

平成15年12月3日

## 第3回優先審査制度等に関する検討会

### 議事次第

1. 優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方等の確認
2. 優先審査制度等に関する検討会中間報告書（案）について
3. その他

---

#### (配付資料)

委員名簿

座席表

第2回優先審査制度等に関する検討会の主な意見

資料1

優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方

資料2

優先審査制度等に関する検討会中間報告書（案）

資料3

## 第 2 回優先審査制度等に関する検討会の主な意見

## 1. 論点について

## (1) 論点 1 について

- 疾患の重篤性の中で、「日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」とその例示とされる「病気の進行が不可逆的な疾患」とでは、患者の不便と治療の困難性というずれがあるので、適切な表現に直すこと。
- 優先審査等の選定にあたっては、治療だけでなく、疾病の予防、診断に関する有用性も含めるべき。

## (2) 論点 3 に関して

- 優先的な治験相談品目の選定に関し、開発初期の段階であっても優先的な治験相談の対象とすべき場合もありうるので、開発初期のデータで選定する余地を残すべき。

## 2. その他

- 品目の選定の際、安全性については限られたデータしかなく市販後の情報収集に任されることもあることから、安全性に関する比較考量の際には、有効性と比べ評価は軽くすべき。
- 品目の選定に関し、データの一貫性等のデータの質の良否も品目選定の判断材料とすべき。
- 医薬品の開発にあたっては、医療経済学的な観点も踏まえることが重要。
- 医療機器の審査には工学系の審査官の拡充が必要。
- 優先審査品目・優先的な治験相談品目の対象疾患としては、米国で対象となっている心血管系、神経系、感染症などを参考に、日米の医療環境の違いを考慮した上で、取捨選択することもひとつの考え方。
- 優先審査について、標準的な事務処理期間を設定してほしい。例えば、優先的な治験相談品目であり、優先審査対象となった品目は審査期間が 6 ヶ月。
- 医療機器の場合、安全性の向上の中に低侵襲性ということも含めるべき。
- 申請前の相談において優先審査に該当するかどうかの判断を行い、申請時点から優先審査が行われることが望ましい。
- 早期の治験相談の中で、今後の医薬品開発方針について協議する機会を設けて欲しい。
- 優先的な治験相談品目に指定されれば、申請資料を分割して事前に提出し、審査できる方法（ローリングサブミッション）を検討して欲しい。
- 品目の選定理由とその結果の公表など選定のプロセスを透明化して欲しい。

## 優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方

1. 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器以外については、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する。

### (1) 適応疾病の重篤性

- 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
- ③ その他

### (2) 医療上の有用性

- 1) 既存の治療法・予防法・診断法がない
- 2) 既存治療法・予防法・診断法に対する医療上の有用性の比較考量
  - ① 有効性の観点
  - ② 安全性の観点
  - ③ 肉体的・精神的患者負担の観点

2. 優先審査品目選定の考え方と優先的な治験相談品目選定の考え方は整合性を図るべき。また、優先審査制度の効率化を図るためにも、優先審査制度と優先的な治験制度との連携が必要。

3. 優先的な治験相談品目の選定は、医療上の有用性を推定できるデータに基づき行う。一般的に医療上の有用性の推定には、海外データも含め、後期第Ⅱ相試験までの結果が必要である。なお、品目の選定にはデータの一貫性などの質を考慮すべきである。

優先審査制度等に関する検討会中間報告書（案）

優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方について

平成15年12月3日

優先審査制度等に関する検討会は、平成15年9月22日、同年10月24日、同年12月3日の3回にわたり検討を行い、優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方を中間報告書としてとりまとめたので報告する。今後、本中間報告書の考え方に対するパブリックコメントを踏まえた上で活用し、制度の円滑な運用が行われるよう期待する。

1. 現状

(1) 優先審査制度について

1) 優先審査制度

優先審査は、薬事法第14条第5項の規定に基づき平成5年から制度化されたものであり、承認申請された医薬品・医療機器が、①希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器、②その他の医療上特に必要性が高いと認められるものに該当する場合に、他の医薬品・医療機器の審査に優先して審査を行うものである。

また、上記②の「その他の医療上特に必要性が高いと認められるもの」とは、次のいずれの要件にも該当するものとされている。

ア 適応疾病が重篤であると認められること

イ 既存の医薬品又は治療方法と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められること

2) 優先審査に指定された品目

これまでに優先審査品目として指定された品目の多くは、致死的な感染症に用いる治療薬、抗悪性腫瘍薬である。平成13年以降に優先審査品目（希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器を含む）で承認されたものは、38成分・機器である。

3) 選定の手順（希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の指定は別途薬事・食品衛生審議会にて行われる）

選定の手順は平成15年4月から以下の手順で行われている。

- ① 申請者は承認申請時に優先審査希望の理由書を添付して申請
- ② 申請後の早い段階で、薬事・食品衛生審議会に属する専門家から意見聴取
- ③ 優先審査品目の指定の可否を決定し、申請者に通知
- ④ 直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得る

## (2) 治験相談制度について

### 1) 治験相談制度

現在、医薬品に関しては、医薬品被害救済研究振興調査機構（以下、「医薬品機構」とする）において、開発企業からの申し込みにより以下のような相談を行っている。相談の申し込み件数は、平成14年度は246件となっている。

- ① 新医薬品開発のために行う治験に関する相談
  - ・第Ⅰ相試験開始前相談
  - ・第Ⅱ相試験開始前相談
  - ・第Ⅱ相試験終了後相談
  - ・申請前相談
  - ・個別相談
- ② 再評価・再審査のために行う臨床試験に関する相談

また、医療機器に関しても、平成16年度より独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、「総合機構」とする）において治験相談を実施する予定である。

### 2) 優先的な治験相談制度

より優れた医薬品・医療機器が速やかに医療現場に提供されるよう、平成5年から優先審査制度により承認審査の迅速化が図られてきたが、更に、医薬品・医療機器の開発段階から迅速化を図るために、適切な承認申請資料の作成が効率的に行われるよう、開発者に対する優先的な指導・助言が必要である。

このような観点から、平成16年度より総合機構において、治験相談の中で他の品目に優先して治験相談を行う「優先的な治験相談制度」が開始される予定である。優先的な治験相談は、まず優先的な治験相談品目に該当するか評価が行われ、指定されたものに対して行われる。

## 2. 今後の優先審査品目の選定の考え方

優先審査を行う医薬品・医療機器としては、①希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器、②その他の医療上特に必要性が高いと認められるものがある。「その他の医療上特に必要性が高いと認められるもの」についての優先審査品目選定の考え方は以下の通りとする。

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（別添表参照）

### （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
- ③ その他

### （2）医療上の有用性

- 1) 既存の治療法・予防法・診断法がない
- 2) 既存の治療法・予防法・診断法に対する医療上の有用性の比較考量

以下に分けて判断

- ① 有効性の観点
- ② 安全性の観点
- ③ 肉体的・精神的患者負担の観点

## 3. 今後の優先的な治験相談品目

### （1）選定の考え方について

優先審査品目の選定の考え方と同様、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する。

### （2）選定に必要なデータについて

優先的な治験相談品目の選定は、医療上の有用性を推定できるデータに基づき行う。一般的に医療上の有用性の推定には、海外データも含め、後期第Ⅱ相試験までの結果が必要である。

### （3）優先審査制度との連携について

優れた医薬品・医療機器が速やかに医療現場に提供されるためには、医薬品・医療機器開発の迅速化、承認審査の迅速化がともに図られることが有用

である。また、承認審査は、質の高い申請資料が提出されればスムーズに行われる。優先的な治験相談品目の指定が承認申請後の優先審査を約束するものではないが、申請者が優先審査を希望する医薬品・医療機器については、優先的な治験相談制度を活用するとともに、その評価を踏まえて承認申請し、優先審査品目の指定を受けることが望ましい。その結果、申請資料の質が確保され、優先審査が効率的に進むことが期待される。

一方、治験相談での助言・指導と、承認審査での判断が異なることがないよう、相談・審査の一貫性を確保することが必要である。

#### 4. その他

優先審査制度等に関するその他の主な意見は以下の通りである。

- 品目の選定の際、安全性については限られたデータしかなく市販後の情報収集に任されることもあることから、安全性に関する比較考量の際には、有効性と比べ評価は軽くすべき。
- 優先的な治験相談品目の選定に関し、開発初期の段階であっても優先的な治験相談の対象とすべき場合もありうるので、早期のデータで選定する余地を残すべき。
- 品目の選定に関し、データの一貫性等のデータの質の良否も品目選定の判断材料とすべき。
- 優先的な治験相談品目・優先審査品目は、通常の治験相談・審査品目とは別に相談・審査チームが担当し、他の品目の審査に影響がないように配慮すべき。
- 優先審査品目・優先的な治験相談品目の選定には、該当分野の専門家の意見だけでなく分野横断的な判断が必要。また、制度の運用にあたっては、相談・審査のヒューマンリソースを考慮することが必要。
- 医療機器の審査には工学系の審査官の拡充が必要。
- 優先審査品目の該当性については医薬品機構の申請前相談で資料の妥当性も含めて十分に評価し、その意見を参考とした適切な資料に対して、申請後厚生労働省において選定することにより、承認申請より審査終了までの期間を短縮しうるので効率的。
- 医薬品・医療機器の開発にあたっては、医療経済学的な観点も踏まえることが重要。

そのほか、業界団体から提出された意見等は以下の通りであった。

- 優先的な治験相談品目・優先審査品目の対象疾患としては、米国で対象とな

っている心血管系、神経系、感染症などを参考に、日米の医療環境の違いを考慮した上で、取捨選択することもひとつの考え方。

- 優先審査について、標準的な事務処理期間を設定してほしい。例えば、優先的な治験相談品目であり、優先審査対象となった品目は審査期間が6ヶ月。
- 医療機器の場合、安全性の向上の中に低侵襲性ということも含めるべき。
- 申請前の相談において優先審査に該当するかどうかの判断を行い、承認申請時点から優先審査が行われることが望ましい。
- 早期の治験相談の中で、今後の開発方針について協議する機会を設けて欲しい。
- 優先的な治験相談品目に指定されれば、申請資料を分割して事前に提出し、審査できる方法（ローリングサブミッション）を検討して欲しい。
- 品目の選定理由とその結果の公表など選定のプロセスを透明化して欲しい。

(別添)

希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器を除く、優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方

適応疾病の重篤性	医療上の有用性		
① 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <u>(+)</u>	既存の治療法・予防法・診断法がない <u>(+)</u>		
	既存の治療法・予防法・診断法に対する医療上の有用性の比較考量		
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 <u>(0)</u>	有効性	安全性	肉体的・精神的患者負担
	① 既存のものに比べて有意に優れる。ただし、医療上意義のある差が認められる場合に限る。 <u>(+)</u> ② 既存のものと同程度 <u>(0)</u> なお、既存のものに有効性が劣るものは対象としない。	① 既存のものに比べ重篤な副作用が少ないなど明らかに安全性上優れる。 <u>(+)</u> ② 既存のものと同程度で、特に問題となるものが見られない。 <u>(0)</u> ③ 既存のものに比べ重篤な副作用が見られる。 <u>(-)</u>	① 患者負担が明らかに軽減化される。 例) (ア) 入院→外来通院可 (イ) 通院回数の激減 (ウ) 侵襲性が著しく改善 <u>(+)</u> ② 既存治療法と同程度 <u>(0)</u> ③ 既存治療法に劣る <u>(-)</u>
③ その他 <u>(-)</u>			

注) (+) はプラス方向で評価、(-) はマイナス方向で評価、(0) はどちらでもないことを定性的に示したものの