

令和5年3月23日



## 医薬品の緊急承認制度について

厚生労働省 医薬・生活衛生局

医薬品審査管理課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

# 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（令和4年法律第47号）の概要

## 改正の趣旨

緊急時において、安全性の確認を前提に、医薬品等の有効性が推定されたときに、条件や期限付の承認を与える迅速な薬事承認の仕組みを整備するとともに、オンライン資格確認を基盤とした電子処方箋の仕組みを創設し、その利活用を促すため、所要の措置を講ずる。

## 改正の概要

### 1. 緊急時の薬事承認【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】

緊急時の迅速な薬事承認を可能とするため、以下の仕組みを新たに整備する。

#### ① 適用対象となる医薬品等の条件

- 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等について、他に代替手段が存在しない場合とする。

#### ② 運用の基準

- 安全性の確認を前提に、医薬品等の有効性が推定されたときに、薬事承認を与えることができることとする。

#### ③ 承認の条件・期限

- 有効性が推定された段階で承認を行うことから、承認に当たっては、当該承認の対象となる医薬品等の適正な使用の確保のために必要な条件及び短期間の期限を付すこととする。

#### ④ 迅速化のための特例措置

- 承認審査の迅速化のため、GMP調査、国家検定、容器包装等について特例を措置する。

### 2. 電子処方箋の仕組みの創設【医師法、歯科医師法、地域における医療及び介護の総合的な確保の促進に関する法律等】

- 医師等が電子処方箋を交付することができるようにするとともに、電子処方箋の記録、管理業務等を社会保険診療報酬支払基金等の業務に加え、当該管理業務等に係る費用負担や厚生労働省の監督規定を整備する。

## 施行期日

1については、公布の日（令和4年5月20日）。2については、令和5年2月1日までの間において政令で定める日。

# 骨太方針等の関連記載（緊急時の薬事承認）

## ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）

さらに、発動の要件、運用の基準、補償、免責など緊急事態における特別に使用を認めるための制度の在り方<sup>10</sup>について、今後、新型コロナウイルスの感染拡大の収拾にめどが立ち、政府全体における緊急事態の対処にかかる議論が行われる中で、本年中に方向性について結論を出す。

10 米国の緊急使用許可制度（EUA：Emergency Use Authorization）において、今般の新型コロナワクチンに関しては、緊急事態であると宣言した上で、大規模な検証的臨床試験結果を踏まえ、EUAを発出している。

## 経済財政運営と改革の基本方針2021（令和3年6月18日閣議決定）

- ・ 感染症を巡る状況を踏まえつつ、個々の医療機関の経営リスクに配慮しながら、病床や医療人材の確保に関する協力を国や自治体が迅速に要請・指示できるようにするための仕組みや、平時からの開発支援を含め治療薬やワクチンについて安全性や有効性を適切に評価しつつ、より早期の実用化を可能とするための仕組み、ワクチンの接種体制の確保など、感染症有事に備える取組について、より実効性のある対策を講じることができるよう法的措置を速やかに検討する。あわせて、行政の体制強化に取り組む。
- ・ 緊急時の薬事承認の在り方について検討する。

## 成長戦略実行計画、成長戦略フォローアップ（令和3年6月18日閣議決定）

（成長戦略実行計画）

- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、ワクチンを国内で開発・生産し、速やかな供給ができる研究開発・生産体制を構築するため、世界トップレベルの研究開発拠点の形成、戦略性を持った研究費のファンディング機能の強化、治験環境の整備・拡充、薬事承認プロセス迅速化の体制・基盤整備、ワクチン製造拠点の整備、ワクチン開発・製造産業の育成・振興等を進める。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

（成長戦略フォローアップ）

- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、政府が一体となって必要な体制を再構築し、長期継続的に取り組む国家戦略として以下の取組を行う。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。
  - ― また、薬事承認プロセスの迅速化のための体制・基盤整備として、新たな感染症に備えて、あらかじめ臨床試験の枠組みに関する手順を作成するとともに、緊急事態に特別に使用を認めるための制度の在り方を政府全体で検討し、今後、新型コロナウイルスの感染拡大の収拾に目途が立ち、政府全体における緊急事態の対処にかかる議論が行われる中で、2021年中に方向性について結論を得る。

# 緊急承認制度における承認審査の考え方（ガイドライン）について（概要）

- 緊急承認制度における承認審査の考え方については、主に以下のような内容をガイドラインとして課長通知において規定。

（「緊急承認制度における承認審査の考え方について」（令和4年5月20日付け薬生薬審発0520 第1号））

## 有効性・安全性の評価

- 緊急時におけるリスクとベネフィットのバランスを考慮し、有効性を推定するために必要な臨床試験成績に基づき、推定される有効性に比して、安全性が許容可能であることを確認する必要がある。
- 感染症の治療薬とワクチンについては具体的には次のとおり。

### 治療薬

- 探索的な臨床試験において、臨床的意義の認められた評価指標により一定の有効性が示されている場合が想定。
- 探索的な臨床試験としては、通常は、後期第Ⅱ相試験程度の臨床試験が該当。
- 外来因子であるウイルスをターゲットとする抗体医薬品などの場合は、日本人成績は必要でない場合がある。

### ワクチン

- 代替指標の臨床的意義が明らかになっていない場合は、発症予防効果を評価指標とした検証的な第Ⅲ相臨床試験が原則。ただし、第Ⅲ相臨床試験の中間解析等の段階で有効性を推定できる場合は想定される。  
※ なお、今後の技術革新等を否定するものではない。
- 海外の検証的な大規模臨床試験で顕著な成績が得られている場合には、日本国内での臨床試験成績は必要ではない場合がある。

## 適用の要件

### 緊急性の要件

- 最も想定されるのは感染症のアウトブレイク
- 原子力事故、放射能汚染、バイオテロ等も想定

### 代替性の要件

- ①既承認薬がない、②既承認薬はあるが複数の治療選択肢が必要、③供給が不十分、④極めて高い有効性・安全性が見込まれること、のいずれかに該当すること。
- ②の例としては、作用機序が異なる場合や、禁忌の対象が異なる場合等が含まれる。

## 期限内の本承認申請の際の取扱い

- 有効性確認のため、原則として検証的な第Ⅲ相臨床試験が必要。
- 感染者が急速に減少するなど、検証的な第Ⅲ相臨床試験の完遂が困難であると合理的に考えられる場合その他の場合には、リアルワールドデータを活用して有効性の確認を行う方法を検討できる場合がある。

## その他

- 申請資料、猶予資料の取扱い、GCP調査・GMP調査の取扱い、期限、機構における審査の取扱いについて規定

# 薬事承認制度の比較

	通常承認	医薬品の性質に応じた平時の承認		緊急時の迅速な承認	
		条件付き承認	再生医療等製品 条件・期限付き承認	特例承認	緊急承認
対象	全ての医薬品等	希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるもの	均質でない再生医療等製品	外国（日本の薬事制度と同等の水準の制度を有する国）で流通している医薬品等	全ての医薬品等
制度趣旨	科学的なエビデンスに基づき、医薬品等の有効性・安全性が確認された医薬品等に承認を与えるもの。	医療上特にその必要性が高い医薬品等だが、有効性・安全性を検証するための十分な人数を対象とする臨床試験の実施が困難であるものに承認を与えるもの。	再生医療等製品の特性（製品の品質や薬理作用物の発現量が不均一）に鑑み、少数例による安全性が確認された上で有効性が推定されるものに承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、外国において販売等が認められている医薬品等に承認を与えるもの。	緊急時に健康被害の拡大を防止するため、安全性が確認された上で有効性が推定される医薬品等に承認を与えるもの。
有効性・安全性	有効性 確認 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認	有効性 確認 安全性 確認	有効性 推定 安全性 確認
各種特例	—	第Ⅲ相試験無しで企業からの申請が可能	—	GMP調査 国家検定 容器包装 等	GMP調査 国家検定 容器包装 等

※ 米国においては、緊急時の制度として、緊急使用許可（EUA = Emergency Use Authorization）が存在。

# 海外における緊急時の医薬品使用許可制度等について

	米国	EU
制度名	緊急使用許可 Emergency Use Authorization (EUA)	条件付き販売承認 Conditional marketing authorisation
制度の形態	使用許可（承認制度ではない。）	承認制度
根拠法令	FD&C act §564 (FD&C Act: Federal Food, Drug, and Cosmetic Act)	Commission Regulation (EC) No 507/2006
承認等権者	保健福祉庁長官	EC (EC : European Commission 欧州委員会)
適用の条件	以下の①及び②を満たす場合に適用  ①国土安全保障省、国防省、保健福祉省長官のいずれかが化学的、生物学的、放射線学的、および核にかかる緊急事態であることを決定した上で、保健福祉省長官が、当該決定に基づき、EUAの発動が正当化される状況であると宣言すること  ②①の宣言を受けた上で、以下にあたること ・重篤または命に関わる疾病・状況を生じること ・他に入手可能な承認された製品がないこと	以下のいずれかの医薬品に対して適用  ・重度の衰弱性疾患又は生命を脅かす疾病に対するものであること  ・WHO又は欧州連合によって正式に承認された公衆衛生上の脅威への対応として、緊急事態で使用されるものであること  ・オーファンドラッグ
運用の基準 (主なもの)	1. 効果があるかもしれない (the product may be effective) 2. 既知及び起こりうるベネフィットが、既知及び起こりうるリスクを上回る (the known and potential benefits of the product outweigh the known and potential risks)  ※当該時点で利用可能 (available) なデータを元に許可	1. リスク・ベネフィットバランスがポジティブ (the risk-benefit balance of the medicinal product is positive) 2. 申請者が今後包括的な臨床データを提供できる立場にある (it is likely that the applicant will be in a position to provide the comprehensive clinical data) 3. 即時に医薬品が入手できることによる公衆衛生へのベネフィットが、追加データが必要であることに由来するリスクを上回る (the benefit to public health of the immediate availability on the market of the medicinal product concerned outweighs the risk inherent in the fact that additional data are still required.)
特例の内容	・品質確保にかかる調査の免除 ・その他必要な規定はEUAごとに個別に規定	当該時点でのデータに不足があっても、承認時の条件により臨床試験の新規実施等の要請により承認可能
安全対策	条件として、EUAごとに個別に規定	安全性情報の収集に関する要件を設けることが可能
副作用等が生じた際の補償・免責	・PREP法に基づく免責の対象 ・CICP法に基づく政府補償の対象 (PREP: Public Readiness and Emergency Preparedness Act) (CICP: Countermeasures Injury Compensation Program)	欧州委員会においては実施しておらず、各国の対応による

# 緊急承認制度の運用状況等について

## 【成立の経緯・運用状況等】

- 「経済財政運営と改革の基本方針2021」等も踏まえ、2021年11月より厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において議論を行い、同年12月27日に緊急時の薬事承認の在り方に関するとりまとめ」を策定。
- 当該とりまとめを踏まえ制度設計を行った緊急承認制度の創設等を内容とする「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」を2022年3月1日に国会へと提出。
- 本法律案は、前通常国会における「重要広範議案」に指定。内閣総理大臣入りの審議や参考人からの意見聴取が実施された上で、5月13日に全会一致で可決・成立。同月20日に公布・施行。
- 塩野義製薬の新型コロナ治療薬について本制度適用の希望があり、6月22及び7月20日の薬食審において審議（継続審議）。
- なお、緊急承認制度の周知広報のため、わかりやすいリーフレットを現在作成中であり、8月中には完成予定。

## 緊急承認制度に関連する法令・通知

### 法律

- ・ 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（令和4年法律第47号）

### 政令

- ・ 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の施行に伴う関係政令の整備等に関する政令（令和4年政令第196号）

### 省令

- ・ 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の施行に伴う関係省令の整備に関する省令（令和4年省令第84号）

### 通知

- ・ 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等の公布について（医薬・生活衛生局長通知）
- ・ 緊急承認制度における承認審査の考え方について（医薬品審査管理課長通知）
- ・ 「新型コロナウイルス感染症に対する医薬品等の承認審査上の取扱いについて」の廃止について（医薬品審査管理課医療機器審査管理課長連盟通知）
- ・ 緊急承認及び特例承認に係る適合性調査の取扱いについて（監視指導・麻薬対策課長通知）
- ・ 再生医療等製品の承認申請資料適合性書面調査、再生医療等製品のGCP実地調査及び再生医療等製品のGPSP実地調査に係る実施要領について（医療機器審査管理課長通知）

## 国会審議の状況

### 衆議院

- ・ 3月31日 本会議 提案理由説明 & 審議  
※総理入り
- ・ 4月6日 厚生労働委員会①
- ・ 4月8日 厚生労働委員会②
- ・ 4月12日 参考人質疑
- ・ 4月13日 厚生労働委員会③
- ・ 4月15日 厚生労働委員会④  
※総理入り

### 参議院

- ・ 4月22日 本会議 提案理由説明 & 審議  
※総理入り
- ・ 4月26日 厚生労働委員会①
- ・ 4月28日 厚生労働委員会②
- ・ 5月10日 参考人質疑
- ・ 5月12日 厚生労働委員会③  
※総理入り