

## 「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

- 井上 忠夫 国際医療福祉大学大学院 がん薬物療法学分野教授
- 岩砂 和雄 日本医師会治験促進センター長
- 大塚 頌子 岡山大学大学院医歯薬学総合研究科教授
- 川西 徹 国立医薬品食品衛生研究所薬品部長
- 久保 恵嗣 信州大学医学部内科学第一講座教授
- 後藤 元 杏林大学医学部教授
- 佐川 賢一 東京女子医科大学病院薬剤部長
- 浜田 知久馬 東京理科大学工学部教授
- 樋口 輝彦 国立精神・神経センター総長
- 藤原 久義 兵庫県立尼崎病院院長
- 藤原 康弘 国立がんセンター中央病院臨床検査部長
- 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
- 吉田 茂昭 青森県立中央病院院長

(※ 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。)

## 「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品

類型	概 要
I	平成17年4月以降に欧米4か国(米・英・独・仏)のいずれかの国で承認されたもの
II	過去5年間に学会・患者団体からの要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国のいずれかの国で承認されたもの
III	学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4か国のいずれかの国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの

## 未承認薬検討会議で検討の対象とする未承認薬の考え方

### 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

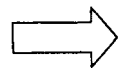
#### (1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- 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



医療上特に必要性が高いと認められるもの

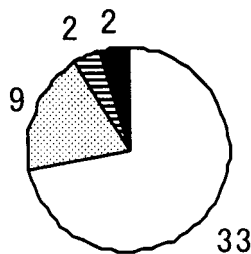
## ワーキンググループの設置について

- ・ 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。

# 未承認薬使用問題検討会議での検討状況

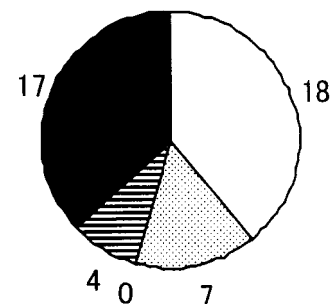
(平成17年1月～:計16回開催)

【検討会議当時の状況】



□ 国内治験前 □ 国内治験中 目 国内治験終了 ■ 承認審査中

【現在の状況】(平成20年6月末現在)



□ 治験実施等に向けて検討要請中 □ 治験実施中/準備中  
 □ 承認申請準備中 目 承認審査中  
 ■ 承認済み

(検討品目の分類)

抗がん剤	22
先天代謝異常症などの小児用薬	11
その他	13
合計	46