

未承認薬・未承認適応問題等対応について

一般社団法人「未承認薬等開発支援センター」を設立

解説

日本製薬工業協会 未承認薬・未承認適応問題等対応プロジェクト
リーダー 禰宜 寛治

わが国で事業を営む研究開発型製薬企業としての社会的使命・社会貢献の観点から、製薬協内に未承認薬・未承認適応問題等対応プロジェクトを本年1月に設置し、未承認薬・未承認適応の解消に向けた方策を検討して参りました。このたび製薬協会員各社の参加の下、未承認薬等の研究開発等を支援する非営利の組織を立ち上げ、未承認薬等の早期解消に向けたさらなる取り組みを進めることとしました。

検討の目的・理念

わが国の患者・国民にできるだけ速やかに有効で安全な医薬品を提供することは研究開発型製薬企業の使命であり、従来から製薬協会員各社は、革新的新薬の研究開発のみならず、医療上の必要性が高い医薬品をわが国の患者・国民に提供するための努力を続けてきました。しかしながら、欧米ですでに承認・販売されているにもかかわらず、日本において承認・販売に至っていない成分・適応が存在します。これらの医薬品の中には、患者数がごく限られているものなど、個々の企業では対応が困難なものも少なくありません。当問題の解消には治験・審査・薬価・ライセンス等をはじめさまざまな要素が複雑に絡んでおり、産・官・学が連携を図りこれらの問題解決に向けた対策を講じることが求められています。

未承認薬・未承認適応問題に対するこれまでの製薬企業や国の対応状況について

(1)未承認薬

2005年1月より未承認薬使用問題検討会議で治験が開始されるべきとされた成分は44成分あります。各社対応によりすでに20成分が薬価収載済みであり、すでに治験が開始されているもの、あるいは治験を終えているものが10成分あります。治験実施企業を募集中の3成分を含めて残りの14成分が、治験開始・推進に向け取り組みが要請されています。

(2)未承認適応

主なもので、がん領域については「抗がん剤併用療法検討会」(2004.1~2005.2)において61療法について検討し終了しています。小児領域では「小児薬

物療法検討会議」(2006.3~)に各学会から約100成分についての要望が優先順位付きで提出され、8成分について検討が開始されるとともに、「小児薬物療法根拠情報収集事業」として国立成育医療センターが情報収集等を2005年度から実施しています(5年計画100成分)。

また「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて」(1999年2月、いわゆる2課長通知)により、承認事項一部変更承認申請や公知申請も可能とされており、これにより62成分と抗がん剤併用療法検討会で検討されたもののうち18成分が承認されています。

未承認薬等開発支援センターの設立

未承認薬等の開発にかかる諸問題を解決するためには、これに取り組む個々の企業に対して、その研究開発から製造販売までの各段階における専門的、薬事的、技術的な支援や資金的な援助を行い、当該企業の負担やリスクを分散・軽減することが必要です。製薬協では、未承認薬・未承認適応問題等対応プロジェクトでの検討を踏まえて、研究開発型製薬企業の社会的使命、社会貢献の観点から、製薬協会員各社の参加の下、未承認薬等の開発・承認取得に取り組む企業等を支援する一般社団法人「未承認薬等開発支援センター」を設立することを決め、5月29日に登記を行いました(図1)。

支援センターは製薬協の会員各社を「社員」としてスタートしています。また組織は学識経験者、製薬企業OBおのおの若干名による理事会を構成するとともに、製薬協とは別に事務所を設け、事務局長および開発・財政・ライセンス等の専門知識を有するも

〔設立の趣旨〕

わが国の患者・国民にできるだけ速やかに有効で安全な医薬品を提供することは研究開発型製薬企業の使命であり、従来から日本製薬工業協会会員各社は、革新的新薬の研究開発のみならず、医療上の必要性が高い医薬品をわが国の患者・国民に提供するための努力を続けてきた。しかしながら、欧米で既に承認・販売されているにもかかわらず、日本において承認・販売に至っていない成分・適応が存在する。

日本製薬工業協会では、研究開発型製薬企業団体の社会的使命、社会貢献の観点から、会員各社の参加の下、未承認薬・未承認適応問題の早期解消に向け、一般社団法人「未承認薬等開発支援センター」を設立する。

〔事業内容〕

厚生労働省に設置される有識者会議等にて治験実施が必要とされた未承認薬等*の開発企業に対する以下の支援
 ・専門的、薬事的、技術的支援
 ・各種折衝業務等への支援
 ・資金援助

〔組織〕

会 員：製薬協会企業及び趣旨に賛同する個人・団体
 役 員：若干名の理事及び監事(学識経験者及び製薬企業OB)
 事務局：専門知識を有するものを含め、数名の常勤担当者を配置

〔事業規模〕

年間3億円程度とし、資金援助及び組織運営費用に充当する

〔事務所〕

東京都中央区

〔設立時期〕

2009年5月

*未承認薬等：以下の未承認薬及び未承認適応
 ・未承認薬：外国(英米独仏の何れか)で承認されている成分であって、国内で開発着手されていないもの
 ・未承認適応：国内で承認されている成分の適応について、外国(英米独仏の何れか)で承認されている適応等であって、国内で開発着手されていない適応、もしくはそれに伴う製剤

図1 「未承認薬等開発支援センター」の設立

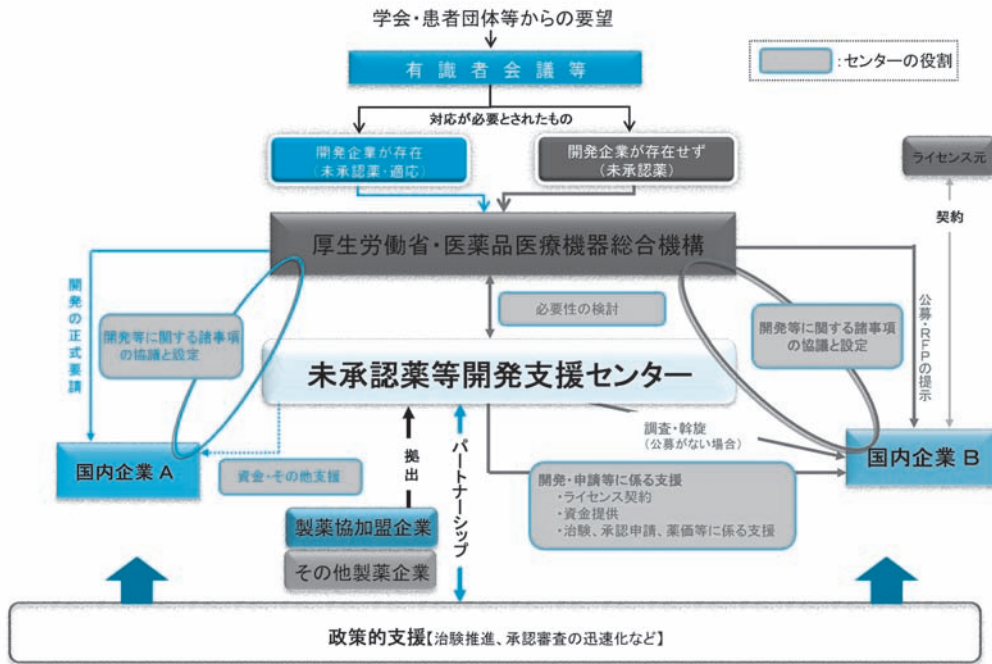


図2 未承認薬等開発支援センターによる対応スキームの概要(イメージ)

のを含め、数名の常勤担当者を配置し業務に当たります。未承認薬の開発支援の費用と支援センター運営に必要な費用については製薬協加盟企業からの会費を充当します。なお支援センターでは、支援内容はおのおの異なりますが、国内未承認薬^(注1)および国内未承認適応^(注2)の双方に対応していくことを想

定しています。

注1：外国(英米独仏のいずれか)で承認されている成分であって、国内で開発着手されていないもの

注2：国内で承認されている成分の適応について、外国(英米独仏のいずれか)で承認されている適応等であって、国内で開発着手されていない適応、もしくはそれに伴う製剤

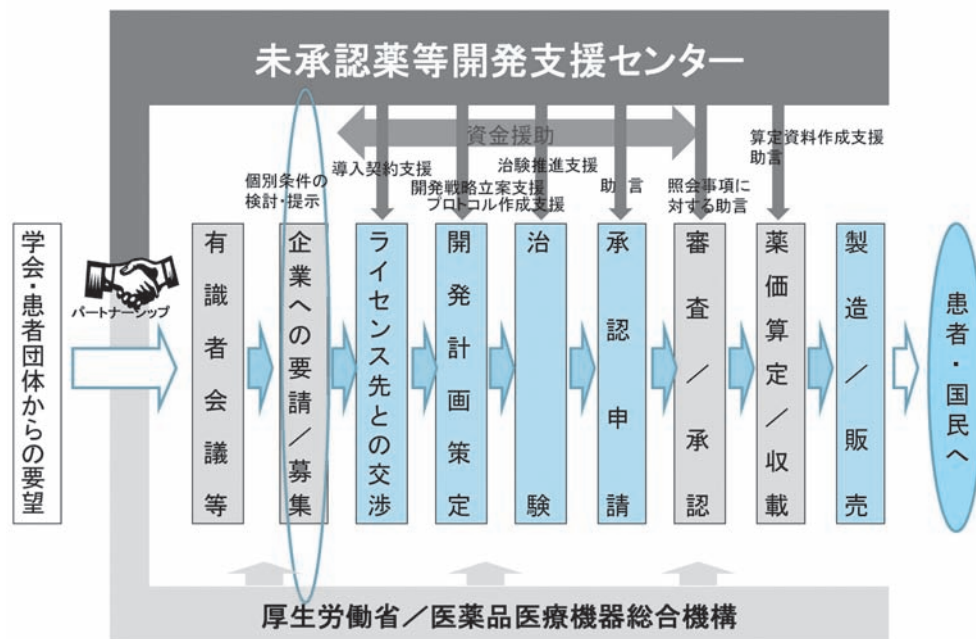


図3 未承認薬等開発支援センターの機能

未承認薬等開発支援センターによる対応スキームの概要

支援センターの未承認薬・未承認適応解消へのかかり方を図2に示しています。患者団体や学会からの要望は、厚労省が設置する有識者会議において、治験・開発実施の必要性を検討していただく予定にしています。有識者会議での検討の結果、対応が必要とされた未承認薬・未承認適応の開発について、支援センターがその対応を支援します。なお現行の未承認薬使用問題検討会議で対応が必要とされた未承認薬の対応も含んでいます。

未承認適応において、すでに当該医薬品を別効能で販売している企業が存在する場合や、未承認薬においても外国で当該医薬品を販売している企業の日本法人がすでに存在する場合もあります。このようなケースは国内開発企業が存在するケースとして、当該企業の治験促進のための支援を行います。

また日本にそのような企業が存在しない場合には厚労省が開発企業を募集することになりますが、募集時点からできる限り支援内容を明示することで、開発企業からの応募を促す役割ができると考えています。

なお、未承認薬等の問題には制度的な要因も含ま

れているため、支援センターと厚労省およびPMDA（医薬品医療機器総合機構）にて未承認薬問題の解消という目的を共有し、官民のパートナーシップで解決に向かうよう要請していきます。

未承認薬等開発支援センターの機能

開発プロセスにおける支援センターの役割（図3）は、ライセンス先からの導入費用や治験費用など、承認取得までに要する費用についての資金援助のほか、ライセンス先との交渉の支援、開発戦略やプロトコル作成等のノウハウ提供、承認申請時や薬価取得時に必要な開発企業への助言などがあります。個々の対応については、ノウハウ・経験を有する製薬協会の各委員会が全面的にバックアップします。

また、より実効をあげるために、開発企業の募集に際しては当局と支援センターの2者、開発企業が決定すれば開発企業を加えた3者で、着手前に具体的な開発プロセス・条件・支援内容を協議していくことも行政に要請していきたいと考えています。

支援センターは設立されたばかりですが、このような一連の流れにおいて、今後具体的に支援を行うことで、患者・国民の皆様にも未承認薬等が提供され、わが国の医療のさらなる充実に貢献していきたいと考えています。