

医療上必要な医薬品・医療機器へのアクセスについて

制度の考え方

承認取得のための開発（治験）を阻害することなく、致死的な疾患や日常生活に著しい支障があり、その医薬品等を使用する以外には治療方法がない疾患等に対する、医療上の必要性が高い未承認の医薬品及び医療機器について、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対してもアクセスできる制度を検討する。

アクセス制度により、治験の進行を阻害するものではなく、その使用成績は、製造販売承認申請のための治験データとは区別されて取り扱われるべきものである。

アクセス制度の導入に関する論点

対象疾患の範囲

対象薬物等の範囲

使用にあたっての手続き

安全性を確保するための仕組みの構築（対象医療機関、副作用報告等）

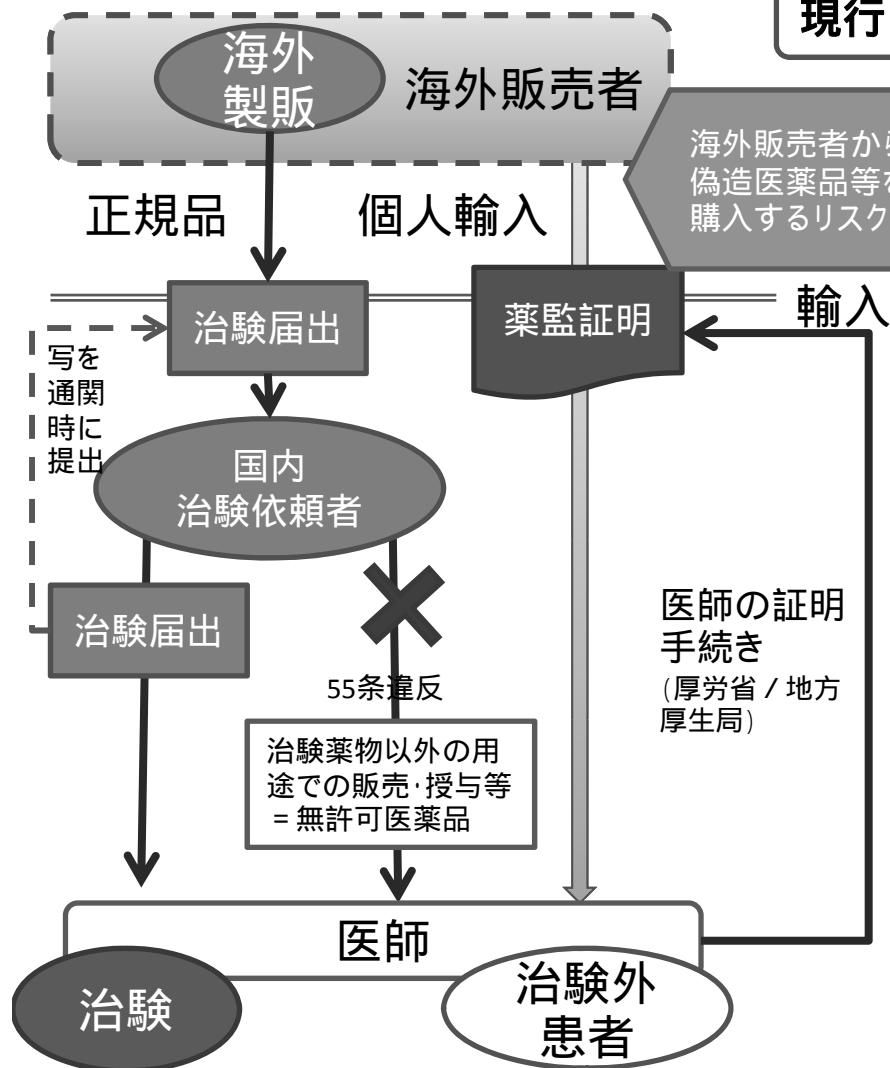
アクセス薬等の使用の責務、補償

個人輸入との関係（個人輸入を原則禁止している国もある一方、日本においては、薬監証明の仕組みにより個人輸入が可能であるなどの点に留意。）

医療上必要性が高い未承認医薬品のアクセス制度について

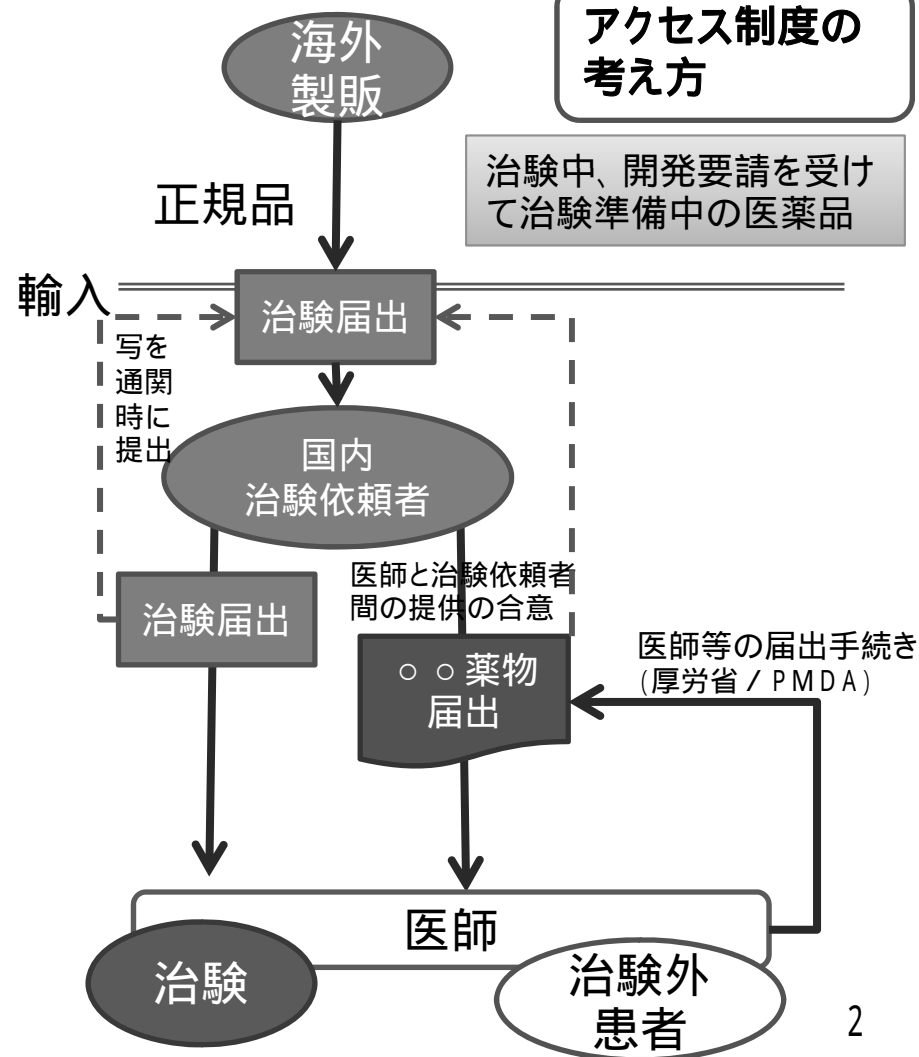
現状では、治験の参加基準を満たさない患者等が、医療上の必要性のために、早期に未承認薬で治療を受けようとする場合、個人輸入によるしかない。個人輸入には、海外の販売者から偽造品等を購入するリスクがある。

現行



治験の参加基準を満たさない患者等に対しても、医療上の必要性に対応するために、正規の治験薬を提供できるようにするため、薬事法上、無許可医薬品ではないものとして、届出を行う制度を検討する。

アクセス制度の考え方



米国における治療目的での治験薬 (IND) の拡大利用について

米国では、治験薬 (Investigational New Drug, IND) の使用に当たり、薬事法規 (Federal Food, Drug and Cosmetic Act) に基づき、FDAへ届け出ることとされている。この届出を行っていない未承認薬は、原則として、流通が禁止されている。ただし、INDの要件を満たし、以下の一定の条件に該当する場合には、INDの治療目的の流通を認める制度を設けている。なお、2009年に拡大アクセスに関する規則の改正が行われている。

項目 オプション	適用範囲	対象者	申請者	主な申請要件	その他
<u>Treatment IND/Protocol</u>	・ 代替療法のない、重篤又は直ちに生命を脅かす疾患又は症状のある患者への使用と医師が判断した場合	<u>大集団の患者を対象とした広範囲な使用</u>	医師	・他の治療より有用である根拠 ・治験進行中又は完了であること ・安全性・有効性のエビデンスが十分あること ・GCP準拠	・ 医師は、企業に副作用報告を行う。 ・ 企業は、医師に治験薬概要書等の情報提供を行う。
<u>Intermediate size population</u>	・ 治験薬を使用するにたる安全性・有効性のエビデンスが十分にあるとFDAが判断した場合 (重篤な疾患では第 Ⅲ 相、生命を脅かされている患者では第 Ⅱ 相治験薬が使用できる) ・ 未承認薬の使用が販売承認のための治験の遂行を妨げないとFDAが判断した場合。	<u>中規模の患者グループを対象とした使用</u> (まれな疾患等の理由で対象薬物が開発されていない場合。治験中でも患者が基準に合わない・治験実施施設へ行けない・エントリーが終了等の場合など)	医師	・他の治療より有用である根拠 ・中規模のグループにおいて用法用量が安全であるとのFDAの判断 ・それまでの治験等から有効性が見込まれるとのFDAの判断 ・進行中の治験に参加できない理由等 ・GCP準拠	・ 薬物の提供に関する企業と医師の合意が必要
<u>Individual patient/ Emergency IND</u>		<u>緊急時を含む個別の患者</u>	医師 (又は企業)	・他のINDに該当する症例ではないというFDAの判断 ・治験薬のリスクが疾患・病状のリスクを上回らないという医師の判断 ・GCP準拠	

欧州における制度(「コンパショネート・ユース」)について

基本的な制度

1. EU(欧州医薬品庁:EMAがコンパショネート・ユース(CU)を認める範囲

- ・ 中央審査方式による 販売承認申請中の医薬品、もしくはEU加盟国その他において臨床試験を実施中の医薬品に限定される。
- ・ 患者集団に対して適用される(患者単位の使用については認められていない)。
- ・ 対象となる患者集団は、「慢性的あるいは重篤な衰弱性疾患または致命的疾患であり、かつ販売認可を受けた医薬品では十分に治療できない患者」とされている。

医薬品の範囲(中央審査方式により承認されるべきもの)

- 遺伝子組み替え等のバイオ医薬品
- HIV、がん、神経変性疾患、糖尿病の医薬品
- 希少疾病用医薬品 など

2. 加盟国の対応

上記1. 以外の場合、加盟各国が各国ごとの制度によりCUを認める。(なお、上記1. 以外の場合であっても、加盟国はEMAにCUと認めることについて意見を求めることができる。)

【実績】 2品目(2010年)

加盟各国の制度

(例) 仏国の制度

- EUの制度同様「他に適切な代替治療法/医薬品がなく、重篤、生命に関わるまたは、身体障害を引き起こすおそれのある疾患を有する患者」を対象としている。
- 医師の責任下で未承認薬の輸入・使用等が行われる「Nominative System」と製薬企業が未承認薬を提供する「So-Called Cohort System」が存在している。

種類	Nominative System	Cohort System
概要	処方する医師の責任のもと、 <u>特定の患者の治療目的で未承認薬の輸入・使用等を認める。</u>	<u>特定の患者群への治療目的で、承認申請を前提とした治験薬を製薬企業が特定医師に提供することを認める。</u>
申請方法	処方する医師が、 <u>所属する医療機関の薬剤部門を通じて仏国政府へ申請。</u>	治験薬を取り扱う製薬企業を通じて仏国政府へ申請。
副作用報告	副作用報告に関する規則については、CUにより認められた未承認薬に対しても適用。	

仏国
【実績】

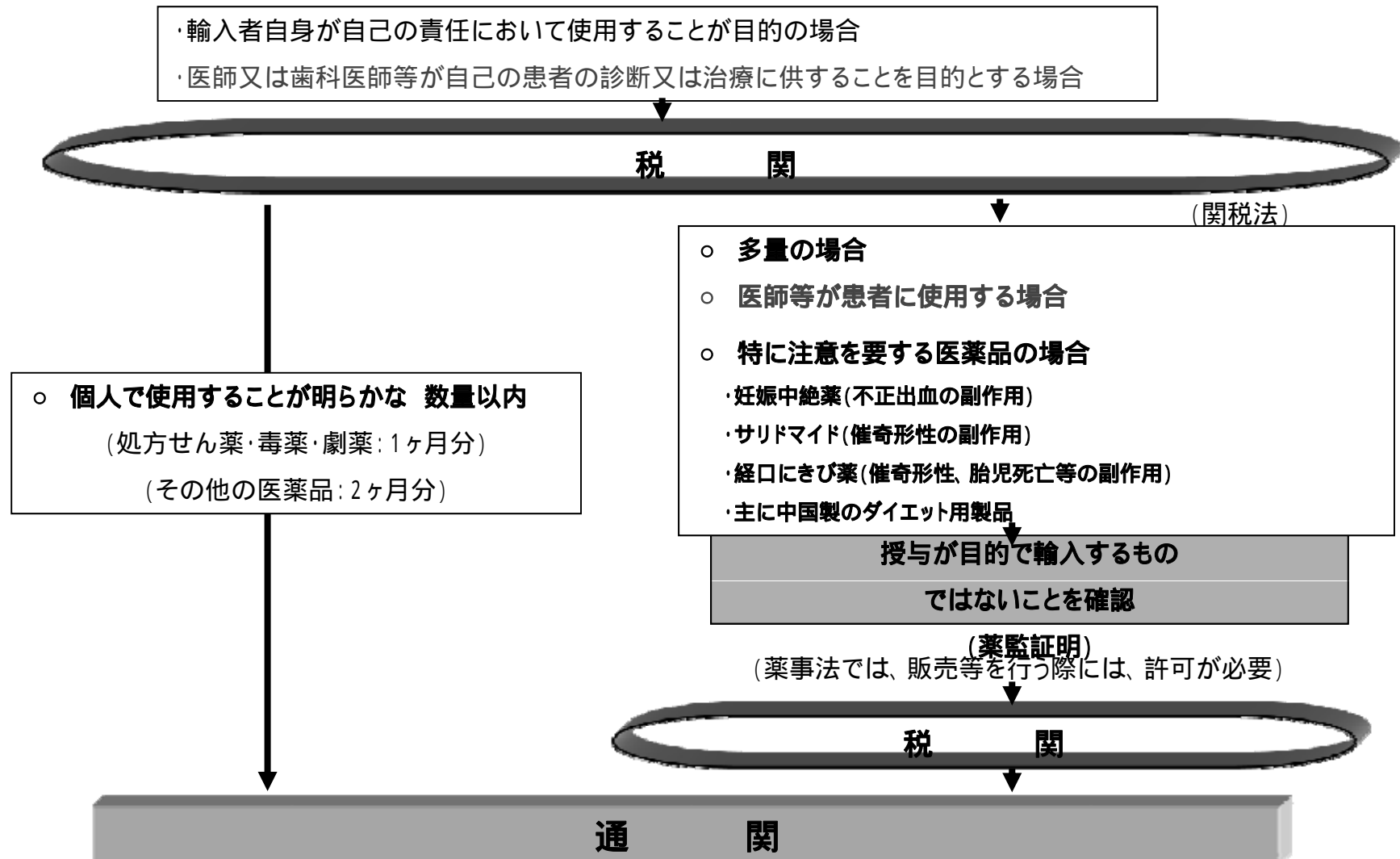
Nominative System 244品目(2010年)
22,858件(2010年)

Cohort system 6品目(2010年)

医薬品等の個人輸入について

薬監証明 により、他者への販売・授与を目的として個人輸入するものではないことを確認するとともに、特に注意を要する医薬品等については、医師以外の個人輸入を制限している。

また、自己責任の下での使用であっても安全性が確認されていない医薬品等の使用は健康被害を生ずるおそれがあることから、安易な個人輸入は控えるよう注意喚起を行っている。



個人輸入の種類

未承認薬を個人輸入するケースは、以下の3種の類型に分類される

医師による個人輸入

がん・希少疾病等の
医療上の必要性の
高い未承認医薬品

- 医療上の必要性がある場合、医師の責任の元に患者に投与することを前提に、未承認薬の個人輸入が行われている。

- 医師等に対して薬監証明の発給申請を求め、厚労省が証明書を発給している。

対応

- ・ アクセス制度が創設された場合に移行。

- ・ 輸入内容を薬監証明DBにおいて状況を把握。
- ・ DBは公表する予定。

美容外科医、歯科
医師等が使用する
未承認医薬品

- 美容外科、歯科技工に用いる医薬品等について、国内承認品がある場合(美容等の用途以外の効能について承認等を取っている場合を含む)でも、当該医師の責任の元に使用することを前提に、個人輸入が行われている。

対応

- ・ 医師に対して必要な注意喚起を実施。

- ・ 輸入内容を薬監証明DBにおいて状況を把握。
- ・ DBは公表する予定。

一般消費者による一定数量以下の個人輸入

- ED治療薬など、医療用医薬品であっても1ヶ月分以下の個人使用の用量であれば、薬監証明なしで輸入可能(輸入時携帯医薬品も同じ)。

対応

- ・ 健康被害事例の収集と公表、個人輸入を誘引するHPの監視を含む情報提供・啓発を実施。
- ・ 偽造品等への消費者向啓発用リーフレット等による注意喚起。
- ・ 個人輸入対策として、啓発・情報発信のためのHPやコールセンターの設置(平成24年度概算要求中)。
- ・ 厚生労働省としても、関係省庁や業界と連携した対策の協議会を設置について検討。

個人輸入・指定薬物等適正化対策事業

平成24年度要求額: 2億円

背景

ドラッグラグ等により、海外で販売されている国内未承認薬への関心の高まりがある中で、偽造医薬品・指定薬物等を消費者が知らずに購入し、健康被害に会う事例が発生している。また、薬物乱用、中でも大麻事犯は近年でも減少していない。

事業概要

個人輸入される医薬品・指定薬物、麻薬等に関し、消費者に訴求力のある新たなHP等を開設。また、不正な医薬品の輸入や個人輸入される医薬品・指定薬物等による健康被害の情報などを収集し、消費者や医師等に対する注意啓発や不正な輸入の監視を効果的に行うためのホットラインを設置。

製薬企業の偽造医薬品の監視ネットワークを活用しつつ、官民が連携して対策を講じる協議会を設置。

輸入届出等のオンライン化をすすめ、管理の効率化と手続きの迅速化を推進。

小中学生を対象に、薬物の害を学ぶことができる啓発資材(体験型ソフト・移動車両)を開発・整備。啓発広報を推進。

(事業イメージ)

