

医政研発 1108 第 1 号
医薬薬審発 1108 第 1 号
令和 6 年 11 月 8 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医政局研究開発政策課長
（ 公 印 省 略 ）
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業
見解の提出に伴う手続の迅速化について

医療・薬事行政の推進につきましては、平素より格別の御高配を賜り厚く御礼申し上げます。

厚生労働省では、欧米等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及び適応等（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、開発要望を募集し、応募された開発要望については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「検討会議」という。）において、医療上の必要性を評価するとともに、製造販売承認申請に必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、未承認薬・適応外薬の開発を促す取組を進めています。

今般、検討会議において医療上の必要性が高いと評価された要望に関する開発要請後の手続きについて、下記のとおり、取扱うこととしましたので、貴管下関係製造販売業者に対する周知方よろしくご配慮願います。

なお、本通知の写しを別記の関係団体宛て送付することを申し添えます。

記

1. 対象範囲

要望区分が「適応外薬」又は「未承認薬迅速実用化スキーム対象品目」であつて、開発要請を受けた製造販売業者が、当該要請に係る企業見解の中で公知申請が妥当と判断する場合を対象とする。

なお、本通知発出前に開発要請された要望に関しても、本通知に従い取り扱うことができることとする。

2. 公知申請が妥当と判断する品目の対面助言の取り扱い

- (1) 開発要請を受けた製造販売業者は、公知申請に該当するか否か検討の方向性を整理するため、原則開発要請を受けてから1か月を目処に別添1-1、1-2、1-3及び別添2を添えて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に事前面談の申し込みを行うこと。
- (2) 事前面談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、当該製造販売業者は事前面談で調整した内容に基づき、速やかにPMDAが実施する「医薬品優先審査品目該当性相談」を申し込むこと。
なお、当該相談の具体的な進め方及びスケジュールは、事前面談において担当審査部に確認すること。

3. その他

開発要請を受けた製造販売業者が、新たに臨床試験の実施が必要と判断する場合は、開発要請を受けてから1か月を目処に、実施予定の試験内容に関する対面助言実施に向けてPMDAに事前面談の申し込みを行うのが望ましいこと。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構