

# 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。

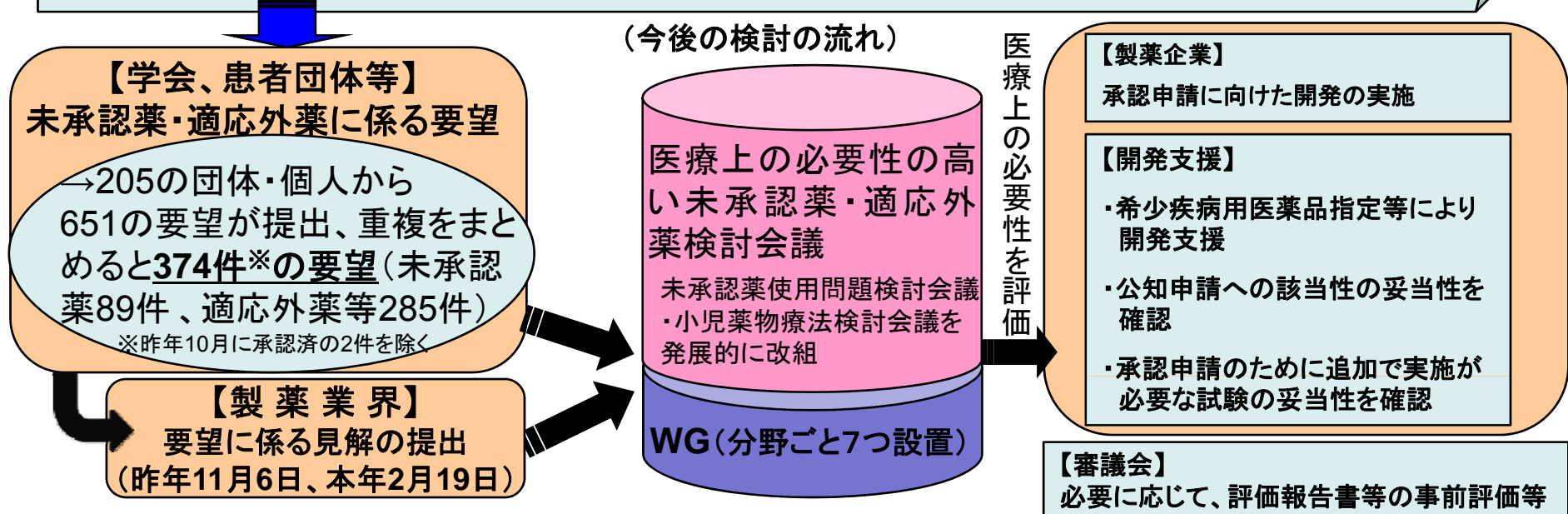
今後は、未承認薬・適応外薬の開発促進に資するため、医療上の必要性の評価、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性の確認などを行う。

## ＜公募する要望の条件＞

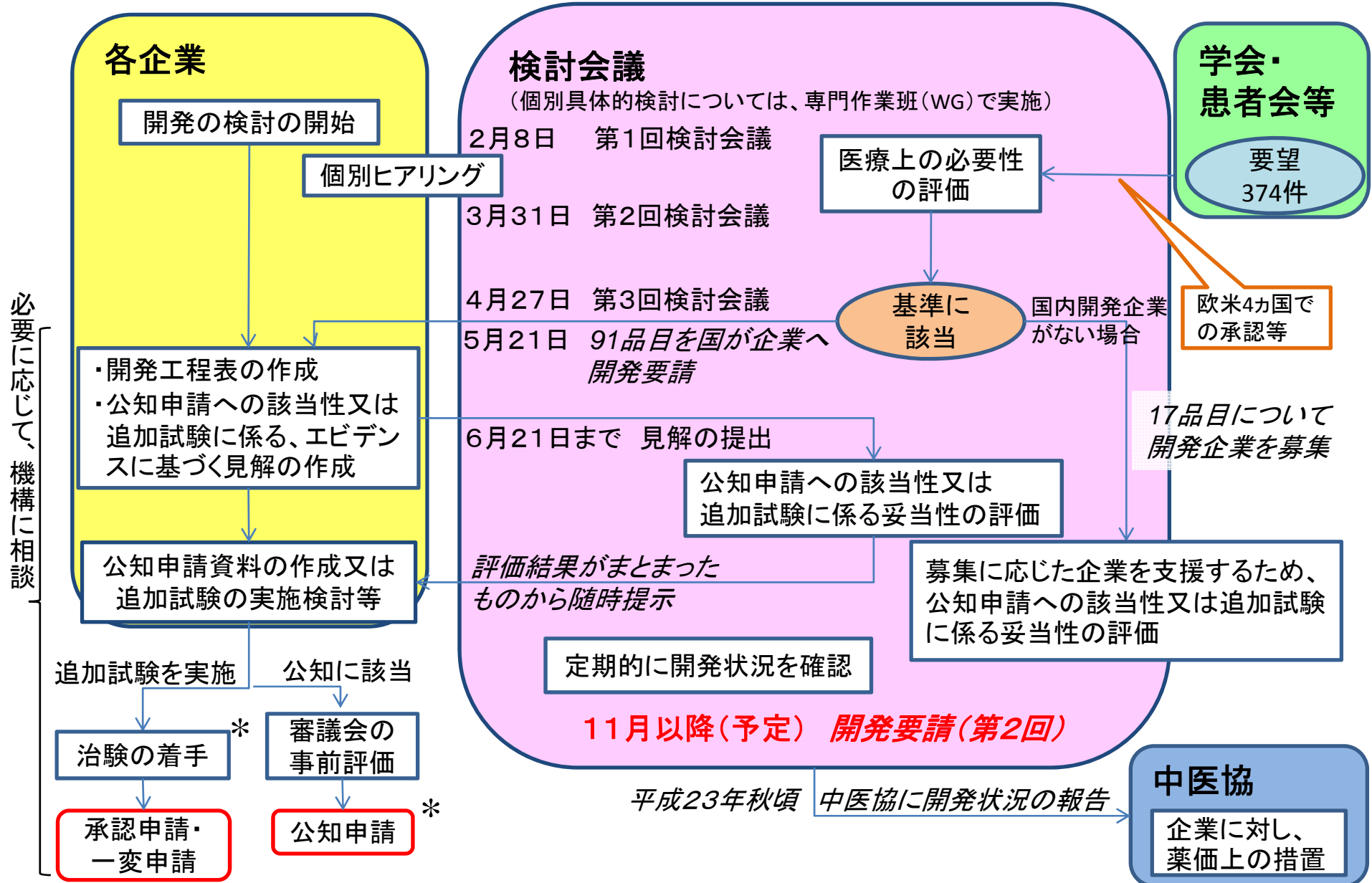
- 未承認薬
  - 欧米4か国(米、英、独、仏)のいずれかの国で承認されていること
- 適応外薬
  - 欧米4か国のいずれかの国で承認(公的医療保険制度の適用を含む)されていること

- 「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

**※ 学会等にあっては、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**



# 未承認薬等検討会議における検討の進め方



\* 企業側の検討する時間として、特段の合理的な理由がない場合は、開発要請より、公知申請が行える場合で薬事承認申請まで6ヵ月以内、開発にあたって治験が必要な場合で治験の着手まで1年以内。

### 第3回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

(平成22年4月27日)での検討状況について

| 各WGの検討状況    |         |      | 代謝・<br>その他 | 循環器 | 精神・<br>神経 | 抗菌・<br>抗炎症 | 抗がん | 生物 | 小児  | 合計  |
|-------------|---------|------|------------|-----|-----------|------------|-----|----|-----|-----|
| 検討済み        | 必要性高い   | 未承認薬 | 8          | 9   | 8         | 1          | 10  | 3  | 11  | 50  |
|             |         | 適応外薬 | 2          | 19  | 7         | 11         | 10  | 1  | 9   | 59  |
|             | 必要性高くない | 未承認薬 | 3          | 1   | 1         | 0          | 1   | 1  | 1   | 8   |
|             |         | 適応外薬 | 2          | 2   | 9         | 2          | 4   | 3  | 0   | 22  |
| 検討中         | 未承認薬    | 2    | 0          | 3   | 5         | 4          | 0   | 1  | 15  |     |
|             | 適応外薬    | 14   | 6          | 35  | 16        | 33         | 1   | 9  | 114 |     |
| 海外承認<br>等なし | 未承認薬    | 3    | 2          | 4   | 4         | 3          | 0   | 1  | 17  |     |
|             | 適応外薬    | 14   | 13         | 27  | 11        | 13         | 0   | 8  | 86  |     |
| 承認済み        | 未承認薬    | 0    | 0          | 0   | 0         | 1          | 0   | 0  | 1   |     |
|             | 適応外薬    | 0    | 0          | 1   | 0         | 1          | 0   | 0  | 2   |     |
| 合計          |         |      | 48         | 52  | 95        | 50         | 80  | 9  | 40  | 374 |

※適応外薬については剤形追加を含む

## 開発要請先企業の指定の考え方について

- 要望された適応外薬については、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請
  
- 要望された未承認薬については、
  - 1 既に開発を行っている企業があれば、当該企業に対して要請
  - 2 1 以外の場合で、海外で先発医薬品として承認を取得している企業が特定され、その日本法人企業が存在する場合には、当該企業に対して要請
  - 3 1 及び 2 以外の場合で、わが国での開発権を有することが確認された企業があれば、当該企業に対して要請
  - 4 1 ～ 3 以外の場合は、開発企業を公募
  
- 要望された剤形追加については、
  - 1 わが国において新たに追加される剤形と同じ投与経路の製剤について、先発医薬品として承認を取得している企業に要請
  - 2 1 以外の場合は、未承認薬の場合と同様の考え方で要請又は公募