



2022年3月24日放送

緊急承認制度の創設に向けた薬事承認制度の見直しについて

厚生労働省 医薬・生活衛生局 医薬品審査管理課
高野 峻輔

医薬品医療機器等法とは

はじめに、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」、「医薬品医療機器等法」の内容について簡単にご紹介します。この法律は、医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器、体外診断用医薬品及び再生医療等製品の品質や有効性、安全性の確保等を目的としており、製造、製造販売、販売、市販後の安全対策等についてのルールを定める法律です。単に規制を行うだけでなく、医療上特に必要性の高い医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発の促進により、国民の保健衛生の向上を図ることも目的としています。なお、法律で定められた事項に関する細かい取扱いや手続方法については、政省令や告示で定めているほか、通知や事務連絡でお示ししています。

迅速な承認に向けた法改正

国民の皆様のニーズに応える優れた医薬品、医療機器等をより安全・迅速・効率的に提供することは極めて重要であり、厚生労働省はこれまで、医薬品医療機器総合機構、PMDAと連携しながら様々な取り組みを行ってきました。このため、令和元年には医薬品医療機器等法が改正され、その一つとして新たな制度が創設されました。例えば「条件付き早期承認制度」を設け、患者数が少ない等により治験に長期間を要する医薬品等を、一定の有効性・安全性を前提に、条件付きで早期に承認する仕組みを作りました。また、「先駆的医薬品指定制度」を創設しました。これは、世界に先駆けて開発され、治療方法が画期的なこと、対象疾患が重篤であること、有効性が極めて高いことなどを条件に、本制度に指定された革新的な医薬品等を優先的に審査するなどし、早期実用化を目指す仕組みを法制化したものです。

このように、医薬品を必要とする患者さんの元へ、有効かつ安全な薬をいち早くお届けで

きるよう、迅速な薬事承認が行える制度の整備に努めてきました。

昨今の新型コロナウイルス感染症のワクチン等の承認状況について

また、現在、世界的に流行している新型コロナウイルス感染症に関するワクチンや治療薬の承認については、「特例承認制度」を用いた迅速な薬事承認等に取り組んできました。特例承認制度においては、医薬品医療機器等法第14条の3第1項に基づき、国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある感染症などの蔓延等を防止するために緊急に使用する必要がある医薬品であり、その医薬品を使用する以外に適切な方法がないこと、日本と同等の水準の薬事制度を設けている外国で販売等が認められている医薬品であること、という要件を満たす医薬品について、承認申請資料のうち臨床試験成績以外のものを承認後に提出することを認めるといった措置により、迅速に承認する制度です。これまで、新型コロナウイルス感染症関連の治療薬やワクチン8品目について、この特例承認制度に基づき、迅速な承認を行いました。

日本の承認制度の課題

特例承認のような例外はあるものの、日本の薬事承認制度は、基本的に平時を前提とした制度となっています。つまり、現行の医薬品医療機器等法の薬事承認スキームでは、申請企業側で治験の実施や製造・品質データの収集を経て申請資料をとりまとめることや、行政側でその審査を行うことにおいて一定の期間が必要となります。

一方、欧米では、緊急時において、検証的な臨床試験により医薬品等の有効性及び安全性を十分なエビデンスを元に確認する猶予が無い場合でも、薬事承認等を迅速に行えるような制度を整備しています。海外の緊急時の薬事承認等の制度では、少なくとも有効性については、限定的な治験データを用いることで推定でき、ベネフィットがリスクを上回ると判断できれば、販売等を行うことが認められています場合があります。

日本では、先ほど紹介した特例承認制度等を活用することにより、一定程度の薬事承認の早期化が可能です。しかし、課題も残っています。例えば特例承認制度は、国内企業が世界に先駆けて開発し、最初に日本で承認申請が行われた場合には適用することができません。また、通常の承認制度と同様に有効性及び安全性の確認が必要なことから、例えば海外で流通しているワクチンであっても、日本人に対する有効性及び安全性を確認できる臨床データが十分でない場合には、国内治験を追加で実施しなければならず、承認までに時間を要することとなります。

そのため、新型コロナウイルス感染症に関するワクチンや治療薬についても日本での特例承認がされる時期は、先進諸外国の緊急時の薬事承認と比べて、数週間から数ヶ月程度の差が生まれていました。

緊急承認制度とは

こうした日本の従来の薬事承認制度の状況や、新型コロナウイルス感染症を機により明らかになった課題、さらに諸外国の状況を参考にしつつ、保健衛生の向上という医薬品医療機器等法の目的を達成できるよう、リスクとベネフィットを比較考量した上で、我が国の薬事承認について、制度的観点から検討を行う必要性が指摘されています。

このため、厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において、緊急時の薬事承認の在り方等について議論され、令和3年12月27日に「緊急時の薬事承認の在り方等に関するとりまとめ」がとりまとめられました。

とりまとめにおいてはまず、緊急承認制度の発動要件として、特例承認と同様に、「国民の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある疾病のまん延その他の健康被害の拡大を防止するために緊急に使用されることが必要な医薬品医療機器等であり、他に代替手段が存在しないこと」とすることが適当であると提言されています。

次に安全性についてですが、緊急時であっても、安全性については、従前と同水準で安全性があると判断できる、一定の情報が収集されたもの、すなわち安全性の確認されたものを承認するべきであると提言されています。

また有効性については、安全性の確認を前提としつつ、有効性については、個々の医薬品医療機器等の性質等に応じた判断を行い、例えば、探索的な臨床試験成績等は入手できるが、緊急時に、有効性を十分なエビデンスをもって確認するための検証的臨床試験を完了させる時間的余裕がない場合でも、申請のあった医薬品医療機器等に有効性があるとする可能性が合理的であるだけの情報が収集された状態、すなわち有効性の推定されたものについて、推定される有効性に比して安全性が許容可能な場合には、承認を与えることができると提言されております。「有効性の推定」と「安全性の確認」については、緊急時におけるリスクとベネフィットを比較考量することが適当である、ととりまとめられております。

さらに、承認の期限については、有効性が「推定」の段階で承認を行う緊急時の承認であるため、承認後一定の期間までに、有効性等の確認を求めること、とした上で、有効性等が確認できない場合等、医薬品医療機器等の承認を維持することが適切でないことが判明した場合は、速やかに承認を取り消すことを可能とすることが必要である、とまとめられております。また、本制度が主として想定している大規模な感染症における緊急時は、スペイン風邪や新型インフルエンザが概ね2年間程度で収束していることも参考に、短期間とすることが適当であるとし、承認後、直ちに検証的な試験成績等を収集できないことなども想定されることから、必要に応じて、承認の期限の延長を可能とすることが適当であると提言されております。

本制度では、世界で、初めて日本で承認申請され、海外でも未承認・未許可の医薬品医療機器等も緊急承認の対象となることを想定しております。

これらのとりまとめの内容も踏まえ、令和4年3月1日には医薬品、医療機器等の品質、

有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律案が閣議決定され、国会に提出されました。

おわりに

簡単ではありますが、以上が医薬品医療機器等法に基づく従来の承認制度と、緊急時の薬事承認制度の在り方に関する議論に関するご説明となります。

引き続き迅速な承認審査に尽力するとともに、めまぐるしく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。