

2025年3月21日

厚生労働大臣 福岡 資麿 殿  
衆議院厚生労働委員会委員長 藤丸 敏 殿  
参議院厚生労働委員会委員長 柘植 芳文 殿

## 薬機法改正による条件付き承認制度の拡大等に反対する意見書

薬害オンブズパーソン会議  
代表 鈴木利廣  
〒160-0022 東京都新宿区新宿 1-14-4  
AMビル4階  
TEL.03-3350-0607 FAX.03-5363-7080  
yakugai@t3.rim.or.jp  
<http://www.yakugai.gr.jp>

### 第1 意見の趣旨

第217回国会（令和7年常会）に上程されている薬機法改正案について

- 1 現行薬機法14条3項において、承認申請書に添付しなければならない資料について「臨床試験の試験成績に関する資料その他の資料」と記載し、臨床試験の試験成績に関する資料の提出が必要であることを明記していた点を変更し、同条文から「臨床試験の試験成績」という文言を削除して、「品質、有効性及び安全性に関する資料として厚生労働省令で定める資料」とすることに反対する。
- 2 厚労省から提案されている条件付き承認制度の適用拡大に反対する。
- 3 リアルワールドデータのみに基づく薬事承認に反対する。

### 第2 意見の理由

はじめに

第217回国会（令和7年常会）提出法律案として医薬品、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（以下「薬機法」という）の改正案が

上程されている。その中で、厚労省は「より活発な創薬が行われる環境の整備」のためとして、条件付き承認制度を適用する医薬品の拡大を図る改正を提案している（本意見書に別添の厚労省作成の説明資料参照。以下「別添説明資料」という）。

今国会に上程されている条件付き承認制度に関する薬機法改正案（以下「本改正案」という）は、薬事承認には臨床試験成績に関する資料の提出が必要であるとする薬機法の根幹をなす原則規定を変更したうえで、現行の条件付き承認制度の適用を不適切に拡大し、さらには、リアルワールドデータを承認申請資料とすることを一般的に可能としうるものであり、当会議は、この改正案に反対する。

なお、本意見書では、便宜上、医薬品・医薬部外品及び化粧品に関して述べるが、医療機器及び体外診断用医薬品、再生医療等製品に関しても同趣旨の改正が提案されており、同様の問題点がある。

以下、詳述する。

## 1 本改正案の条件付き承認制度に関する条文等

(1) 本改正案の条件付き承認制度に関する薬機法の条文上の主な変更は以下のとおりである<sup>1</sup>。

① 現行薬機法 14 条 3 項において、承認申請書に添付しなければならない資料について「臨床試験の試験成績に関する資料その他の資料」と記載して臨床試験成績に関する資料の提出が必要であることを明記していた点を変更し、同条文から「臨床試験の試験成績」という文言を削除して、「品質、有効性及び安全性に関する資料として厚生労働省令で定める資料」とする。

② 薬機法 14 条の 2 の 2 を新設し、適用対象について「申請に係る医薬品が希少疾病用医薬品、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」と規定し、「当該医薬品の有効性及び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」ことを要件としない（14 条 5 項を削除）。

また、承認時に求められる有効性については、「申請に係る効能又は効果を有すると合理的に予測できるもの」とする。

③ 承認取り消しに関する 74 条の 2 に、適用対象として新設する 14 条 2 の 2 に関する事項を加える。

(2) また、本改正案の閣議決定に至る過程では、2024年6月6日の厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において、事務方から「医薬品や医療機器の薬事承認申請について、臨床試験成績によらず、リアルワールドデータ（RWD）のみの臨床成績による承認申請も可能であることを法律上明確化してはどうか」という趣旨の提案がなされており<sup>2</sup>、2025年1月10日付の同部会「薬機法等制度改正に関するとりまとめ」においても「リアルワールドデータの薬事申請への利活用の明確化」として、「リアルワールドデータの活用については、ランダム化比較試験による厳密なエビデンスの重要性に留意した運用や、信頼性確保に向けた継続的な取組を前提に、臨床開発の効率化にも資するよう、医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器、体外診断用医薬品または再生医療等製品の承認申請時の添付資料の規定では、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する資料とするなど、より一般的な規定に見直すべきである。」としている<sup>3</sup>。

## 2 薬機法 14 条 3 項の改悪と条件付き承認制度

本改正案の条件付き承認制度の問題点は以下のとおりである。

### (1) 適用対象の問題

現行薬機法の下でも、条件付き承認制度は位置づけられており、その適用範囲については、令和2年8月31日薬生薬審発 0831 第2号及び令和6年10月23日薬薬審発 1023 第2号の通知により以下のように記載されている<sup>4,5</sup>。

#### 「1. 対象品目

以下の①～④のいずれにも該当する医薬品とする。

なお、予防薬について本制度の対象としようとするときは、特に慎重な検討を要するものであること。また、欧米等において、条件付き承認制度に準じる制度により承認を受けており、承認後に検証的試験（異なる治療ラインの場合を含む。）の実施が予定されている品目については、積極的に本制度の活用を検討するものであること。

- ① 以下に分類して総合的に評価した結果、適応疾患が重篤であると認められること
  - 1) 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）であること
  - 2) 病気の進行が不可逆的等で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること

② 以下に分類して総合的に評価した結果、既存の治療法、予防法又は診断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

1) 既存の治療法、予防法又は診断法がないこと

2) 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、予防法又は診断法より優れていること

③ 検証的臨床試験の実施が困難であるか、実施可能であっても患者数が少ないこと等により実施に相当の期間を要すると判断されること

なお、本要件への該当性は、日本人を対象とした追加データが必要となる場合にも検討対象となる。また、致命的な疾患や、急速かつ不可逆的に進行する疾患等において、日本人における有効性及び安全性が検証されていない不確実性を考慮してもなお臨床試験の実施により医薬品の承認に相当な時間を要することの患者への不利益の程度が大きい場合も本要件に該当する。

④ 検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績その他の情報（以下「検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績等」という。）により、一定の有効性、安全性が示されると判断されること

新設される薬機法 14 条の 2 の 2 は、現行制度上の上記③の要件である「検証的臨床試験の実施が困難であるか、実施可能であっても患者数が少ないこと等により実施に相当の期間を要すると判断されること」を要件からはずし、希少で患者数が少ない疾患や重篤かつ代替の治療法がない疾患であるならば、検証的臨床試験の実施が困難であるかどうかにかかわらず、条件付き承認制度の対象としている。これは、検証的臨床試験を相当とされる期間内に実施することが可能な場合であっても、検証的な試験、すなわち第Ⅲ相試験を実施しなくてもよいということを意味する。

本改正案については、「日本市場に新規参入する外国企業が、米国と同じ仕組みが使えないということは改善すべき」、「法律に位置付けることで、製薬企業やベンチャーが柔軟性高く制度を活用できるというメッセージを内外に示すことになる」等として、米国の迅速承認制度（Accelerated Approval：AA）と同様の制度とすることを目指すものであるという説明もなされている<sup>6</sup>。米国の迅速承認制度は、その多くが抗がん剤に適用されており、同制度のもとで2013年から2023年までに承認された多くの抗がん剤が、そこから5年以内に全生存利益またはQOL向上の効果を示せていなかったとする報告がある<sup>7,8</sup>。日本でも、多くの間質性肺炎の死亡者を出した

抗がん剤イレッサの例がある(承認条件だった延命効果の証明に失敗したが承認は維持され、再審査において適応がEGFR遺伝子変異陽性者等に限定された)。

第Ⅱ相試験だけでは有効性と安全性が十分に評価できないからこそ、薬事承認には検証的試験として第Ⅲ相試験を実施してその成績を提出することがゴールドスタンダードとされてきたのである。一度医薬品が市場に出れば、有効性を適切に評価できるような臨床試験はますます組みにくくなり、検証的試験が行われていなかった場合、患者は本当に有効なのかどうか分からない医薬品を長期にわたって使用し続けることになる。希少で患者数が少ない疾患や重篤かつ代替の治療法がない疾患の医療上のニーズを考慮しても、検証的臨床試験の実施が困難か相当に時間がかかるという状況が認められないのに、有効性と安全性の検証がないままに新薬を使用してよいとすることに合理性は見いだせない。代替の治療法がないという要件が解釈によって安易に拡大適用される可能性についても危惧される。

本改正案は、有効性が不確かな医薬品によって、患者を危険にさらすことになり、かえって患者の利益を損なうから認められない。

## (2) 承認前に実施される試験に関する問題

本改正案に関して別添説明資料では、承認前に実施される試験については「探索的臨床試験（第Ⅱ相試験）等」である旨が記載されている。

既に述べたように、検証的臨床試験の実施が困難であるかどうかにかかわらず、希少で患者数が少ない疾患や重篤かつ代替の治療法がない疾患であれば検証的試験を不要とすることに根本的な問題があるが、承認前に実施される試験を「第Ⅱ相試験等」としている点にも問題がある。

「等」とされていることによって第Ⅱ相試験さえ不要とする場合を認めることになるが、それは具体的にどのような場合を想定しているのかも不明である。検証的臨床試験を不要とすること自体が薬機法上の原則の重大な例外であるにもかかわらず、さらに第Ⅱ相臨床試験まで不要とすることは、例外の範囲を不当に拡大する余地を残すものであり、到底許容できない。

## (3) 臨床的有用性が合理的に予測可能であればよいとすることの問題

令和6年10月3日の厚生労働省の厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会の資料1の7頁のスライドによれば、現行の条件付き承認制度では、承認時において有効性と安全性を確認するのに対して、新設される薬機法14条の2の2では「申請に係る効能又は効果を有すると合理的に予測できるもの」と記載され、別添説明資料では「臨床的有用性が合理的に予測可能」

とされており、有効性の評価において、承認のハードルが下がることは明らかである。

しかし、「申請に係る効能又は効果を有すると合理的に予測できるもの」「臨床的有用性が合理的に予測可能」とは、具体的にどのような場合を想定しているのかが不明で、あいまいである。第Ⅱ相臨床試験の段階で分かる安全性は限られているから、有効性と安全性のバランスで評価される臨床的有用性をそもそも合理的に予測することが可能なのかも疑問である。

また、現行制度上、緊急時に適用される緊急承認制度において、安全性は確認するが有効性は「推定」でよいとされているが、これと「臨床的有用性が合理的に予測可能」という基準は具体的にどう違うのか。両制度の整合性が図れているのかなども明らかではない。不明確な例外規定という他はなく、認められない。

薬事承認制度の比較			
	対象	制度趣旨	有効性・安全性
	全ての医薬品等	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。	有効性 確認 安全性 確認
医薬品の性質に応じた 平時の承認	条件付き承認 (現行)	医療上の必要性の高い医薬品	有効性 確認 安全性 確認
	条件付き承認 (改正案)	医療上の必要性の高い医薬品等	臨床的有用性が合理的に予測可能
	再生医療等製品 条件・期限付き承認	均質でない再生医療等製品	有効性 推定 安全性 確認
迅速な承認 緊急時の承認	特例承認	外国で流通している医薬品等	有効性 確認 安全性 確認
	緊急承認	全ての医薬品等	有効性 推定 安全性 確認

【令和6年10月3日開催の厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会資料1の7頁より引用】

#### (4) 市販後の有効性と安全性の検証に関する問題

本改正案では、承認後に「検証的臨床試験等」を実施することを条件とすると説明されているが、検証的臨床試験に「等」が付され、検証的臨床

試験（第Ⅲ相試験）はあくまで例示として位置づけられている（別添説明資料）。条文上も検証的臨床試験に限定する規定とはなっていない。

「等」とは何か。検証的臨床試験以外にどのような条件を付しうると想定されているのか、どのような場合に検証的臨床試験が不要とされるのかなど、具体的な説明が欠けている。

また、この「等」にリアルワールドデータを想定している可能性さえ危惧されるが、後述するとおり、リアルワールドデータをもって検証的臨床試験（第Ⅲ相臨床試験）に代替することはできない。

#### **(5) 承認取り消しの実効性に関する問題**

本改正案では、承認取り消しについて規定した 74 条の 2 を変更し、14 条の 2 の 2 に関する事項を加え、承認後の検証的臨床試験によって効果が示せなかった場合等に承認取り消しをすることを明記している。承認取り消しを条文上明確にすることは必要である。

しかしながら、承認の段階で、どのような検証的臨床試験をいつまでに完了させることが必要であるのかを明確にしなければ、検証的臨床試験がなされないまま長期にわたって使用が続けられる事態となりかねず、承認取り消し規定は画に描いた餅となる。取り消し規定を実効性のあるものとするには、承認の段階で、検証的臨床試験の期限や条件を明確化することが必須であるが、この点について具体的にどのような対応を予定しているのかが不明確である。

#### **(6) 市販後安全対策の実効性に関する問題**

本改正案では、条件付き制度の適用要件を緩和することに対応して、「市販後安全対策を講じつつ製造・販売」と説明されている（別添説明資料）。

承認前の臨床試験では、それがたとえ第Ⅲ相試験であっても、評価の期間や使用対象が限られ、安全性の評価には限界があるから、市販後安全対策が重要である。ましてや、探索的な試験のみで承認する場合の市販後安全対策は、患者への情報提供を含めて、より一層に重要となることは明らかであるが、いったい、何をどのように実施することを想定しているのか、説明されていない。

そもそも、過去 40 年余の予防接種法上のすべてのワクチン接種に関する死亡認定数は合計 151 件であるところ<sup>9</sup>、新型コロナウイルスワクチンにつ

いては、これを大きく上回る 994 件の死亡認定（2025 年 3 月 17 日現在）<sup>10</sup>がある状況の中、副反応疑い報告制度のもとで死亡例として報告された症例の因果関係について、その 99%を情報不足等による評価不能として棚上げしたまま、「安全性に特段の懸念はない」という結論を出しているありさまで<sup>11</sup>、探索的検証試験のみで市場に出した医薬品の十分な安全対策をどのように実施できるというのか。実態に照らして、実効性が期待できない。

#### (7) 薬機法 14 条 3 項から「臨床試験の試験成績」を削除することの不当性

上記のとおり条件付き承認の適用拡大に関する本改正案には大きな問題があるから、反対する。

ましてや、条件付き承認制度の拡大のために、現行薬機法 14 条 3 項において、医薬品、医薬部外品及び化粧品についての承認を受けようとする者は、臨床試験の試験成績に関する資料の提出が必要であることが明記されてきた点を変更し、同条文中から「臨床試験の試験成績」という文言を削除する<sup>12</sup>というのは、到底認められない。

医薬品の承認においては、検証的臨床試験を経て、有効性・安全性を確認することは長い歴史の中で人類が到達したひとつのゴールドスタンダードであり、同条文で臨床試験を求めていることは、薬機法の承認制度の根幹にかかわる。

当会議は条件付き承認制度の見直し自体にも反対であるが、法改正のあり方としても、今回の条件付き承認制度のための条文改正として不当である。条件付き承認制度は、あくまで薬機法の承認制度の例外という位置づけであるのに、その例外的制度の拡大のため、14 条 3 項から「臨床試験の試験成績」という文言を削除することは、薬機法上の根幹をなす原則を放棄するに等しい。例外のために原則を投げ出すような条文の改正のあり方は正しくない。

仮に早期承認のための例外的制度を導入するとしても、薬機法 14 条 3 項に「臨床試験の試験成績」の文言を残したうえ、例外的制度に関する条文を新設すれば足りるはずである。緊急承認制度を導入した場合においてさえ、そのようにして薬機法 14 条 3 項は維持されていた。今回の条件付き承認制度の拡大に際しても、本来は薬機法 14 条の 2 の 2 を新設しているのだからそれで足りるはずである。にもかかわらず、14 条の 3 項から「臨床試験の試験成績」の文言を削除したのは、単に条件付き承認制度の適用範囲を拡大するという目的を超えて、承認申請時に臨床試験の試験成績の提



出を求める原則を縮小していこうとする狙いがあるものと言わざるを得ない。

これは、リアルワールドデータの活用のために「承認申請時の添付資料の規定では、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する資料とするなど、より一般的な規定に見直すべきである」とした厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会のとりまとめの実行である。

薬機法 14 条 3 項から「臨床試験の試験成績」という文言を削除することにより、今後は、例外的な早期承認のための制度の導入やリアルワールドデータを薬事承認資料とすることなどが、法改正を行わずとも政令によって相当程度可能となり、国会の審議において議論される範囲も限定的となることも想定される。これは法による統治の原則にも反し、国民の代表が薬事行政を監視するというシステムの一角が崩れることになり許されない。

## (8) 過去の問題事例を総括する必要性

条件付き承認制度に関する薬機法改正の経過を遡ると、2014 年に再生医療製品を対象にした制度として始まり、2017 年 10 月 20 日の審査管理課長通知によって国会審議にかけられることなく医薬品一般に拡大する制度として即日実施され<sup>13</sup>、2019 年の薬機法改正によって、これを後追いする形で法に規定された。

しかし、再生医療等製品に関する制度の第 1 号として 2015 年に承認された「ハートシート」は、有効性・安全性検証の見込みが立たない状況となり、厚生労働省は期限を延長したが、2024 年に最終的に本承認が否決された。同年には「コラテジェン」も同様の結果となっている<sup>14,15</sup>。また、この制度のもとで、対照群を設けないきわめて少数例の臨床試験結果のみで 2018 年 12 月に承認された再生医療製品「ステミラック注」<sup>16</sup>についても、海外から厳しい批判がなされている。そうした前例についての反省や教訓が本改正案にどう生かされているのか全く不明である。現行制度の要件を緩和する以前に、同種の制度のもとで承認された過去の事例の問題点を総括すべきである。

また、前記の米国の迅速承認（AA）に関する問題点を含め、海外の同種の目的の制度の運用実態から得られる教訓をどのように生かそうとしているのかも明らかではない。

本改正案は、ドラッグ・ロス、ドラッグ・ラグの解消のためとされているが、医薬品等の早期承認のための例外的な制度は、どこまでも患者の利益になるものでなければならない。しかし、本改正案は、日本を製薬企業

にとって医薬品等の承認を受けやすい国にするということばかりが先に立ち、有効性と安全性の評価のおろそかな医薬品を適切な担保もなく市場に出すことにより患者の利益を損ねる偏ったものであり、ましてや、薬機法の条文について原則と例外の境をあいまいにするような改正を行うことは将来に禍根を残す。

従って、本改正案には反対する。

### 3 リアルワールドデータのみによる承認を可能としてはならない

別添説明資料には、本改正案によってリアルワールドデータの扱いがどうなるのかについての明確な記載はない。

しかし、冒頭でも指摘したとおり、本改正案提出に至る過程では厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において、臨床試験成績によらずにリアルワールドデータ（RWD）のみの臨床成績による承認申請を可能とすることを法律上明確化してはどうかという提案がなされ、同部会のとりまとめにおいても、リアルワールドデータの薬事申請への利活用について医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する資料とすることができるよう、より一般的な規定に見直すべきとされている<sup>17</sup>。

また、本改正案では、既に述べたように、薬機法 14 条 3 項から「臨床試験の成績」という文言を削除し、別添説明資料には「等」というあいまいな記載を設けていることなどから、条件付き承認制度において、承認時や市販後の検証試験に替えてリアルワールドデータを利用することが想定されている可能性がある。

14条3項は、承認申請に臨床試験資料の提出を求める承認制度の根幹にかかわる原則を定めた規定であるから、この規定を変更することによって、今後、条件付き承認制度以外の承認にもリアルワールドデータの利用が拡大されるおそれがある。

そもそもリアルワールドデータが臨床試験データに替わり得るかは学術的に全く合意されていない。またリアルワールドデータを薬事承認・保険償還などの重要な意思決定に用い得るかについても、学術的にも社会的にも全く合意されていない<sup>18</sup>。

上記部会でも、委員から「RWD を用いた観察研究のエビデンスでよいとする考え方は、有効性および安全性に関する厳密なエビデンスの必要性を軽んじ、中長期的には新薬開発をかえって妨げるという厳しい指摘もあります。医薬品の申請および承認という重要な意思決定には RCT のエビデンスが必要であり、むしろ RCT を安全かつ迅速に実施するための対策こそが

必要」とする意見<sup>19</sup>が出されるなどし、同部会では、慎重論が多く出されている（なお、前記とりまとめ案は、2024年12月26日開催の同部会において、「今後さらに検討が必要な事項もございますけれども、まずは取りまとめを行って、事務局においてはその内容を踏まえた法改正を実現していく方向でよろしくお願ひしたい」として部会長によって拙速に検討が打ち切られてまとめられたものであり<sup>20</sup>、前記の発言に代表される委員たちの慎重な意見を反映したものではない）。

「ドラッグ・ラグやドラッグ・ロス解消に向けた創薬環境・規制環境の整備」<sup>21</sup>の名目で、観察研究がなし崩し的に承認に用いられ、結果として質の低いデータで承認され、有効性・安全性が不確かな医薬品・医療機器が国民の生命・身体に害を与える結果を招くようなことはあってはならない。

従って、リアルワールドデータのみに基づく薬事承認を可能とする法改正に改めて反対する

以上

---

<sup>1</sup> 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（第217回国会（令和7年常会）提出）法律案新旧対照条文

<https://www.mhlw.go.jp/content/001403562.pdf>

<sup>2</sup> 令和6年度第3回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 資料1（p.13）

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001260844.pdf>

<sup>3</sup> 薬機法等制度改正に関するとりまとめ（p.15）

<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001371285.pdf>

<sup>4</sup> 令和2年8月31日薬生薬審発0831第2号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知

<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/000666236.pdf>

<sup>5</sup> 令和6年10月23日医薬薬審発1023第2号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知

<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T241024I0010.pdf>

<sup>6</sup> ミクス Online 記事「厚労省・佐藤審議官 次期薬機法改正に込めたメッセージ「製薬産業・薬局は国民から信頼される産業に」（2025/01/08）

<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=77703>

<sup>7</sup> Liu ITT, Kesselheim AS, Cliff ERS. Clinical Benefit and Regulatory Outcomes of Cancer Drugs Receiving Accelerated Approval. JAMA. 2024;331(17):1471–1479. doi:10.1001/jama.2024.2396

<https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/2817337>

<sup>8</sup> 日経メディカル「JAMA 誌から 迅速承認の抗癌薬、承認後に利益示せないものも」

<https://medical.nikkeibp.co.jp/inc/mem/pub/hotnews/jama/202404/584080.html>

<sup>9</sup> 予防接種健康被害認定者数

<https://www.mhlw.go.jp/topics/bcg/other/6.html>

---

<sup>10</sup> 疾病・障害認定審査会(感染症・予防接種審査分科会新型コロナウイルス感染症予防接種健康被害審査第三部会) 審議結果

<https://www.mhlw.go.jp/content/10900000/001452543.pdf>

<sup>11</sup> 薬害オンブズパーソン会議

「新型コロナウイルスワクチンの市販後安全対策と救済について」

[https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/20220114\\_2%20Covid19\\_vaccines\\_shihango\\_anzentaisaku\\_to\\_kyusai\\_ni\\_tsuite.pdf](https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/20220114_2%20Covid19_vaccines_shihango_anzentaisaku_to_kyusai_ni_tsuite.pdf)

「新型コロナウイルスワクチンの定期接種の中止を求める意見書」

[https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/COVID19vaccine\\_teikisesshu\\_chuushi\\_ikensho.pdf](https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/COVID19vaccine_teikisesshu_chuushi_ikensho.pdf)

<sup>12</sup> 法律案案文・理由

<https://www.mhlw.go.jp/content/001403561.pdf>

<sup>13</sup> 医薬品の条件付き早期承認制度の実施について（厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）平成 29 年 10 月 20 日薬生薬審発 1020 第 1 号

[https://www.mhlw.go.jp/web/t\\_doc?dataId=00tc2985&dataType=1&pageNo=1](https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc2985&dataType=1&pageNo=1)

<sup>14</sup> ミクス Online 記事「厚労省・薬事審 ハートシートは“不承認”と結論 条件及び期限付承認は失効へ」（2024/07/25）

<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=76883>

<sup>15</sup> ミクス Online 記事「アンジェス コラテジェンの再現性示せず条件付承認取り下げ、自主回収に 24 年末までに新たな申請へ」（2024/06/25）

<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=76743>

<sup>16</sup> 薬害オンブズパーソン会議「ステミラック注と再生医療等製品の条件及び期限付承認制度に関する要望書」

[https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/stemirac\\_saisei\\_iryoutouseihin\\_joukenkigentsukishounin\\_youbousho.pdf](https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/stemirac_saisei_iryoutouseihin_joukenkigentsukishounin_youbousho.pdf)

<sup>17</sup> 同上注 3（p.15）

<sup>18</sup> リアルワールドデータのみに基づく薬事承認申請を可能とする薬機法改正に反対する意見書

[https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/RWDnomini\\_motozuku\\_shounin\\_shinsei\\_kansei\\_hantai\\_ikensho.pdf](https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/RWDnomini_motozuku_shounin_shinsei_kansei_hantai_ikensho.pdf)

<sup>19</sup> 令和 6 年度第 3 回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 北澤委員提出資料

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001260846.pdf>

<sup>20</sup> 2024 年 12 月 26 日 令和 6 年度第 10 回 厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 議事録

[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_48833.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_48833.html)

<sup>21</sup> 同上注 3（p.14）

※いずれも最終アクセス日 2025 年 3 月 20 日。

### 3. より活発な創薬が行われる環境の整備① 〔条件付き承認制度の適用拡大/小児用医薬品の開発計画策定の促進〕

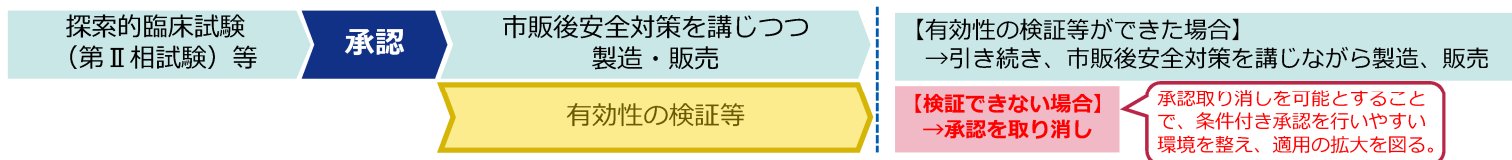
#### 概要

- 希少・重篤な疾患の治療のため医療上特に必要性が高い医薬品への速やかな患者アクセスを確保するため、**条件付き承認制度を適用する医薬品の拡大を図るとともに、薬局医薬品の承認申請時に小児用医薬品の開発計画の策定を努力義務**とする。

#### <条件付き承認制度を適用する医薬品の拡大>

##### ▶見直し後の条件付き承認制度のイメージ

- ・ 希少で患者数が少ない疾患や重篤かつ代替の治療法がない疾患を対象に、**探索的臨床試験等で、一定程度の有効性・安全性が確認され、臨床的有用性が合理的に予測可能な場合に、承認後に検証的臨床試験等**を行うことを条件に承認。



〔探索的臨床試験〕 少数の患者を対象に実施。医薬品等の有効性、安全性を検査し、用法・用量等を設定するために行われる。  
〔検証的臨床試験〕 多数の患者を対象に実施。探索的臨床試験を踏まえ設定した用法・用量等での安全性・有効性を検証するために行われる。

#### 【参考】通常の承認制度



#### <小児用医薬品の開発計画の策定の努力義務化>

- ✓ 薬局医薬品の製造販売業者に対し、小児用医薬品の開発計画の策定を努力義務とする。
- ✓ 小児用医薬品の開発計画が策定された医薬品の再審査の期間について、すでに上限（10年）で設定されている場合に、**上限を2年延長**できることとする。