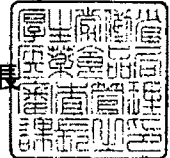




薬食審査発第 0227016 号
平成 16 年 2 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課長



優先審査等の取扱いについて

優先審査の取扱いについては、平成 5 年 8 月 25 日付け薬発第 725 号厚生省薬務局長通知「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について」（以下「局長通知」という。）及び平成 5 年 10 月 1 日付け薬新薬第 92 号厚生省薬務局新医薬品課長、医療機器開発課長、安全課長通知「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について」（以下「課長通知」という。）で示してきたところである。今般、本通知の別添として示す「優先審査制度等に関する検討会最終報告書」がとりまとめられたのに伴い、優先審査及び優先的な治験相談の取扱いについては下記によることとしたので、貴管下関係業者に対し指導方御配慮願いたい。なお、本通知は平成 16 年 4 月 1 日に施行されることとするが、これに伴い、課長通知第 1 についてはこれを削除する。

記

第 1 優先審査に関する事項

- 1 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具（以下「希少疾病用医薬品等」という。）を除く新医薬品及び新医療用具に対する優先審査の適用の可否の考え方

薬事法第 14 条第 5 項の規定により優先的に審査を行うことができる医薬品又は医療用具として局長通知に規定する「その他重篤な疾病等を対象と

する新医薬品又は新医療用具（以下「新医薬品等」という。）であって医療の質の向上に明らかに寄与すると認められるもの」（以下「希少疾病外優先審査品目」という。）については、（１）適応疾病の重篤性及び（２）医療上の有用性を総合的に評価して適用の可否を決定する。

（１）適応疾病の重篤性については、以下に分類して評価する。

- ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）であること。
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること。
- ウ その他

（２）医療上の有用性については、以下に分類して評価する。

- ア 既存の治療法、予防法若しくは診断法がないこと。
- イ 有効性、安全性、肉体的・精神的な患者負担の観点から、医療上の有用性が既存の治療法、予防法若しくは診断法より優れていること。

2 承認申請時の取扱い

- （１）優先審査の適用を受けようとする者は、当該新医薬品等の承認申請書の備考欄に「〇年〇月〇日希少疾病用医薬品（又は希少疾病用医療用具）に指定」又は「別記の理由により優先審査を希望する」と記載の上、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）に提出すること。
- （２）希少疾病用医薬品等以外の場合は、希少疾病外優先審査品目に該当すると判断した理由を承認申請書に添付すること。

3 優先審査の適用の可否の決定及び承認審査時の取扱い

- （１）希少疾病外優先審査品目については、申請後速やかに総合機構において専門家からの意見を聴取した上で適用の可否に関する意見をまとめ、厚生労働省に報告し、厚生労働省医薬食品局審査管理課（以下「審査管理課」という。）は当該報告をもとに適用の可否を決定すること。また、その可否は審査管理課から申請者及び総合機構に通知すること。
- （２）上記（１）の適用について、審査管理課は、直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得ること。
- （３）優先審査対象品目について、総合機構は、審査の各段階において、可能な限り審査順位を優先すること。
- （４）優先審査対象品目は、当該新医薬品等の承認時にその旨を公表すること。

4 複数効能を有する場合の申請について

- (1) 同一品目が優先審査対象効能とそれ以外の一般効能を両方有する場合には、優先審査対象効能とそれ以外の効能に分け、それぞれを別個の独立した申請とすること。
- (2) 優先審査対象効能に関する申請とそれ以外の効能に関する申請を同時に行う場合には、承認申請書及び添付資料は別々に作成することとするが、共通する資料については、優先審査対象効能に関する申請書への添付のみで差し支えない。また、それぞれの承認申請書の備考欄に申請時点で申請中の他の効能についての情報を記載すること。

第2 優先的な治験相談に関する事項

1 優先的な治験相談の適用の可否の考え方

優先的に治験相談を行うことができる医薬品又は医療用具（以下「優先的な治験相談品目」という。）については、薬事法第14条第5項及び本通知第1の1の規定を準用する。なお、適用の可否の決定にあたっては、医療上の有用性を推定できるデータ（医薬品の場合は原則として後期第II相試験までの試験結果）を用いて行うこととする。

2 優先的な治験相談の適用の可否の決定及び治験相談時の取扱い

- (1) 優先的な治験相談品目の適用を受けようとする者は、総合機構の定めるところによる優先的な治験相談の指定申請書を総合機構に提出すること。なお、希少疾病医薬品等に既に指定されているものは、指定申請書を提出することなく優先的な治験相談品目として取り扱われるものであること。
- (2) 総合機構においては、(1)の指定申請書を受理後速やかに専門家からの意見を聴取した上で適用の可否の決定を行い、その可否を申請者に通知するとともに、総合機構は厚生労働省へ報告すること。
- (3) 上記(1)の適用について、審査管理課は、直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得ること。
- (4) 優先的な治験相談品目について、総合機構は、可能な限り相談順位を優先すること。
- (5) 優先的な治験相談の具体的な進め方については、別途総合機構より関係団体宛に通知される予定であること。

優先審査制度等に関する検討会最終報告書

優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方について

平成16年2月26日

優先審査制度等に関する検討会は、平成15年9月22日、同年10月24日、同年12月3日の3回にわたり検討を行い、優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方を中間報告書としてとりまとめた。今般、中間報告書に対するパブリックコメントを踏まえ最終報告書を取りまとめたので、最終報告書を活用し制度の円滑な運用が行われるよう期待する。

1. 現状

(1) 優先審査制度について

1) 優先審査制度

優先審査は、薬事法第14条第5項の規定に基づき平成5年から制度化されたものであり、承認申請された医薬品・医療機器が、①希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器、②その他の医療上特に必要性が高いと認められるものに該当する場合に、他の医薬品・医療機器の審査に優先して審査を行うものである。

また、上記②の「その他の医療上特に必要性が高いと認められるもの」とは、次のいずれの要件にも該当するものとされている。

ア 適応疾病が重篤であると認められること

イ 既存の医薬品又は治療方法と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められること

2) 優先審査に指定された品目

これまでに優先審査品目として指定された品目の多くは、致死的な感染症に用いる治療薬、抗悪性腫瘍薬である。平成13年以降に優先審査品目（希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器を含む）で承認されたものは、38成分・機器である。

3) 選定の手順（希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の指定は別途薬事・食品衛生審議会にて行われる）

選定の手順は平成15年4月から以下の手順で行われている。

- ① 申請者は承認申請時に優先審査希望の理由書を添付して申請
- ② 申請後の早い段階で、薬事・食品衛生審議会に属する専門家から意見聴取
- ③ 優先審査品目の指定の可否を決定し、申請者に通知
- ④ 直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得る

(2) 治験相談制度について

1) 治験相談制度

現在、医薬品に関しては、医薬品被害救済研究振興調査機構（以下、「医薬品機構」とする）において、開発企業からの申し込みにより以下のような相談を行っている。相談の申し込み件数は、平成14年度は246件となっている。

- ① 新医薬品開発のために行う治験に関する相談
 - ・ 第Ⅰ相試験開始前相談
 - ・ 第Ⅱ相試験開始前相談
 - ・ 第Ⅱ相試験終了後相談
 - ・ 申請前相談
 - ・ 個別相談
- ② 再評価・再審査のために行う臨床試験に関する相談

また、医療機器に関しても、平成16年度より独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、「総合機構」とする）において治験相談を実施する予定である。

2) 優先的な治験相談制度

より優れた医薬品・医療機器が速やかに医療現場に提供されるよう、平成5年から優先審査制度により承認審査の迅速化が図られてきたが、更に、医薬品・医療機器の開発段階から迅速化を図るために、適切な承認申請資料の作成が効率的に行われるよう、開発者に対する優先的な指導・助言が必要である。

このような観点から、平成16年度より総合機構において、治験相談の中で他の品目に優先して治験相談を行う「優先的な治験相談制度」が開始される予定である。優先的な治験相談は、まず優先的な治験相談品目に該当するか評価が行われ、指定されたものに対して行われる。

2. 今後の優先審査品目の選定の考え方

優先審査を行う医薬品・医療機器としては、①希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器、②その他の医療上特に必要性が高いと認められるものがある。「その他の医療上特に必要性が高いと認められるもの」についての優先審査品目選定の考え方は以下の通りとする。

適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定（別添表参照）

(1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- ② 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ③ その他

(2) 医療上の有用性

- 1) 既存の治療法・予防法・診断法がない
- 2) 以下の観点から見て、医療上の有用性が既存の治療法・予防法・診断法よりも優れているもの
 - ・ 有効性の観点
 - ・ 安全性の観点
 - ・ 肉体的・精神的患者負担の観点

3. 今後の優先的な治験相談品目

(1) 選定の考え方について

優先審査品目の選定の考え方と同様、適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定する。

(2) 選定に必要なデータについて

優先的な治験相談品目の選定は、医療上の有用性を推定できるデータに基づき行う。医療上の有用性の推定には、医薬品の場合は原則として、後期第Ⅱ相試験までの結果（海外データも含む）が必要である。

(3) 優先審査制度との連携について

優れた医薬品・医療機器が速やかに医療現場に提供されるためには、医薬品・医療機器開発の迅速化、承認審査の迅速化がともに図られることが有用

である。また、承認審査は、質の高い申請資料が提出されればスムーズに行われる。優先的な治験相談品目の指定が承認申請後の優先審査を約束するものではないが、申請者が優先審査を希望する医薬品・医療機器については、優先的な治験相談制度を活用するとともに、その評価を踏まえて承認申請し、優先審査品目の指定を受けることが望ましい。その結果、申請資料の質が確保され、優先審査が効率的に進むことが期待される。

一方、治験相談での助言・指導と、承認審査での判断が異なることがないように、相談・審査の一貫性を確保することが必要である。

4. その他

優先審査制度等に関するその他の主な意見は以下の通りである。

- 品目の選定の際、安全性については限られたデータしかなく市販後の情報収集に任されることもあることから、安全性に関する比較考量の際には、有効性と比べ評価は軽くすべき。
- 優先的な治験相談品目の選定に関し、開発初期の段階であっても優先的な治験相談の対象とすべき場合もありうるので、早期のデータで選定する余地を残すべき。
- 品目の選定に関し、データの一貫性等のデータの質の良否も品目選定の判断材料とすべき。
- 優先的な治験相談品目・優先審査品目は、通常の治験相談・審査品目とは別に相談・審査チームが担当し、他の品目の審査に影響がないように配慮すべき。
- 優先審査品目・優先的な治験相談品目の選定には、該当分野の専門家の意見だけでなく分野横断的な判断が必要。また、制度の運用にあたっては、相談・審査のヒューマンリソースを考慮することが必要。
- 医療機器の審査には工学系の審査官の拡充が必要。
- 優先審査品目の該当性については医薬品機構の申請前相談で資料の妥当性も含めて十分に評価し、その意見を参考とした適切な資料に対して、申請後厚生労働省において選定することにより、承認申請より審査終了までの期間を短縮しうるので効率的。
- 医薬品・医療機器の開発にあたっては、医療経済学的な観点も踏まえることが重要。
- 優先的な治験相談品目選定の手順については、透明性の確保、優先審査品目選定の判断との整合性が図られるよう、優先審査品目の選定手順を参考にし、これを定める必要がある。

そのほか、業界団体から提出された意見等は以下の通りであった。

- 優先的な治験相談品目・優先審査品目の対象疾患としては、米国で対象となっている心血管系、神経系、感染症などを参考に、日米の医療環境の違いを考慮した上で、取捨選択することもひとつの考え方。
- 優先審査について、標準的な事務処理期間を設定してほしい。例えば、優先的な治験相談品目であり、優先審査対象となった品目は審査期間が6ヶ月。
- 医療機器の場合、安全性の向上の中に低侵襲性ということも含めるべき。
- 申請前の相談において優先審査に該当するかどうかの判断を行い、承認申請時点から優先審査が行われることが望ましい。
- 早期の治験相談の中で、今後の開発方針について協議する機会を設けて欲しい。
- 優先的な治験相談品目に指定されれば、申請資料を分割して事前に提出し、審査できる方法（ローリングサブミッション）を検討して欲しい。
- 品目の選定理由とその結果の公表など選定のプロセスを透明化して欲しい。

(別添)

希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器を除く、優先審査品目及び優先的な治験相談品目選定の考え方

医療上の有用性													
適応疾病の重篤性													
① 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) (++)	既存の治療法・予防法・診断法がない <u>(+)</u>												
② 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 (+)	<table border="1"><thead><tr><th>有効性</th><th>安全性</th><th>肉体的・精神的患者負担</th></tr></thead><tbody><tr><td>① 既存のものに比べて有意に優れる。ただし、医療上意義のある差が認められる場合に限る。 (+)</td><td>① 既存のものに比べ重篤な副作用が少くないなど明らかに安全性上優れる。 (+)</td><td>① 患者負担が明らかに軽減化される。 例) (ア)入院→外来通院可 (イ)通院回数の激減 (ウ)侵襲性が著しく改善 <u>(+)</u></td></tr><tr><td>② 既存のものと同程度 (0)</td><td>② 既存のものと同程度で、特に問題となるものが見られない。 (0)</td><td>② 既存治療法と同程度 <u>(0)</u></td></tr><tr><td>③ その他</td><td>③ 既存のものに比べ重篤な副作用が見られる。 (-)</td><td>③ 既存治療法に劣る <u>(-)</u></td></tr></tbody></table>	有効性	安全性	肉体的・精神的患者負担	① 既存のものに比べて有意に優れる。ただし、医療上意義のある差が認められる場合に限る。 (+)	① 既存のものに比べ重篤な副作用が少くないなど明らかに安全性上優れる。 (+)	① 患者負担が明らかに軽減化される。 例) (ア)入院→外来通院可 (イ)通院回数の激減 (ウ)侵襲性が著しく改善 <u>(+)</u>	② 既存のものと同程度 (0)	② 既存のものと同程度で、特に問題となるものが見られない。 (0)	② 既存治療法と同程度 <u>(0)</u>	③ その他	③ 既存のものに比べ重篤な副作用が見られる。 (-)	③ 既存治療法に劣る <u>(-)</u>
有効性	安全性	肉体的・精神的患者負担											
① 既存のものに比べて有意に優れる。ただし、医療上意義のある差が認められる場合に限る。 (+)	① 既存のものに比べ重篤な副作用が少くないなど明らかに安全性上優れる。 (+)	① 患者負担が明らかに軽減化される。 例) (ア)入院→外来通院可 (イ)通院回数の激減 (ウ)侵襲性が著しく改善 <u>(+)</u>											
② 既存のものと同程度 (0)	② 既存のものと同程度で、特に問題となるものが見られない。 (0)	② 既存治療法と同程度 <u>(0)</u>											
③ その他	③ 既存のものに比べ重篤な副作用が見られる。 (-)	③ 既存治療法に劣る <u>(-)</u>											

注) (+) はプラス方向で評価、(-) はマイナス方向で評価、(0) はどちらでもないことを定性的に示したものの