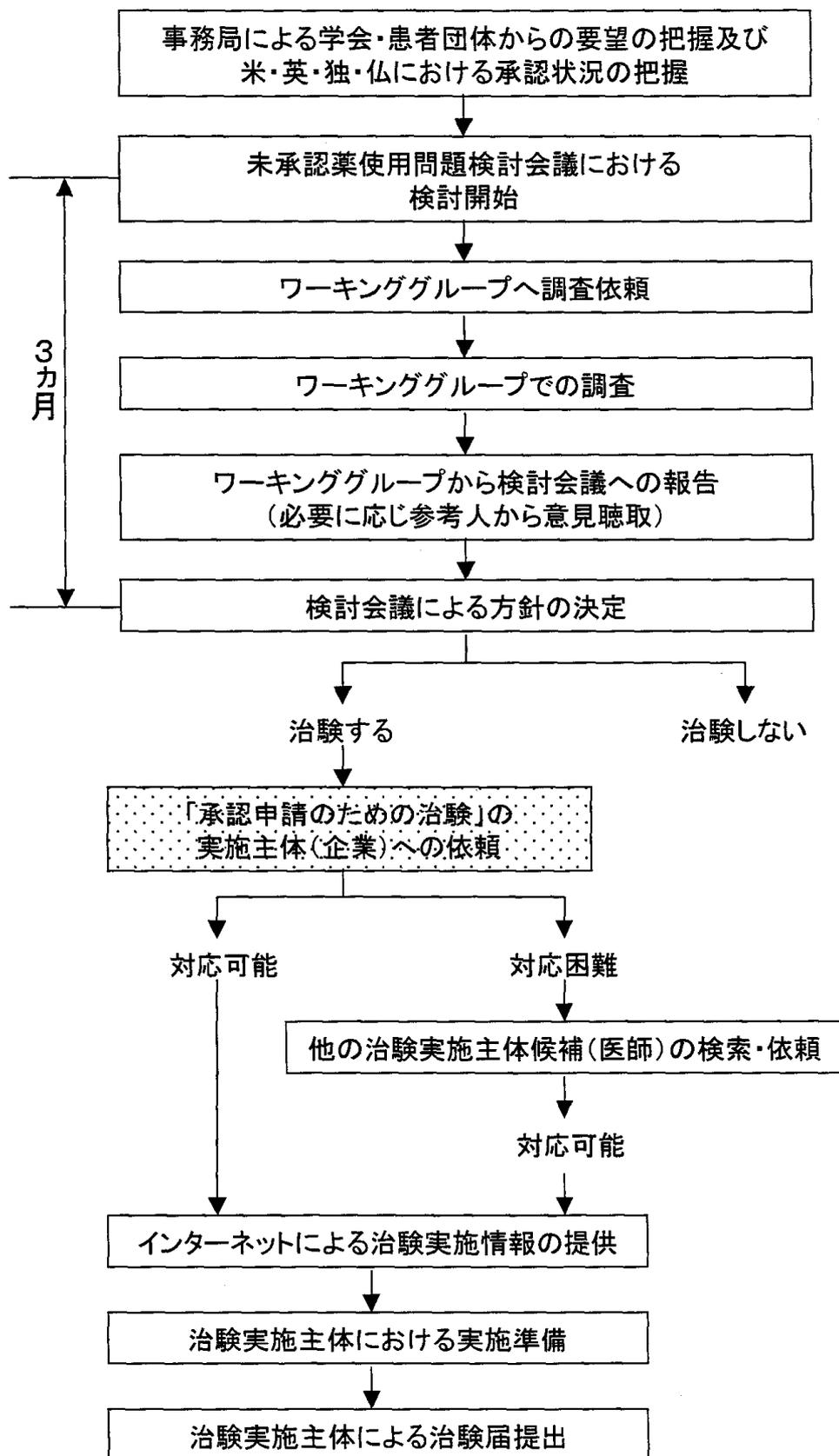
有吉 寛	愛知県立愛知病院名誉院長
大澤真木子	東京女子医科大学医学部教授
川西 徹	国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部長
栗山 喬之	千葉大学医学部教授
黒川 清	東京大学先端科学技術研究センター客員教授
後藤 元	杏林大学医学部教授
篠山重威	浜松労災病院長
寺岡 暉	日本医師会治験促進センター長
浜田知久馬	東京理科大学工学部助教授
林 昌洋	虎ノ門病院薬剤部長
堀田知光	東海大学医学部教授
堀内龍也	群馬大学医学部附属病院薬剤部長
吉田茂昭	国立がんセンター東病院長

(※ 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。)

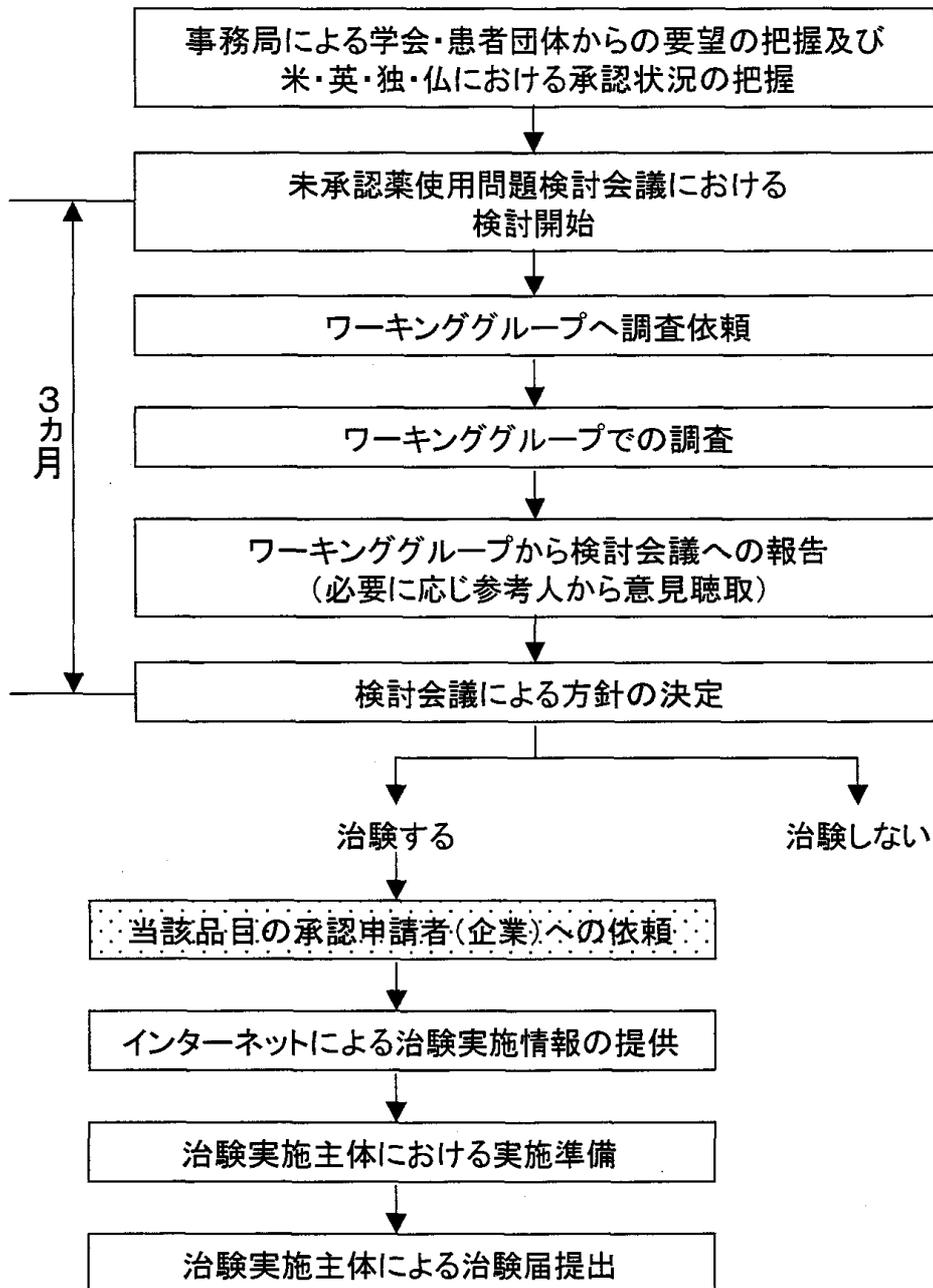
(1)承認申請のための治験



(2) 追加的治験



(3) 安全性確認試験(仮称)



未承認薬を治験対象とする場合の考え方(改訂案)

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(致命的な疾患)
- 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（改訂案）

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(案)

- ・ 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。

未承認薬に係る治験について（案）

1 未承認薬に係る治験の種類

- 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、制度的に切れ目なく保険診療との併用が可能な体制を確立するため、確実な治験の実施に繋げる必要がある。
- このような未承認薬に係る治験には、次の3種類がある。
 - ① 承認申請のための主たる治験（以下「承認申請のための治験」という。）
 - ② ①の開始後に、新たに治験に参加する被験者のための治験（以下「追加的治験」という。）
 - ③ 承認申請中に、承認後の使用実態を想定して実施する治験（以下「安全性確認試験（仮称）」という。）
- なお、いずれも薬事法第2条第9項に規定する治験であることから、承認申請時又は承認申請中に国へ提出する資料の収集を目的としたものとして位置づけられる。

（参考）薬事法第2条第9項

この法律で「治験」とは、第14条第3項（同条第7項、第19条の2第4項及び第23条において準用する場合を含む。）の規定により提出すべき資料のうち臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的とする試験の実施をいう。

2 承認申請のための治験

(1) 「承認申請のための治験」の位置付け

- 「承認申請のための治験」とは、
 - ・ 学会・患者団体から使用の要望が出されている未承認薬について、
 - ・ 薬事法上の承認申請を主目的として、企業依頼又は医師主導によって実施される治験をいう。

- 本治験は、企業に対し実施の可否の検討を依頼するものとするが、実施が困難な場合、医師主導治験による対応も検討する。

(2) 実施の対象となる薬剤

未承認薬のうち、国内において治験が未だ開始されていないものであって、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

(3) 参加対象患者の範囲

未承認薬の使用を希望する次の患者

- ・ 「承認申請のための治験」の患者選定基準に適合する患者

3 追加的治験

(1) 「追加的治験」の位置付け

- 「追加的治験」とは、
 - ・ 「承認申請のための治験」が既に開始され、又は開始に向けた準備を終えた未承認薬について、
 - ・ 未承認薬の有効性・安全性を追加的に確認すること及び希望する患者に使用機会を提供することを目的とした試験として、「承認申請のための治験」とは別に実施される治験をいう。

- 本治験は、企業に対し実施の可否の検討を依頼するものとするが、実施が困難な場合、医師主導治験による対応も検討する。

(2) 実施の対象となる薬剤

「承認申請のための治験」が既に開始又は開始に向けた準備を終えた未承認薬のうち、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

(3) 参加対象患者の範囲

未承認薬の使用を希望する次のいずれかの患者

- ・ 「承認申請のための治験」の患者選定基準に適合する患者
- ・ 主治医等による適切な医学的判断・管理がされている患者

4 安全性確認試験（仮称）

（１）「安全性確認試験（仮称）」の位置付け

- 「安全性確認試験（仮称）」とは、
 - ・ 学会・患者団体から使用の要望が出されている未承認薬のうち、「承認申請のための治験」が終了したもの、又は承認申請中のものについて、
 - ・ あらかじめ、承認後の使用実態を想定して、臨床使用成績を把握することにより、承認時に一層の適正使用を図るために、治験終了後承認申請前又は承認申請中に実施される治験をいう。

- 本試験は、市販後の臨床使用時と同等の疾病素因をもつ患者群を対象とするため、併用薬との相互作用等を含め、承認後に注意すべき副作用や使用上の注意について、承認審査の過程で確認することができる。

- 「安全性確認試験（仮称）」は、承認後の使用実態を想定して実施する試験であるため、企業依頼治験とする。

（２）実施の対象となる薬剤

「承認申請のための治験」が終了、又は承認申請中の未承認薬のうち、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

（３）参加対象患者の範囲

承認取得後に、主治医等による適切な医学的判断・管理の下、未承認薬が使用されることが想定される患者と同等の患者

5 実施に関する手順

(1) 「承認申請のための治験」及び「追加的治験」について

① 実施に向けた試験計画の策定等

イ 国は、未承認薬について、学会・患者団体等から使用の要望があった場合、未承認薬使用問題検討会議の意見を聴く。

(あらかじめ、企業依頼治験の実施状況を確認。)

ロ 検討会議は、専門的見地から治験実施の妥当性を検証し、治験実施に関する意見をとりまとめる。

ハ 未承認薬を開発する企業は、検討会議における意見を踏まえ、国からの要請に基づき、企業依頼治験実施の可能性を検討する。当該企業は、実施することとした場合、速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。

ニ 医師主導治験を実施することとした場合、国は検討会議の意見を踏まえ、未承認薬の調達や関係資料・情報の入手等が円滑に進むよう、関係企業との協議、入手ルート確保等に努める。治験責任医師は、それぞれの医療機関で速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。

② 治験の実施及び終了等

ホ 企業又は医師は、試験計画に基づき、速やかに患者登録を開始し、治験を実施するとともに、「追加的治験」については、あらかじめ定めた治験実施期間が終了する前に、治験の継続等について国と協議する。

ヘ 国は、企業又は医師から治験の継続等に関する協議を受けた場合、検討会議の意見を聴いた上で、治験の継続等を判断する。

(2)「安全性確認試験（仮称）」について

① 実施に向けた試験計画の策定等

イ 未承認薬を開発する企業は、国からの要請に基づき、未承認薬使用問題検討会議での検討に先立ち、「承認申請のための治験」等の実施中に、あらかじめ「安全性確認試験（仮称）」の試験計画を策定する。

ロ 国は、試験計画及びそれに基づく本試験の実施について、検討会議の意見を聴く。

ハ 検討会議は、専門的見地から本試験実施の妥当性を検証し、実施に関する意見をとりまとめる。

ニ 企業は、検討会議における意見を踏まえ、本試験実施の可能性を検討する。

当該企業は、実施することとした場合、速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。

② 治験の実施及び終了等

ホ 企業は、学会・患者団体等から使用の要望があることが明らかとなった時点で、試験参加希望者の主治医及び関係学会との協議を開始する。

(注) 協議の内容： 実施施設の選定、実施施設間のコーディネーターの選定、参加者数の把握・確定・登録、費用負担など

ヘ 企業は、治験届提出後、試験計画に基づき、速やかに患者登録を開始し、治験を実施する。

ト 企業及び国は、試験計画策定時に、本試験の実施予定期間を定めることとするが、承認審査の状況に応じ、検討会議の意見を聴いた上で、実施期間の延長について判断する。