



2024年3月21日放送

厚生労働省アワー 希少疾病用医薬品指定制度と 小児用医薬品の開発促進のあり方に関する最新の動向について

厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課
渡部 佑樹

はじめに

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課の渡部と申します。本日は、今年度の当課の取り組みとして実施された「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制に関する検討会」にて議論された課題とその対応策について、最新の動向をお話しさせていただきます。どうぞ宜しくお願いいたします。

本題に入る前に、医薬品審査管理課の業務について簡単にご紹介させていただきます。医薬品審査管理課では、医療用医薬品、要指導医薬品、一般用医薬品、医薬部外品、化粧品の承認審査に関する事項を所管しています。様々な審査制度に加え、医薬品の製造のために必要な業許可制度や治験の実施に関する制度など幅広い業務を行っています。医療上必要な医薬品を迅速かつ安全に患者さんに提供するために、厚生労働省内の他部署やPMDAとも緊密に連携し、製薬企業等との調整を重ね、既存制度の活用や改正、新制度の創設等を行っています。

薬事規制検討会について

今回ご紹介する「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制に関する検討会」を実施した背景として、海外では承認されている医薬品が日本では開発に着手すらされない「ドラッグロス」が拡大している問題が存在しております。この原因には、日本における創薬環境・薬事制度等の複数の要因が複合的に関わった結果として生じているものと考えられます。この問題を含め、創薬や安定供給等の医薬品産業にまつわる課題に対応するため、令和4年9月から開催された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」においては、研究開発から薬価制度のあり方まで幅広く提言がなされており、そのうち薬事規制のあり方については、例えば、小児用・希少疾病用医薬品を中心とするドラッグ

ロス問題の解消のため、希少疾病用医薬品の指定の早期化や小児用医薬品の開発計画の策定の促進等に取り組む必要性が指摘されており、薬事規制検討会にて検討されたこれらへの課題と対応策についてご説明いたします。

希少疾病用医薬品指定制度のあり方について

はじめに、希少疾病用医薬品の指定制度についてご説明させていただきます。本制度は、難病やエイズ等の患者数の少ない疾患を対象とする医薬品は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、開発が進みにくいことから、その研究開発を促進するための特別の支援措置として制定されたものです。希少疾病用医薬品の指定には、当該医薬品の用途に係る対象者の数が本邦において5万人未満であること、医療上の必要性があること、開発の可能性があることの3要件を満たす必要があります。また、指定された品目については、一日でも早く医療現場に提供されることを目的として、開発費用の支援や税制優遇、製造販売承認を目指した指導・助言といった優遇措置が設けられています。

一方で、日本は欧米と比較して希少疾病用医薬品の指定・承認件数が少ないことが指摘されております。そのため、多くの革新的な医薬品が早期に医療現場に届けられることに資するよう、希少疾病用医薬品の指定に関わる3要件に必要な見直しについて議論がなされました。

具体的には、1点目として、これまでは、特定の疾患の患者数を計算する際に、医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤な」などの但し書きを追加することで、患者数を5万人未満として計算する、いわゆる「輪切り申請」は希少疾病用医薬品の指定において認められておりませんでした。これに対して、例えば、小児を含む年齢層や治療体系、リスク分類、投薬の必要性を含め、医学薬学上の適切な根拠に基づき、高いアンメットニーズがありつつも開発が進んでいない範囲に限定したものであれば、「輪切り」には該当しないことを明確にしました。また、2点目として、医療上の必要性の論点となる「代替する適切な治療法の有無」や「既存療法と比較して、著しく高い有効性又は安全性」について、国際的に認められているガイドラインや既存の臨床論文の知見の考え方を例示・明確化することについて議論されました。更に、3点目の開発の可能性についてですが、従来は申請医薬品について、第Ⅱ相や第Ⅲ相臨床試験の結果が得られていることが、判断根拠として挙げられていた場合があることに對し、国内での開発を行うことのできる試験計画の概観を示すとともに、少なくとも第Ⅰ相臨床試験を実施するために必要な非臨床試験が概ね完了している段階であれば、指定要件を満たすこととしてもよいとされました。

以上の対応策については、令和6年1月に通知として発出しており、新たな運用による希少疾病用医薬品の指定を行っております。

成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について

次に、小児用医薬品の開発促進を目的とした薬事審査のあり方についてご説明いたします。小児用医薬品は、日本だけでなく国際的にも市場規模が小さいことや、症例集積、コス

ト面からなる治験実施の困難さ等の理由から、一般的に開発が進みにくいことが指摘されております。特に、「ドラッグロス」の問題においても、小児用医薬品のロスは重大視されており、抗悪性腫瘍薬を例にとると、米国で小児適応が取得されている医薬品の6割が国内では小児適応が未承認である一方で、そのうち三分の二は成人を対象とした効能で承認されています。こうした課題に対し、我が国では、特定用途医薬品指定制度や再審査期間の運用見直しなどの対応を進めてきてはいるものの、更なる取組による小児用医薬品の開発促進が求められております。

その一方で、欧米では、その対策の一つとして、成人に対する医薬品開発時に小児用医薬品の開発計画を策定することを義務づけております。そこで、日本においても、欧米の制度を参考にしつつ、小児用医薬品開発を成人用と同時に進めるための仕組みや、その実効性を高めるための対応について、「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制に関する検討会」において、議論がなされました。

検討会では、欧米と同様に小児用医薬品の開発を義務付けるべきではないかという意見がある一方で、義務化することにより成人を含めた我が国での医薬品開発が滞る可能性の他、もともと少ない小児患者に対して、義務付けによって治験参加の募集や上市後において、医薬品の競合による非効率が生じるといった課題について、意見が交わされました。

これらの議論を通じて、新有効成分、新効能の医薬品については、成人用の開発時に、製薬企業の判断で小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAが確認するとともに、必要な準備を進めた上で治験届が提出される仕組みを構築することとされました。また、この際、例えば抗がん剤のように、成人と小児でがんの種類が異なるといった、効能・効果が異なる場合であったとしても、この仕組みの対象とすることにより、小児用医薬品の開発が促進されるのではないかと検討がなされました。

これらの対応策については、令和6年1月に「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」という通知により周知しております。

おわりに

以上、簡単にではありますが、「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制に関する検討会」において議論されました、希少疾病用医薬品の指定制度や小児用医薬品の開発促進のあり方に関する見直しについて、ご説明させていただきました。このように1つ1つの薬事規制の課題を抽出し、対応策を練り、実行していくことにより、「ドラッグロス」解消の実現を目指しております。また、この検討会の概要や会議に用いられた資料は厚生労働省ホームページにて公開しております。

引き続き迅速な承認審査に尽力するとともに、刻一刻と変化する社会情勢に柔軟に対応し、課題を見据えながら、少しでも早く、有効で安全な医薬品を患者さんにお届けできるよう、よりよい薬事承認制度の実現に取り組んで参ります。