

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱

厚生労働省医政局研究開発振興課
医薬食品局審査管理課

1. 目的

- 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薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進に資することを目的とする。

2. 検討事項

- (1) 医療上の必要性
 - ・ 生命に重大な影響がある疾患である等、適応疾患が重篤であること
 - ・ 当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があることのいずれにも該当するか否かを検討する。
- (2) 公知申請への該当性及び追加実施が必要な試験
医療上の必要性が高いと評価された未承認薬・適応外薬について、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認する。
- (3) その他
製薬企業が開発を行う医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬について、定期的に開発進捗状況を確認する。
また、未承認薬・適応外薬の開発助成の是非、支援額の上限についての検討・確認を行う。
その他、必要な事項の検討を行う。

3. 構成員

- 検討会議は、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し、各疾患領域に対応する。
- 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回を目途に開催するが、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、検討事項について具体的な調査を行うため、各疾患領域に係る専門家からなる専門作業班会議を開催することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局審査管理課が行い、医政局研究開発振興課及び保険局医療課がこれに協力する。

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

構 成 員

五十嵐	隆	東京大学医学部教授
伊藤	進	香川大学医学部教授
岩田	敏	慶應義塾大学医学部感染制御センター教授
大塚	頌子	岡山大学大学院医歯薬学総合研究科教授
岡部	信彦	国立感染症研究所感染症情報センター長
小川	聡	国際医療福祉大学三田病院病院長
落合	和徳	東京慈恵会医科大学産婦人科教授
川西	徹	国立医薬品食品衛生研究所
後藤	元	杏林大学医学部長
白幡	聡	北九州総合病院副院長
友池	仁暢	独立行政法人国立循環器病研究センター病院長
西川	秋佳	国立医薬品食品衛生研究所安全性生物試験研究センター長
樋口	輝彦	独立行政法人国立精神・神経医療研究センター理事長
藤原	康弘	独立行政法人国立がん研究センター中央病院臨床試験・治療開発部長
◎堀田	知光	独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター院長
村山	純一郎	昭和大学病院薬剤部長
山本	一彦	東京大学医学部アレルギーリウマチ内科教授
横谷	進	独立行政法人国立成育医療研究センター内科系専門診療部長
吉村	功	東京理科大学名誉教授

◎：座長

専門作業班(WG)の設置について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

検討指示 ↓ ↑ 検討案の上程

専門作業班(WG)

7つの班で、品目毎の個別具体的検討



※ 小児WGは、分野横断的に対応

各WGに5～10名程度の専門家を配置

<検討事項>

- 医療上の必要性
- 公知申請への該当性
- 承認申請のために追加で実施が必要な追加試験 等

企業見解
文献報告
海外規制情報
等

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
 専門作業班(WG)メンバー

WG名	氏名	所属
代謝・その他WG (代謝性疾患、 他に分類される疾患)	花岡 英紀 小早川 雅男 川上 由育 軒原 浩 大森 崇	国立大学法人千葉大学医学部附属病院臨床試験部 部長・講師 独立行政法人国立国際医療研究センター病院消化器科 広島大学医学部附属病院臨床研究部 講師 独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長 同志社大学 文化情報学部・准教授
循環器WG (循環器、生殖器、診 断用)	山本 晴子 戸高 浩司 池田 正行 又吉 哲太郎 水上 愛弓 海野 信也 齊藤 英和 高野 幸路 日下部 きよ子 中込 忠好 大森 崇	独立行政法人国立循環器病研究センター 臨床研究部 治験推進室長 国際医療福祉大学 教授 長崎大学 医歯薬学総合研究科 生命医科学講座 創薬科学 教授 琉球大学医学部附属病院専門研修センター 特命助教 榊原記念病院小児科 北里大学医学部産婦人科学教室 教授 独立行政法人国立成育医療研究センター病院 母性医療診療部 不妊診療 科医長 東京大学医学部附属病院腎臓・内分泌内科 講師 東京女子医科大学 名誉教授 帝京大学医学部 教授 同志社大学 文化情報学部・准教授
精神・神経WG	中林 哲夫 勝野 雅央 中村 治雅 稲垣 中 渡邊 衡一郎 山口 拓洋	独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メ ディカルセンター 臨床研究支援室長 名古屋大学高等研究院(医学系研究科神経内科) 特任講師 独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メ ディカルセンター 臨床研究支援室長代理 慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科准教授 慶應義塾大学医学部精神・神経科学講座 専任講師 東北大学病院 教授
抗菌・抗炎症WG	金澤 實 宮崎 義継 竹中 圭 井上 彰 小早川 雅男 越前 宏俊 鈴木 文仁 花岡 英紀 齋藤 好信 山口 拓洋	埼玉医科大学 呼吸器病センター呼吸器内科 教授 国立感染症研究所 国立感染症研究所 部長 博慈会記念総合病院第一内科部長 国立大学法人東北大学病院 呼吸器内科 助教 独立行政法人国立国際医療研究センター病院消化器科 明治薬科大学 薬物治療学教室 教授 横浜市立みなと赤十字病院 内科 医長 国立大学法人千葉大学医学部附属病院臨床試験部 部長・講師 日本医科大学付属病院 呼吸器内科 講師 東北大学病院 教授
抗がんWG	安藤 正志 軒原 浩 山中 康弘 高島 純哉 北澤 英徳 秋山 哲平 柴田 大朗	独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長 独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長 栃木県立がんセンター 医長 兜町診療所 院長 富山県済生会高岡病院 副部長 国立病院機構 豊橋医療センター 独立行政法人国立がん研究センターがん対策情報センター 室長
生物WG (血液、ワクチン)	中川 雅生 土田 尚 石川 洋一 林 邦彦	滋賀医科大学医学部附属病院 治験管理センター長 独立行政法人国立成育医療研究センター総合診療部 独立行政法人国立成育医療研究センター副薬剤部長 群馬大学医学部保健学科教授
小児WG	中村 秀文 中川 雅生 土田 尚 石川 洋一 小村 誠 林 邦彦	独立行政法人国立成育医療研究センター臨床研究センター治験推進室長 滋賀医科大学医学部附属病院 治験管理センター長 独立行政法人国立成育医療研究センター病院総合診療部 独立行政法人国立成育医療研究センター病院副薬剤部長 独立行政法人国立成育医療研究センター病院薬剤部主任 群馬大学医学部保健学科教授