

DI 委員会トピックス

公知申請と保険ラグ

公知申請とは、承認済医薬品の適応外使用に十分な科学的根拠のあるものについて、外国において既に承認され医療における相当の使用実績がある等の条件に該当し、効能又は効果等が医学薬学上公知であると認められる場合には、臨床試験の全部または一部を新たに実施することなく承認事項一部変更承認申請が可能となるものである。平成 11 年 2 月 1 日付け、厚生省健康政策局研究開発振興課長と厚生省医薬安全局審査管理課長の連名の通知「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて」において、示されている。

平成 22 年 8 月には、適応外薬の保険適用を迅速に行う観点から、「医療上の必要性の高い未承認・適応外薬検討会議（以下「検討会議」）」を経て薬事・食品衛生審議会（以下「薬食審」）において公知申請の事前評価が行われた適応外薬については、事前評価が終了した段階で、薬事承認を待たずに保険適用が開始されることとなった。平成 25 年 11 月までに 80 件以上が保険適用となっている。検討会議を経て薬食審の事前評価を終了し保険適用となった後、公知申請を行うが、承認は保険適用から約半年後となる。

「検討会議」は厚生労働省が設置し、欧米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や適応（以下「未承認薬・適応外薬」）について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進に資することを目的としている。年 4 回を目途に開催され、必要に応じて随時開催されている。平成 21 年（第Ⅰ回 374 件）、23 年（第Ⅱ回 290 件）に未承認薬・適応外薬に係る要望を学会、患者団体等に公募し、その必要性の評価等を行っている。第Ⅱ回の公募要件として「適応外薬」は欧米等 6 ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されていること、となっており、第Ⅰ回の 4 カ国から拡大されている。検討会議は、平成 22 年 2 月に第Ⅰ回が、それ以降、平成 25 年 10 月までに 17 回開催されており、平成 25 年 9 月までに企業に開発要請した件数は第Ⅰ回要望は 165 件、第Ⅱ回要望は 83 件である。

ところで、後発医薬品（以下「後発品」）の使用促進に当たって、先発医薬品（以下「先発品」）が効能追加を行った場合など後発品の効能効果等が先発品と合致していない場合には、後発品への変更に支障が生じる恐れがある。このため、先発品が公知申請を行う場合は、後発品も同時期の公知申請を積極的に検討することや、公知申請しなかった場合は先発品の承認後に遺漏なく迅速に対応するよう、通知されている。（標準製剤とされた先発品（以下「標準先発品」）について、薬食審における事前評価が終了した場合には、後発品についても、標準先発品と同様に検討会議で作成された報告書を利用した公知申請を行っても差し支えない。）

後発品の選択肢は、①先発品と同時期に公知申請する、②先発品が公知申請して承認を得た後、一部変更承認申請を行う、の 2 つ。後発品が標準先発品と同時期に公知申請を行ったとしても、保険適用は承認後であるので、①の場合の保険適用は、先発品より約半年遅れ、②の場合は約 1 年遅れとなる。また、申請資料、審査費用の負担が大きく異なるため、公知申請を行う後発品は少ない。

参考

- ・厚生労働省ホームページ <http://www.mhlw.go.jp>
- ・医薬品医療機器情報提供ホームページ <http://www.info.pmda.go.jp>