

公知申請とされた適応外薬の保険上の取扱いについて

〔平成22年8月25日〕
中 医 協 了 承

適応外薬のうち、以下の医学薬学的評価のプロセスを経たものについては、薬事・食品衛生審議会の事前評価が終了した時点で、適応外薬に係る有効性・安全性について公知であることが確認されたといえる。

検討会議¹⁾において、医療上の必要性が高いと判断

検討会議のワーキンググループが、有効性や安全性が医学薬学上公知であるかどうかを検討し、報告書を作成

検討会議は報告書に基づき公知申請の該当性を検討・判断

検討会議で公知申請が可能と判断された医薬品について、薬食審医薬品部会が事前評価を実施

)「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

このため、適応外薬の保険適用を迅速に行う観点から、上記スキームを経た適応外薬については、事前評価が終了した段階で、薬事承認を待たずに保険適用とする。

公知申請とされた医薬品の取扱いについて(案)

1. 現行制度の概要

- ・ 適応外使用に係る公知申請とは、医薬品（適応追加等）の承認申請に関して、その医薬品の有効性や安全性が医学薬学上公知であるとして、臨床試験の全部又は一部を新たに実施することなく承認申請を行っても差し支えないもの。
- ・ 適応外薬の解消のため、国が行う検討会議で公知申請が可能であるとの報告書がまとめられた場合には、関係企業による公知申請の前に、薬食審において事前評価が行われている。
- ・ 公知申請のための薬食審の事前評価が開始された適応外薬は、評価療養の対象となる（医薬品に係る費用は保険給付外）。

2. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」での検討状況

- ・ 国において、米英独仏国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薬品や適応（未承認薬¹⁾・適応外薬²⁾）に係る要望の公募を実施。
 - 1) 医薬品として承認されていないもの（薬価基準未収載）。
 - 2) 医薬品として承認されている（薬価基準収載）が、当該適応について承認されていないもの。
- ・ 検討会議においては、医療上の必要性の評価を行い、その結果を受けて、国において企業に対して開発要請を実施。さらに、検討会議では、公知申請への該当性や承認申請のために実施が必要な試験の妥当性の確認等を実施。
- ・ 8月3日開催の検討会議において、検討会議の下部組織であるWGでの検討が終了した5成分に係る適応については公知申請可能と判断され、さらに今後、8月26日の薬食審医薬品第一部会及び8月30日の同第二部会において、公知申請に係る事前評価が行われる予定。

3. 今後の保険上の対応案

- ・ 今般、薬食審において公知申請に係る事前評価が終了した医薬品（適応）については、今後、企業は速やかに承認申請を行うこととなり、通常、申請後6か月程度で薬事承認された後に保険適用となるものの、これまでの間は、当該医薬品（適応）は評価療養の対象であり、医薬品に係る費用は保険給付外となる。
- ・ しかしながら、当該医薬品（適応）については、これまで以下のような医学薬学的評価のプロセスを経ている。すなわち、

承認申請時に提出される予定の既存の文献、データ等に基づき、WGが、有効性や安全性が医学薬学上公知であるかどうかを検討し、認められうる効能・効果及び用法・用量を含め報告書を作成。

検討会議は報告書に基づき公知申請の該当性を検討・判断（報告書及び検討会議は公開）。

検討会議で公知申請が可能と判断された医薬品について、薬食審医薬品部会が事前評価を実施。
- ・ 上記のように、WG、検討会議及び薬食審における多段階での検討を経て、薬食審の事前評価が終了した時点で、適応外使用に係る有効性・安全性について公知であることが確認されたこととなる。
- ・ このため、適応外薬の保険適用を迅速に行う観点から、今般のスキームを経た適応外薬については、薬食審での事前評価が終了した段階で、薬事承認を待たずに保険適用することとしてはどうか。

適応外薬)に係る保険上の取扱い

)医薬品として承認されている(薬価基準収載)が、当該適応については承認されていないもの。

現 行

改 正 案

