

ヒアリング希望団体及び意見提出
のあった団体等の意見

(目次)

1. ヒアリングを実施する団体の意見

① 日本小児科学会薬事委員会	1
② NPO法人 日本がん患者団体協議会	7
③ 全国薬害被害者団体連絡協議会	33
④ 米国研究製薬工業協会 (PhRMA)	35
⑤ 欧州製薬団体連合会 (EFPIA Japan)	44

2. ヒアリングを実施しない団体等の意見

(1) ヒアリングに応募のあった団体

① 有限責任中間法人 日本核医学会	46
② EMBOFORUM (エボフォーラム)	49
③ 社団法人 日本てんかん協会	60
④ 薬害ワブ・スペース会議	63
⑤ NPO法人医薬ビジネスセンター (薬のチェック)	65
⑥ 薬害イッパ訴訟東日本弁護士及び西日本弁護士	105
⑦ RHC USA Corporation 日本支社	107
⑧ 日本大衆薬工業協会	109
⑨ 日本放射性医薬品協会	111

(2) 意見のみ提出のあった団体等

① 研究対象者保護を考える会	114
② 東京大学医療政策人材養成講座	116
③ 東京大学大学院薬学系研究科医療政策学	132
④ 全国パーキンソン病友の会	146
⑤ K&M (鈴鹿市男女共同参画センター)	147
⑥ 大阪医薬品協会 治験推進研究会	149
⑦ 創薬推進連絡協議会	151
⑧ 社団法人 細菌製剤協会	153

「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会ヒアリング意見書」

- 団体の名称：日本小児科学会薬事委員会
- 代表者氏名：日本小児科学会薬事委員長 伊藤 進（香川大学小児科教授）
- 団体の概要：

（目的）小児の薬物療法を有効で安全なものにするために活動する。

（組織構成）委員長 伊藤 進

委員	板橋 家頭夫	（昭和大学小児科教授）
	大澤 真木子	（東京女子医科大学小児科教授）
	佐地 勉	（東邦大学小児科教授）
	中川 雅生	（滋賀医科大学医学部附属病院治験管理センター助教授）
	中村 秀文	（国立成育医療センター治験管理室長）
	横田 俊平	（横浜市立大学小児科教授）
薬事専門委員	越前 宏俊	（明治薬科大学薬物治療学教授）
	松田 一郎	（北海道医療大学学長）
薬事担当理事	脇口 宏	（高知大学小児思春期医学教授）
	藤村 正哲	（大阪府立母子保健総合医療センター総長）

（事業又は活動内容）

上述の目的遂行のために、平成 16 年度より「小児科領域における適応外使用解決と治験推進のためのアクションプラン」を作成し、それに沿って活動している。平成 17-18 年度のアクションプランを添付する。

意見内容

「有効で安全な小児医薬品を迅速に提供するため」に、厚生労働省も「小児薬物療法検討会議」及び「未承認薬使用問題検討会議」を立ち上げ、臨床的ニーズの高い適応外使用医薬品及び未承認医薬品の早期承認に取り組んでいるところである。これらの方策は一定の成果をもたらすことは期待されるものの、あくまで暫定的な対応であり、国内における根本的な小児治験推進策の策定と審査体制の強化が同時進行で行われなければ「欧米と比べた承認の遅れ」を解決することは出来ない。むしろ国内小児治験の数と質の低下をもたらす可能性すらあり、国内の小児医薬品開発力の更なる低下につながりかねない。

（1）承認審査の方針や基準の明確化と市販後安全対策への取り組み

小児の医薬品は、アンメット・ニーズ医薬品（医療ニーズが高いが、製薬企業が開発しない医薬品）が多く、後述のように製薬企業へのインセンティブ・義務化や各種体制整備が必要である。承認審査の中では以下の点を考慮すべきである。

承認審査において、成人で開発される医薬品に関して、小児での必要性が認められる医薬品については小児集団を開発対象に入れることを義務付ける。また、審査費用の減免（英国などで実施中と聞いている）、重要な小児用医薬品に関しては積極的に優先相談・審査制度を適用すること、等も考慮していただきたい。

製造販売後安全対策については、平成 11 年医薬審第 107 号にあるように、再審査期間中

の医薬品のみならず小児および胎児への薬剤の有害事象について製造販売後の十分な調査を製薬企業に徹底する必要がある。また、アクションプラン「7) 製造販売後調査・使用実態調査を活用した小児の情報収集の枠組み作り」で記載したように機構と小児科医側が協力体制を作り、製造販売後の監視システムが構築できないかを検討する。製造販売後調査の枠組みの中に、小児適応外医薬品の有効性や安全性を高めるために PK/PD のデータが取れるように薬物血中濃度測定を入れることも検討していただきたい。

(2) 治験相談・承認審査の体制の充実

治験相談・承認審査については、小児科の臨床実態や小児医薬品開発の特殊性を十分に理解・考慮しているとは言いがたいコメント・照会事項が出されることも多いと聞いている。今後、小児薬物療法検討会での検討品目も審査に上がってくる現状を勘案し、優秀な小児科医の審査専門員を適正配置し、小児科領域に十分対応可能な審査体制を整備いただきたい。

また(1)にも示したように、審査費用の減免、重要な小児用医薬品に対する優先相談・審査制度の適用、等も考慮していただきたい。優先審査品目の選定については、専門家による適正な優先順位づけが行われる体制が必要となる。

(3) その他医薬品の安全かつ迅速に資する事項

小児の医薬品は、アンメット・ニーズ医薬品が多く、製薬企業は開発の着手すら困難な状況である。厚生労働科学特別研究事業「『適応外使用』の対応に係る現状と今後の対応のあり方に関する研究」(主任研究者 黒川 清)平成16年度総括・分担研究報告書 pp49-54にあるように、欧米では小児治験推進のために、インセンティブや義務化等の法整備、規制当局・行政及び現場の体制整備等が急速に進んでおり、我が国でも企業へのインセンティブ、義務化や体制整備についての検討が至急開始されるべきである。

現状では、製造販売後に小児臨床試験を実施した場合には再審査期間延長という企業へのインセンティブがあるものの、成人と同時開発をした際のインセンティブは欠如している。製薬企業からは、その医薬品の成人における審査期間の短縮のインセンティブ等の要求もある。小児医薬品の薬価についても、なお一層の改善を期待するものである。オーファンドラック適用を受けた医薬品については市販後調査の公的補助等の仕組み等も検討されるべきであろう。

小児科の日常臨床において、成人用の薬剤の脱カプセル、錠剤の粉砕化、承認・認可を受けた以外の投与経路や注射剤の希釈等多く行われている。これは、小児用剤形開発を製薬企業が怠っているためである。製剤開発経費や薬価の安さ(成人用の薬剤を基準にするため)等がその因子となる。これに関しても、何らかの公的な補助制度や企業へのインセンティブが必要である。

再審査期間終了後の古い医薬品については現行のシステムでは、企業への開発のインセンティブはない。また、個人輸入薬、試薬などについても、なかなか国内で開発をしようとする企業がないことが問題となっている。より強力なインセンティブや支援体制が必要である。

さらに、多くの病院で採用されている一増一減の医薬品採用制度では、小児用薬剤が開発され臨床現場で採用されるとそれにより製薬企業が利益率の高い薬剤をその病院の削除品目としてあげなければならない、小児用医薬品の開発意欲を低下させる原因となっている。そのため、病院の小児用医薬品採用に関して一増一減制度の対象とならないような働きかけも必要である。

小児科領域における適応外使用解決と治験推進のための

アクションプラン（平成17-18年度）

日本小児科学会薬事委員会

- 1) 適応外使用解決と小児治験推進を学会のミッションのひとつとする
 - (ア) この問題を学術集会、小児科学会雑誌などで積極的かつ継続的に取り上げる
 - (イ) 治験・臨床試験を理解する小児科医の育成をはかる
 - ① 若手医師の研修支援
 - ② 医薬品・医療機器総合機構などへの小児科医師派遣の推進
 - (ウ) 治験実施を業績として認める（例えば小児科専門医の研修単位として認める）方向での働きかけを行う
 - (エ) 各分科会及び関連学会に薬事委員会を設立し取り組みを強化し、厚生労働科学研究松田班（旧大西班）での活動を恒常的な小児科学会での活動へ発展させる
 - ① 適応外使用解決についての取り組み内容は、各分科会から業績として提出いただき、取り組みの記録と経験の蓄積を図る
 - (オ) 製薬企業や行政からの小児医薬品開発に関する諮問を受けられるような専門委員会を学会内に作る
 - (カ) 本アクションプランに従い、必要に応じて関係機関へ要望書を提出する
- 2) 適応外使用医薬品全体の類型分類と優先順位付けを進め、それぞれについて解決の方策を探る
 - (ア) 欧米諸国で承認され、国内にない医薬品（未承認薬）
 - (イ) 薬物療法根拠情報収集事業での類型分類（別添1）
 - (ウ) 薬物療法根拠情報収集事業での優先度決定基準（別添2）
- 3) 試薬、各医療機関で化学合成あるいは剤形を変更して使用している薬品、もしくは個人輸入医薬品等の問題解決の枠組みを作る
 - (ア) 実態把握を行い、解決の方策を探り、関係機関との話し合いをもつ
 - (イ) 製薬企業によって開発され、正式に承認されることが好ましい。そのためには、製薬企業へのインセンティブ、プロトコル作成支援、補助金制度などの体制作りについて、関係機関との話し合いが必要
- 4) 小児治験の体制を整備する
 - (ア) 大規模治験ネットワークを成功させる
 - ① 現在進行中の医師主導治験を基にした治験の基盤作り
 - ② 小児薬物療法根拠情報収集事業及び未承認使用問題検討会議への援助
 - ③ 今後の予算獲得を円滑にするためにも、小児科領域の実績を上げることが必要
 - (イ) 小児治験体制整備の支援への関係機関に働きかける
 - ① 治験管理体制の立ち上げの援助のみでなく、人件費についての援助が必須
 - ② 小児治験・臨床試験を理解した人材の育成
 - (ウ) 小児臨床試験の体制整備にも繋げられるような枠組み作りが理想
- 5) 製薬企業へのインセンティブの法令化についての働きかけ

- (ア) 特許期間・再審査期間延長、薬価優遇、優遇税制
 - (イ) 治験相談、審査の優先や、相談料、審査料の減免
 - (ウ) 特許権切れ・再審査期間終了後の古い医薬品や、個人輸入薬、試薬などの開発のインセンティブや支援体制
 - (エ) 小児医薬品の薬価設定基準のさらなる見直しの要請
これまでも、小児科学会からの依頼を受けて開発された医薬品が、価格面での折り合いがつかずに薬価収載が大幅に遅れたことがある。こうした事態は、企業の小児医薬品開発意欲抑制につながる。
- 6) 小児治験の要請権、義務化についての働きかけ
- (ア) 法令化への働きかけが必要
例えば、厚生労働大臣に小児治験の要請権
 - (イ) 小児医薬品開発の諮問委員会、必要であれば規制当局に担当部署の設置
 - ① 委員会の質の維持が重要
 - ② 小児科医を規制当局に派遣し、薬事行政を理解した小児科医を増やすことが必要
 - ③ 小児臨床試験のトレーニングを受けた小児科医が必要
- 7) 製造販売後調査・試験を活用した小児の情報収集の枠組み作り
- (ア) 学会として製薬企業の市販後調査に協力（例：タミフルの1歳未満の特別調査）
 - (イ) 公的な研究費による使用実態調査（副作用情報の収集も含む）：医薬品医療機器総合機構などとの連携ができないか
 - (ウ) 添付文書（使用上の注意や安全性としての情報など）に反映させることを目標
- 8) 妊娠および授乳中の医薬品投与の安全性情報充実に向けての活動
- (ア) 関連学会、関連機関との連携が必要
 - (イ) 海外での取り組みなどを参考に、日本における取り組みについての検討を行う
 - (ウ) 情報収集し、添付文書に反映させることを目標
- 9) *病院の小児医薬品採用に関する行政側の働きかけを要請
- 10) 一般社会への啓発活動
- 11) *ゲノム薬理学の展開に備えて薬効、副反応などの明確な個人差が認められる医薬品のリストアップをはかる。

*平成18年11月18日追加項目

別添 1

本事業で対象とする医薬品の類型

(厚生労働省医薬食品局審査管理課 小児薬物療法根拠情報収集事業より)

- 1) 国内に同一有効成分の医薬品はあるが、必要な剤形が無いもの
(例：現在、脱カプセル、錠剤つぶし、静注用製剤の経口投与で対応している場合など)
- 2) 国内に同一有効成分及び同一剤形の医薬品はあるが、小児（あるいは特定の年齢群）の必要な適応（以下「新規適応」という。）が無いもの
(ア) 小児（あるいは特定の年齢群）の他の適応はある（用量や安全性の評価がある程度されている）
 - ① 成人や他年齢群でも新規適応がない
 - ② 成人や他年齢群では新規適応がある
(イ) 小児（あるいは特定の年齢群）の他の適応もない
 - ① 成人や他年齢群でも新規適応がない
 - ② 成人や他年齢群では新規適応がある
- 3) 国内に同一有効成分、同一剤形及び同一適応の医薬品はあるが、小児（あるいは特定の年齢群）の用量が不明確のもの
(ア) 海外（米（PDR）、英、独、仏など、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。以下同じ。）の添付文書でも明確な用量記載がない
(イ) 海外の添付文書では明確な用量記載がある
- 4) 小児での安全性が確立していないもの、安全性の記載が不十分あるいは行き過ぎているもので、保険で査定される可能性が比較的高い等の問題があるもの
- 5) その他
試薬を転用している医薬品、施設で化学合成している医薬品など

別添2

対象医薬品の優先度決定の基準

(厚生労働省医薬食品局審査管理課 小児薬物療法根拠情報収集事業より一部追加)

以下の(ア)に記載されているレベルのエビデンスがあり、かつ、(イ)のいずれかを満たす医薬品について、(ウ)の観点も加味して優先度を決定する。

(ア) エビデンスレベル

- ① アメリカ、イギリス、ドイツ及びフランスなど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承認された効能・効果及び用法・用量を持つ医薬品が原則
- ② ①でない場合、複数の第Ⅲ相試験がある、あるいは多くの世界的に認められた教科書に標準的治療として記載されている等、エビデンスが十分にあると考えられる医薬品

以上の医薬品をエビデンス有とし、その他をエビデンス無とする。

(イ) 適応疾病の重篤度等

- ① 適応疾病が重篤であり、生命に重大な影響がある疾患
- ② 適応疾病が重篤であり、病気の進行が不可逆 及び／又は 日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ③ 適応疾病は重篤ではないが日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ④ ①～③に該当しない

以上の①から④のいずれかを記載する。

(ウ) 小児科領域における医療上の有用性

- ① 既存の治療法・予防法が無い
- 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 本邦で広範に使用され、用法・用量等を適正化することによる臨床現場への影響が大きい
- ④ ①～③に該当しない

以上の①から④のいずれかを記載する。

有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会ヒアリング意見書

○ 団体の名称

NPO法人 日本がん患者団体協議会

○ 代表者の氏名

山崎 文昭

○ 団体の概要（目的、組織構成、事業又は活動の内容）

日本のがん医療の向上を目指して活動するがん患者会の連合体。複数のがん患者会が課題ごとに連携・協力して活動することを目的に発足した、全国横断的なネットワークである。

○ 承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見内容

欧米で承認された国内未承認薬使用問題や適応外使用問題は、がんのように命に係る疾患では大きな問題である。

確かに国内での治験による有効性・安全性の確認が必要不可欠な薬もあるだろうが、リスクとベネフィットを考慮し、人類の共有財産である薬剤の速やかな使用環境の整備も疎かには出来ない。

新たな制度を考えて、薬の承認を迅速化する必要がある。

そのためには、がん医療で始まった国のがん対策情報センターを中心とした枠組みを使い、全国の医療機関のネットワークで対応するのがベストと考える。