

緊急時の薬事承認の在り方に関するとりまとめ

令和●年●月●日
厚生科学審議会
医薬品医療機器制度部会

目次

第1 はじめに

第2 緊急時の薬事承認の在り方

1. 我が国の対応状況と現状の課題

(1) 我が国の対応状況

① 特例承認の活用

② 早期の実用化に向けた薬事当局の対応

(2) 現状の課題

2. 基本的な考え方

3. 具体的な制度設計

① 緊急承認制度の対象

② 発動の要件（緊急時の定義）

③ 運用の基準

④ 承認の期限・条件

⑤ 市販後の安全対策

⑥ 健康被害の救済

⑦ 迅速化のための特例措置

第3 その他

1. 電子処方箋

2. 薬事行政の将来的な課題

第4 おわりに

第1 はじめに

- 感染症に対する我が国の危機管理強化の観点から、ワクチンや治療薬をはじめとする医薬品、医療機器等を速やかに国民に届けることが必要不可欠である。今般、新型コロナウイルス感染症拡大防止のため、有効なワクチンや治療薬について、特例承認や優先的な審査等により早期の薬事承認に最大限取り組んできたが、更なる早期化を実現するべく、緊急時における薬事承認の仕組みの必要性が高まっている。

36 ○ このため、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）や、
37 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）、成長戦略フォ
38 ローアップ（令和3年6月18日閣議決定）において、米国のEUA¹等を参考にした緊
39 急時の薬事承認の在り方について検討し、年内に方向性について結論を得ることと
40 された。

41 ○ この「とりまとめ」は、今冬以降に懸念される新たなコロナウイルス変異株等や、
42 中長期的な新たな感染症への備えとして、これまで計3回にわたって議論を行った
43 緊急時の薬事承認の在り方について、特に法整備等が必要と考えられる事項を中心
44 にとりまとめたものである。

45 第2 緊急時の薬事承認の在り方

46 1. 我が国の対応状況と現状の課題

47 (1) 我が国の対応状況

48 ○ 医薬品、医療機器及び再生医療等製品（以下「医薬品医療機器等」という。）を製
49 造販売しようとする者は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に
50 関する法律（昭和三十五年法律第百四十五号。以下「薬機法」という。）に基づき、
51 厚生労働大臣の承認を受ける必要がある。医薬品医療機器等の製造販売業者は、承認
52 申請の際、臨床試験の試験成績に関する資料等を審査当局に提出する必要がある²。
53 また、厚生労働大臣は、申請された医薬品医療機器等が、

54 ① 効能、効果又は性能を有すると認められるか、

55 ② 効能、効果又は性能に比して著しく有害な作用を有することがなく、使用価値が
56 あると認められるか、

57 ③ 医薬品医療機器等として不適当なものとして厚生労働省令で定める場合に該当
58 しないか

59 を審査し、その有効性・安全性を確認することとしている³。

60 ○ 今般、新型コロナウイルス感染症に有効な医薬品や医療機器については、現行制度
61

¹ 米国の緊急使用許可制度（Emergency Use Authorization）では、今般の新型コロナウイルスワクチンに関し、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、緊急使用許可を発出した。治療薬、検査薬についても緊急使用許可を発出している。

² 一般に、臨床試験は、以下の順番で行われる。

① 少数の患者を対象として、医薬品等の用法・用量等を検討する臨床試験

② 多数の患者を対象として、①の結果を踏まえて設定した用法・用量等における有効性・安全性を検証する臨床試験（以下「検証的臨床試験」という。）

³ 薬機法第14条第2項第3号、第23条の2の5第2項第3号及び第23条の25第2項第3号

62 の下、以下の取組等により早期承認を実施してきた。

63
64 ① 特例承認の活用

65 ○ 特例承認制度は、日本と同等水準の承認制度を有する国で流通している医薬品医
66 療機器等を迅速に承認し、国内流通を可能とする制度である⁴。特例承認制度では、
67 GMP 調査、国家検定、容器包装等の各種特例が措置されており、今般の新型コロナ
68 ウイルス感染症では、外国で使用許可等され、流通等していたワクチンや治療薬に
69 ついて、特例承認で対応することにより、通常の承認プロセスよりも早期に薬事承
70 認が行われた。

71
72 ② 早期の実用化に向けた薬事当局の対応

73 ○ 新型コロナウイルスワクチンに関しては、日本を含む各国の規制当局で構成する
74 ICMRA（薬事規制当局国際連携組織）において、新型コロナウイルスワクチンの有
75 効性・安全性を評価するための考え方の議論が行われてきた。ICMRA での議論を踏
76 まえ、「新型コロナウイルスワクチンの評価に関する考え方」を独立行政法人医薬
77 品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）にて策定し、令和2年9月2日に発
78 出した⁵。

79 ○ 令和2年4月13日付の厚生労働省事務連絡により、新型コロナウイルス感染症
80 又は関連する症状を対象とする医薬品医療機器等について、他の審査又は調査に優
81 先して行うこととした。

82
83 (2) 現状の課題

84 ○ 我が国の現行の薬事承認制度は、特例承認を除き、基本的に平時を前提とした制
85 度となっている。薬機法の現行の薬事承認スキームは、いずれも治験の実施や製
86 造・品質データの収集を経て承認申請資料をとりまとめることや、審査において、

⁴ 国民の生命及び健康を保全するために、医薬品医療機器等の製造等に係る通常の手続を満たさなくても迅速に供給せざるを得ない場合において、安全性の問題と比較考量してもなお、その迅速な供給の必要性がある場合に、可能な限りの審査を行いつつも、申請に必要な資料の猶予等の特例措置を講じることによって、当該医薬品医療機器等の迅速な供給を行うこととしている。

⁵ 令和3年春以降、各国でワクチン接種が進み発症予防効果を指標としたプラセボ対照試験の実施が難しくなったため、既に有効性が確認されているワクチン（実薬）を対照に、中和抗体価によって有効性を評価する新しい評価手法を ICMRA において日本から提案し、国際的なコンセンサスが得られたことを踏まえ、令和3年10月、PMDA においてワクチン治験の簡素化のための評価ガイドラインを公表した（新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチンの評価に関する考え方（補遺3））。

87 有効性・安全性の確認を行うことに一定の期間が必要である⁶。

88 ○ 他方、先進的な薬事制度を持つ国々では、緊急時において、検証的臨床試験によ
89 り医薬品医療機器等の有効性・安全性を十分なエビデンスをもとに確認する猶予が
90 ない場合に、薬事許可等を迅速に行うための制度を整備している。例えば、米国で
91 はEUA、EUではCMA（Conditional Marketing Authorization、条件付承認）とい
92 った制度がある。これらの海外の緊急時の薬事許可等の制度では、少なくとも有効
93 性については限定的な治験データ等で推定⁷され、ベネフィットがリスクを上回る
94 と判断できれば、販売等を許可することが認められている⁸。

95 ○ 我が国においては、特例承認等⁹を活用することにより、一定程度の薬事承認の
96 早期化が可能となっている。

97 しかし、特例承認制度は、国内企業が世界に先駆けて開発し、国内での承認申請
98 が行われた場合には適用することが出来ない。また、通常の承認制度と同様に、有
99 効性・安全性を「確認」していることから、例えば、ワクチンにおいて、海外で流
100 通している品目であっても、日本人での有効性・安全性を確認するための臨床デー
101 タが十分でない場合には、その確認のため国内治験を追加で実施しなければならない
102 などの課題がある。

103 ○ 今般、我が国における特例承認のタイミングは、先進諸外国の緊急時の薬事許可
104 等と比べ、数週間～数か月程度の差があった。例えば、ファイザー製ワクチン（コ
105 ミナティ筋注）は、EUAの許可日から約2か月後に特例承認がなされている。一般
106 に、ワクチンは、行政からの勧奨により、多数の健康人を含む幅広い対象者が接種
107 するものであることに加え、今回の新型コロナウイルスワクチンは、これまでの感
108 染状況が不明な新たな疾病に向けて開発された新しいモダリティ等のワクチンで
109 あったことから、承認に当たっては十分な確認が必要であった。こうした考え方
110 の下、欧米等のデータのみで判断するのではなく、日本人を対象とした一定の治験を
111 国内で行うなど、承認審査のためのデータ収集や手続を丁寧に行ったことにより、
112 承認まで時間を要した品目が存在した。

⁶ 再生医療等製品の条件及び期限付承認については、製品の品質や薬理作用物の発現量が不均一という製品の特性上、有効性は推定で承認することとしている（薬機法第23条の26第1項第2号）。

⁷ 例えば、米国EUAでは、“the product may be effective”が許可の基準の1つとなっている。

⁸ 米国EUAでは、販売後に並行して有効性を確認していくことを要件として課することができる。また、販売後に効果が認められない場合には、事後的な許可取消も可能である。

⁹ なお、薬事承認の早期化を図る制度としては、他に条件付承認制度（薬機法第14条第5項）があるが、この制度はいわゆる「オーファンドラッグ」等を想定した承認制度であり、緊急時の対応を主な適用場面として想定しているものではないため、例えば、国家検定の免除といった審査の迅速化のための特例措置は適用されない。

- 113 ○ 他方、米国やEUでは、前述のとおり、有効性・安全性が確認される前の段階で
114 も、医薬品の供給を許容する制度があり、これを活用して新型コロナウイルスワク
115 チンや治療薬が早期に使用できるようになった。

117 2. 基本的な考え方

- 118 ○ 前述した我が国の対応状況や課題、諸外国の対応を参考にしつつ、国民の生命と
119 安全を守る観点から、緊急時におけるリスクとベネフィットを比較考量した上で、
120 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る。
- 121 ○ 米国やEUでは、緊急時において、医薬品の供給を許容する制度が存在すること
122 に照らし、我が国においても、緊急時の薬事承認制度を整備していくことは必要で
123 ある。
- 124 ○ 他方、緊急時であったとしても、安全性は通常の薬事承認と同等の水準で確認す
125 ることを前提とした上で、有効性については、緊急時に時間的猶予がなく、例えば、
126 探索的な臨床試験成績等により、推定される有効性に比して、安全性が許容可能で
127 あり、医薬品医療機器等としての使用価値が認められる場合には、承認を可能とす
128 ることが考えられる。
- 129 ○ こうした基本的な考え方に基づき、後述の具体的な制度設計を踏まえた上で、緊
130 急時に迅速な薬事承認を可能とする新たな制度（以下「緊急承認制度」という。）
131 を創設するため、所要の法整備を行うべきである。その際、緊急時の具体的な状況
132 や医薬品医療機器等の性質等に応じて、審査プロセスの透明性・公正性の確保や国
133 民への十分な情報開示を行うことにより、国民の薬事行政への信頼の向上や医薬品
134 医療機器等の医療現場での適正な使用に繋げていくことが必要である。

136 3. 具体的な制度設計

137 ① 緊急承認制度の対象

- 138 ○ 幅広い状況に対応できるよう、ワクチンや治療薬だけでなく、医薬品全般、医療
139 機器や再生医療等製品も緊急承認制度の対象に含めるべきである。

141 ② 発動の要件（緊急時の定義）

- 142 ○ 緊急時として最も想定されるのは感染症のアウトブレイク（現下の新型コロナウ
143 イルス感染症や2009年の新型インフルエンザ感染症等）と考えられることから、緊
144 急承認制度の発動の要件としては、感染症のアウトブレイクを対象とすることが適
145 当である。
- 146 ○ 他方、緊急時の具体的状況は様々な状況が想定される。現行の特例承認制度にお
147 いては、緊急時として、感染症のアウトブレイクに加え、原子力事故、放射能汚染

148 やバイオテロ等も幅広く含まれることとしており、このことから、緊急承認制度も
149 現在の特例承認と同様の考え方とすることが適当である。

- 150 ○ また、発動の要件は明確であることが必要であり、感染症のアウトブレイクにつ
151 いては、発動の要件と感染症の予防及び感染症の患者に対する医療に関する法律
152 (平成十年法律第百十四号)に基づく手続と連動する対応が適当である。
- 153 ○ 加えて、新たな制度の対象となる医薬品医療機器等は、特例承認制度と同様に、
154 政令で指定するなどにより、手続を明確化することが適当である。
- 155 ○ さらに、承認後も、状況の変化や医薬品医療機器等に関する知見の集積等を踏ま
156 えて、有効性・安全性のバランスを継続的に確認し、必要があれば、後述する承認
157 の期限に至る前であっても、承認内容の変更や取消し等を行うことができるように
158 すべきである。

160 ③ 運用の基準

- 161 ○ 緊急承認制度では、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
162 性があると判断できる一定の情報が収集されたもの(以下「安全性の確認」という。)
163 を承認すべきである。
- 164 ○ 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
165 質等に応じた判断が必要になる。例えば、探索的な臨床試験成績等は入手できるが、
166 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
167 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
168 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(以下「有効性の推定」
169 という。)のものについて、推定される有効性に比して安全性が許容可能な場合に
170 は、承認を与えることができることとする。
- 171 ○ 「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
172 フィットを比較考量することが適当である。また、具体的な状況や審査する医薬品
173 医療機器等の性質等によって運用の基準が異なり得ることを踏まえ、審査に当たっ
174 ての基本的な考え方を整理していくことが必要である。
- 175 ○ 例えば、検証的臨床試験が完了していない場合でも、入手可能な臨床試験の試験
176 成績に関する資料を基に、有効性が十分に推定でき、その有効性に比して、安全性
177 が確認できる場合においては、申請が可能となる場合がある。
- 178 ○ 他方、市場流通する医薬品医療機器等として最低限必要な品質が確保されている
179 ことを確認するため、製造方法、規格や試験方法を具体的に明らかにする資料につ
180 いては、企業に提出を求める必要がある。

183 (参考) 運用の基準の規定イメージ

- 184 ① 申請に係る効能又は効果を有すると推定されるものであること (有効性の推定)
185 ② 申請に係る効能又は効果 (有効性の推定) に比して著しく有害な作用を有すること
186 により医薬品等として使用価値がないと推定されるものでないこと (安全性の確認)

187 ○ その際、科学的に安全性が 100% 確認されるということはありません。運用
188 の基準について、国民の中に誤解が生まれないように丁寧に説明していくことが必
189 要である。

190 ○ なお、世界で最初に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
191 機器等も対象となることに鑑み、その製造方法や規格等の適否について確認するこ
192 とが必要である。

193 ○ 更に、承認に当たっては、通常の承認と同様に、薬事・食品衛生審議会から意見
194 を聴くべきである。ただし、製造所の追加や販売名の変更といった軽微な変更の場
195 合は、緊急時に必要とされる医薬品医療機器等の迅速な薬事承認や市場供給の観点
196 から、必ずしも意見聴取の必要はないとすることが適当である。

197 198 ④ 承認の期限・条件

199 ○ 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
200 間までに、有効性等の確認を求めるとした上で、有効性等が確認できない場合
201 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、
202 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。

203 ○ このため、承認に当たっては、検証的臨床試験、日本人試験、使用成績調査等を
204 実施し、緊急時における医療環境等に配慮した、リアルワールドデータを含めた有
205 効性等を確認できるデータ収集を条件とすることが適当である。

206 ○ 加えて、安全性については「確認」しているものの、緊急時に使用されるもので
207 あることを踏まえ、医薬品医療機器等の使用によるものと疑われる疾病、障害又は
208 死亡の発生を厚生労働大臣に報告することを求めるなどの保健衛生上の措置を徹
209 底することを条件とすることが適当である。

210 ○ また、承認の期限については、本制度が主として想定している大規模な感染症に
211 おける緊急時は、概ね 2 年間程度で収束 (スペイン風邪や新型インフルエンザ) し
212 ていることをも参考に、短期間¹⁰とすることが適当である。

213 ○ その際、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
214 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。

¹⁰ これまでの承認実績を踏まえ、緊急承認後に必要となる検証的臨床試験の準備と実施 (約 1 年)、データ解析等 (約 1 年) は、概ね 2 年以内には完了することを見込んでいる。

215
216
217
218
219
220
221
222
223
224
225
226
227
228
229
230
231
232
233
234
235
236
237
238
239
240
241
242
243
244
245
246

⑤ 市販後の安全対策

- 緊急承認制度により承認された医薬品医療機器等の市販後安全対策については、当該医薬品医療機器等の特性に応じたリスク管理計画等において、承認前に十分ではなかった情報収集を可能とするよう安全性監視計画等を設定し、リスク最小化計画を設定するべきである。
- 緊急時の具体的状況を踏まえつつ、医薬品医療機器等の特性に応じた安全性情報の収集・評価を実施し、高頻度な審議会の開催等により、専門家の評価も踏まえつつ、より十分な安全対策を実施するべきである。
- 安全性評価にあっては、これまでの個別事例の因果関係評価に基づいた安全対策に加えて、リアルワールドデータの活用や集積する事例を統計的に解析した上での安全対策の実施にも重点を置くべきである。

⑥ 健康被害の救済

- 現行の救済制度では、法定予防接種については予防接種法（昭和三十二年法律第六十八号）に基づく予防接種健康被害救済制度、それ以外の医薬品については独立行政法人医薬品医療機器総合機構法（平成十四年法律第百九十二号）に基づく医薬品副作用被害救済制度の対象になっており、既存の特例承認制度により承認された医薬品についてもこれらの救済制度の対象となっている。¹¹
- 緊急承認制度により承認された医薬品についても、安全性については「確認」が行われているため、新たな救済制度を設けるのではなく、現行の救済制度の対象とすることが適当である。
- なお、医療機器に関しては、健康被害の由来が医療機器そのものの不具合又は使用方法である場合が想定される状況は、緊急承認制度の下でも変わりはないと考えられるため、新たに制度化せず、現状を維持することが適当である。

⑦ 迅速化のための特例措置

- 迅速な承認を可能とするため、現行の特例承認と同様、製造販売業許可や製造業許可を有すること、GMP 適合性調査、QMS 適合性調査、GCP 調査の実施等を承認の要件とはせず、また、国家検定や容器包装、注意事項等情報の特例を設けるべきである。実生産スケールへの製造設備や剤形の変更についても、同様に特例の対象とするべきである。

¹¹ 救済制度とは異なるが、新型コロナウイルスワクチンに関しては、立法措置により、予防接種で健康被害が生じた場合に政府が製薬企業の損失を補償する契約を締結できることとした。

- 247 ○ GMP 適合性調査、QMS 適合性調査、GCP 調査等を承認の要件とはしないものの、
248 必要に応じて、緊急承認審査中又はその承認後であっても、これらの調査を実施す
249 ることが適当である。
- 250 ○ なお、製造販売業や製造業の許可等は、市販後の安全対策や製品の品質確保等に
251 関わるものであることから、承認申請時に業許可等を受けていない場合は、業許可
252 等を行う都道府県等と連携し、流通開始までに適切に対応すべきである。
- 253 ○ 緊急承認制度により承認された医薬品医療機器等であることが容易に分かるよ
254 う、容器包装等分かりやすい場所に緊急承認制度により承認を受けた医薬品医療機
255 器等である旨を明記するなど、医療現場で医薬品医療機器等を実際に扱う立場の医
256 薬関係者への配慮が必要である。

257
258

259 第3 その他

260 1. 電子処方箋

- 261 ○ 電子処方箋については、所要の法整備を行うことの報告が行われた。その上で、
262 処方情報は機微な情報であることを踏まえ、安心安全な仕組み作りが不可欠であり、
263 医師による処方情報の患者への伝達及び患者が当該処方情報を確認できる仕組みが
264 必要であるという指摘があった。

265
266

266 2. 薬事行政の将来的な課題

- 267 ○ 今回の制度部会においては、緊急時の薬事承認の在り方に関して、集中的な議論
268 を行ったが、委員からは、平時の薬事承認制度の在り方等に係る将来的な課題につ
269 いても重要な指摘があった。

270
271

271 (1) 薬事承認の在り方

- 272 ○ 今回の制度部会での議論を踏まえ、緊急時の薬事承認については、諸外国の取組
273 も参考としながら、科学技術の進展や疾病の性質等を踏まえた上で、平時の薬事承
274 認も含め、より一層の承認の迅速化に向けた制度的検討を行う必要がある。
- 275 ○ 医薬品医療機器等の開発から申請、承認に至るプロセスにおいて、市販後に収集
276 するデータの具体的内容も含め、シームレスに対応できるよう、事前に行政と開発
277 企業との有効性・安全性の確保のための十分な相談や検討が必要である。

278
279

279 (2) リアルワールドデータの活用

- 280 ○ 平時の取組も含めて、リアルワールドデータのより一層の活用を進めるべきであ
281 る。

282
283
284
285
286
287
288
289
290
291
292
293
294
295
296
297
298
299
300
301
302
303
304
305
306
307
308
309
310

(3) 治験環境等の整備・拡充

- 治験環境の整備と拡充、薬事承認プロセスの迅速化を進めるべきである。

(4) 市販後の安全対策の充実

- 感染症対策として、予防接種行政においてワクチンの市販後の有効性・安全性等を見るためのツールとして、米国の VSD¹²も参考にしつつ、予防接種に係る情報とレセプト情報等との連携による有効性・安全性の評価を行う仕組みを構築し、それらを PMDA、医薬行政において活用する体制にすべきである。

(5) 妊婦への安全性強化

- 動物を用いた生殖毒性試験等の結果について、製薬企業のみならず、外部専門家による評価分析を行うことで、質の高い安全性評価に取り組むことが必要である。
- 緊急時の薬事承認のみならずオーファンドラッグ等についても、妊婦における安全性は市販後の対応が重要であり、その充実が必要である。

(6) 流通面での取組

- 緊急時に短時間で大量生産する可能性も想定し、生産体制を整備することも必要である。
- 今般、新型コロナウイルスワクチン等の流通等を国主導で管理していたことを踏まえ、必要な医薬品等が迅速に国民に行き渡るよう、緊急時の具体的な状況に応じて、現場で混乱が起こらないよう適切に対応することが求められる。

(7) 薬剤師・薬局の在り方

- 医薬分業の観点を踏まえた薬局及び薬剤師の在り方については、敷地内薬局の在り方や病院薬剤師の確保に係る実態を把握しつつ、引き続き検討していくことが必要である。

¹² VSD (Vaccine Safety Datalink) : 米国におけるワクチンのモニタリングシステム。米国 CDC と全米にある 9 つのマネジドケア組織 (合計 980 万人以上の国民をカバーする。) のネットワークであり、ワクチンの接種歴や医療機関の受診歴等に関する電子情報を集約している。集約したデータを基に、後ろ向き又は前向きに、特定のワクチン接種群/非接種群における有害事象の発生率を比較することが可能。

311 **第4 おわりに**

- 312 ○ 以上が制度部会で検討した内容であるが、厚生労働省においては、緊急時に、安全性
313 の確認を前提としつつ、迅速な薬事承認ができるよう、所要の法整備を行うことを求
314 める。
- 315 ○ また、制度部会で指摘のあった薬事行政の将来的な課題については、必要に応じて、
316 次の薬機法見直しに向けた来年以降の制度部会等において検討する。