

# ちけん 治験管理室便り

# 増刊号NO.2

平成23年2月発行

2011年癸卯年を迎え、はや2月(如月)になりました。いかがお過ごしでしょうか? 昨年10月に“新薬開発に関わる2010年問題ってご存知ですか?”を増刊号としてお届けしました。

この度、2010年度の“重大ニュース ドラッグ・ラグ解消への動きが本格化”というテーマで、医療・介護CBニュースが、国内で薬事承認されていないお薬、いわゆる『未承認薬』や『適応外薬』の情報について発表がありまとめてみました。是非ご一読頂ければと思います。

## みんなのチカラで、未承認薬を、一日も早く。

製薬協 **みんなのチカラで、未承認薬を、一日も早く。**

海外ですでに使用実績がありその効果が認められている薬については、一日でも早く使えるようにしようと行政、医療関係者、製薬企業など、日本中が一体となって動き始めました。私たち製薬協は、がんや難病などと闘っている患者さんに有効で安全な治療薬をお届けするため、未承認薬の解消に取り組んでいます。

**未承認薬とは**  
世界の多くの国ですでに使われているのに、日本ではその使用が認められていない薬を「未承認薬」といいます。海外で薬的に使われている治療薬を、持ち家の患者さんのため、それらが少しでも早く使えることが求められています。

私たち日本製薬工業協会は、新薬を通じて社会への貢献をめざしています。  
www.jpma.or.jp 日本製薬工業協会

後援:厚生労働省/社団法人日本医師会/日本医師会 治験促進センター/一般社団法人 未承認薬等開発支援センター

このポスターは、一般生活者とのよりよいコミュニケーションを図ることを目的に実施されている製薬協の今年度のテーマとして作成されたものです。

ポスターの表現している内容は、

“ 願いと希望 ” それは、

**効果があって、必要とされている**

**『いいお薬』を海の向こうから日本へ**

**鳥が運んできてくれたらいいな、と**

**いうものです。**

**厚生労働省は、未承認薬問題の解消に向け、医学会や患者会などから寄せられた開発希望を「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」で精査した上で、順次、関係製薬企業に開発要請を行っています。**

# 2010年重大ニュース

## ドラッグ・ラグ解消への動きが本格化

医療・介護 CB ニュースより

海外では使用されているものの、国内では薬事承認されていない『未承認薬』や『適応外薬』の問題、いわゆるドラッグ・ラグ問題の解消は、治療選択肢が限られた患者やその治療に当たる医療関係者からの願いだった。そして2010年、患者や医療関係者が国に求めた182件もの未承認薬や適応外薬の開発要望が、製薬企業によって実現する運びとなった。ドラッグ・ラグ解消に向けて、大きな一歩を踏み出した2010年の動きについて追った。

【 厚生労働省と製薬協の動き 】 2010年5月21日、製薬企業

50社に対し、91件の未承認薬・適応外薬の開発を厚労省が要請しています。これに対し製薬協の新会長は、「ひきうけたものにはついては、製薬協としても全体を調整し役割を担っていきたいと意欲を見せている。この時点で、開発企業が見つからない未承認・適応外薬が17件合ったが、本当に必要なものでどこも引き受けなければ、当社（武田薬品）が責任を持って引き受けるとの気持ちは変わっていないと中医協の場で話している。

■ 契機となった新薬創出加算 このようなか、2010年

4月から試行的に導入された「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」という新制度が、製薬企業が未承認・適応外薬の開発に意欲みせた理由の1つとみている。新たに導入された新制度は、ある一定の条件を満たせば、特許期間中の薬価が下がらない仕組みである。それまでの薬価改定ルールは、市場実勢価格の基づき、2年ごとにほぼすべての医薬品の薬価が下がる仕組みとなっていた。

厚生労働省は、無条件で導入を認めたわけでなかった。製薬企業に対し、未承認・適応外薬の開発や上市を求め、中医協がその取り組みを監視。取り組みが不十分な場合は、次回改定で加算を受けられなくなる仕組みだ。製薬企業全体として、一定の成果を示さなければ、次回改定で制度そのものが取り消されることもありうる。

## ■未承認・適応外薬の要望、約半分が開発へ

未承認・適応外薬の解消に懸ける患者や医療関係者の思いは強かった。厚労省は昨年6月から8月にかけて、患者団体や学会などから未承認・適応外薬の開発を公募。この時の公募条件は、▽未承認薬については、米英独仏の欧米4か国のいずれかの国で承認されていること、適応外薬はこれら4か国で承認、または公的医療保険制度で適用されていること

▽医療上の必要性（適応疾病が重篤であること、試験成績などから医療上の有用性が認められること）の基準を満たすことの2つだった。

その結果、未承認薬89件、適応外薬285件の計374件の開発要望が寄せられた。

疾患別内訳は、精神・神経用薬が95件（18件、77件）で最も多く、以下は、抗がん剤78件（17件、61件）、消化器官用薬・解毒剤など49件（14件、35件）、抗菌薬46件（7件、39件）と続いた。また、小児適応関係は374件中84件（28件、56件）だった。

こうした開発要望について、「医療上の必要性」を評価し、製薬企業への開発要請に結び付ける役割を担ったのが、厚労省が今年2月に立ち上げた「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（座長＝堀田知光・国立病院機構名古屋医療センター院長）だった。

同検討会議では、厚労省の開発要請に対し、該当企業から寄せられた開発工程表や承認申請データに関する見解などについて、臨床試験の一部、またはすべてを行わないまま承認申請をすることができる「公知申請」が可能かどうかの評価を行う役割も担っている。

同検討会議が公知申請可能と判断した場合は、さらに薬事・食品衛生審議会（薬食審）が事前評価を行う流れだ。

企業は公知申請可能と判断された場合、国の要請から6か月以内（薬食審の事前評価から1か月以内）に申請する。また、公知申請にならない場合は、要請から12か月以内に臨床試験に着手することとされた。

同検討会議の「医療上の必要性」に関する評価を受け、製薬企業に対し最初の開発要請が行われたのは5月21日。この時は、評価を終えた139件のうち、医療上の必要性が高いとされた109件について、開発企業を公募した17件、開発要請を保留した1件を除く91件にかかわる製薬企業50社に対し、開発が要請された。

直近の11月10日の会合で、残りの医療上の必要性の評価はほぼ終了。結果的に「医療上の必要性が高い」と評価されたのは182件で、開発要望として寄せられた374件の

半分程度だった。その後、このうち 72 件にかかわる製薬企業 34 社に、2 回目の開発要請が 12 月 13 日に行われた。

現時点で、海外で承認を取得している企業の日本法人がない、日本での開発権を持つ企業がないなどの理由から、開発要請先が見つからず、開発企業の募集を行ったのは 18 件。このうち、13 件については企業から開発の申し出があったものの、残る 5 件は公募を続けている。

また、厚労省が 5 月に開発要請を行った 91 件のうち、同検討会議で公知申請可能とされたのは 21 件。「既に開発に着手しているもの」は 43 件、「治験の実施等が必要と考えられるもの」は 14 件、「実施が必要な試験や公知申請の妥当性について検討中のもの」は 13 件だった。

## ■「公知申請」の段階で保険適用に

一方で、同検討会議と並行して、中医協でもドラッグ・ラグの解消に向けた検討が進められていた。それは、薬事承認前の医薬品に対し、保険適用を認めることはできないかというものだった。

これについては、同検討会議と薬食審で有効性・安全性が「公知」であることが確認された適応外薬について、薬事未承認の段階でも保険適用する案などを検討。同案は 8 月 25 日の中医協総会で了承され、5 月に開発要請された 91 件のうち、公知申請が認められた適応外薬の開発要望 21 件が保険適用されている。

製薬協は、一般生活者とのコミュニケーションを目的に毎年実施している製薬協メッセージ「グッドコミュニケーション」の今年度のテーマを「未承認薬への取り組み～みんなのチカラで、未承認薬を、一日も早く。～」に決定。医療機関でのポスター掲示やメディアでの広告展開、ウェブサイトの開設などを通じて、未承認・適応外薬問題への製薬企業の取り組みを広くアピールしている。

**未承認・適応外薬問題の解消に向けて大きく動きだした 2010 年。**  
しかし、これはあくまでも初めの一步にすぎない。製薬企業には同問題の解消への取り組みとともに、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」のメリットを最大限に生かし、革新的な新薬の国内での積極的な開発に一層力を注ぐことが求められている。

以上は、医療・介護 CB ニュースより内容を一部抜粋してのご紹介でした。