

「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。

未承認薬・適応外薬に係る開発の要望の公募について

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療上必要な医薬品や適応(未承認薬・適応外薬)に係る要望の公募を実施。募集期間は、昨年6月18日から、8月17日まで。

今後は、未承認薬・適応外薬の開発促進に資するため、医療上の必要性の評価、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の確認などを行う。

<公募する要望の条件>

○未承認薬

欧米4か国(米、英、独、仏)のいずれかの国で承認されていること

○適応外薬

欧米4か国のいずれかの国で承認(公的医療保険制度の適用を含む)されていること

「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

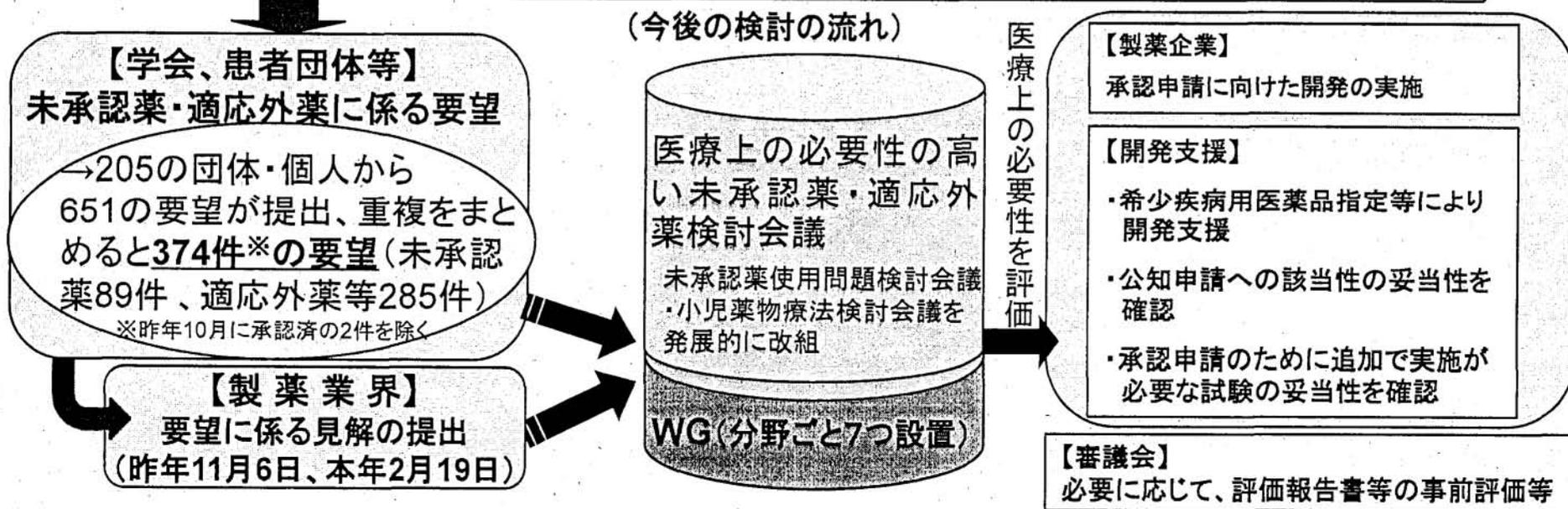
- ア 生命の重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

(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

※ 学会等にあつては、科学的エビデンスに基づく有効性及び安全性の評価等を添付して提出

2



国立病院機構における結核医療の取り組み

国立病院機構における結核医療については、平成21年度を初年度とする5年間の中期目標及び中期計画において適切な実施を明確化しており、診療、臨床研究、教育研修を一体とした取り組みを推進。

診療

- 全国の入院患者の43%を診療
- 多剤耐性結核など難治性の患者を多く受入
 - ・全国の多剤耐性結核患者の66%を診療
- 呼吸器内科及び感染症内科の医師数は、全国の11.9%にあたる507名が勤務

地域における医療連携を推進

- ・地域医療支援病院 40病院
- ・紹介率 55.0% 逆紹介率 44.1%
- ・地域連携パス実施病院数：65病院

臨床研究

○呼吸器疾患研究ネットワーク
結核病床を有する53病院のうち39病院が参加する呼吸器疾患研究ネットワークを形成

○ネットワークを活用した研究
国立病院機構のネットワークを活用した多施設共同研究を実施

(具体例)

- ・多剤耐性結核・超薬剤耐性結核の実態調査及び治療法等 (H21-23 23施設)
- ・高齢結核の実態調査と治療マニュアル作成と宿主要因解析 (H21-23 24施設)

教育研修

○初期研修医
基幹型臨床研修指定病院と結核病床を有する病院の連携による初期臨床研修の実施

(具体例)

- ・岡山医療⇒南岡山病院 1か月(約15名/年)
- ・長崎医療⇒長崎川棚医療2か月(約1名/年)
- ・東京医療⇒東埼玉病院 1か月(約15名/年)
- 神奈川病院 1か月(約15名/年)

(参考) 臨床研修指定病院 基幹型 53病院
協力型 116病院

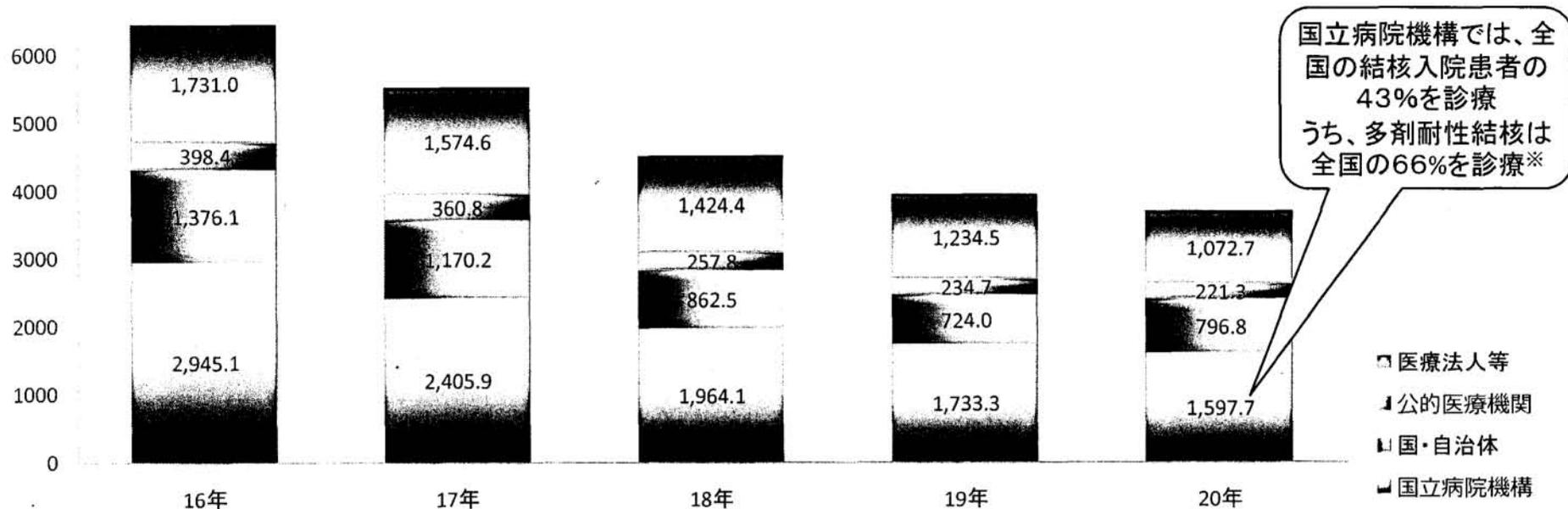
○機構独自の専修医制度(後期研修医)
結核研修を取り入れた呼吸器科専門プログラム等の実施

中期計画(抜粋)

地域医療への一層の貢献とともに、これまで担ってきた結核やエイズをはじめとする感染症、重症心身障害、筋ジストロフィーをはじめとする神経・筋疾患、精神科医療など他の設置主体では必ずしも実施されないおそれのある医療について、政策医療ネットワークを活用し、引き続き適切に実施することによりセーフティーネットとしての機能を果たす。特に、以下に掲げる事項について一層の推進を図る。

【結核医療など】 結核との重複疾患への対応
薬剤耐性結核への対応

一日あたりの結核入院患者数の推移(全国)



	16年	17年	18年	19年	20年
国立病院機構	(45.7%) 2,945.1人	(43.7%) 2,405.9人	(43.6%) 1,964.1人	(44.1%) 1,733.3人	(43.3%) 1,597.7人
国・自治体	(21.3%) 1,376.1人	(21.2%) 1,170.2人	(19.1%) 862.5人	(18.4%) 724.0人	(21.6%) 796.8人
公的医療機関	(6.2%) 398.4人	(6.5%) 360.8人	(5.7%) 257.8人	(6.0%) 234.7人	(6.0%) 221.3人
医療法人等	(26.8%) 1,731.0人	(28.6%) 1,574.6人	(31.6%) 1,424.4人	(31.4%) 1,234.5人	(29.1%) 1,072.7人
総数	(100.0%) 6,450.6人	(100.0%) 5,511.5人	(100.0%) 4,508.8人	(100.0%) 3,926.6人	(100.0%) 3,688.6人

(出典：病院報告)

※平成20年度国立病院機構共同臨床研究「難治性結核・抗酸菌症の疫学・予防・診断・治療」研究報告書より