

医政研発 0508 第 1 号
医薬薬審発 0508 第 5 号
令和 7 年 5 月 8 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医政局研究開発政策課長
（ 公 印 省 略 ）
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業見解の提出に伴う手続の迅速化について」の一部改正について

医療・薬事行政の推進につきましては、平素より格別の御高配を賜り厚く御礼申し上げます。

厚生労働省では、欧米等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及び適応等（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、開発要望を募集し、応募された開発要望については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「検討会議」という。）において、医療上の必要性を評価するとともに、製造販売承認申請に必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、未承認薬・適応外薬の開発を促す取組を進めています。検討会議において医療上の必要性が高いと評価された要望に関する開発要請後の手続きについて、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業見解の提出に伴う手続の迅速化について」（令和6年11月8日付け医政研発 1108 第 1 号医薬薬審発 1108 第 1 号厚生労働省医政局研究開発政策課長・厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長連名通知。以下「連名通知」という。）を発出したところです。

今般、「医薬品公知申請品目該当性相談」の設置等に伴い、連名通知を別紙のとおり改正しましたので、貴管下関係製造販売業者に対する周知方よろしくご配慮願います。改正後の連名通知は、別添のとおりです。

なお、本通知の写しを別記の関係団体宛て送付することを申し添えます。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業見解の提出に伴う手続の迅速化について」の改訂箇所（新旧対照表）

（傍線部は改正部分）

新	旧
（略） 2. 公知申請が妥当と判断する品目の対面助言の取り扱い （1） 開発要請を受けた製造販売業者は、公知申請に該当するか否か検討の方向性を整理するため、原則開発要請を受けてから1か月を目処に別添1-1、1-2、1-3及び別添2を添えて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に事前面談の申し込みを行うこと。<u>なお、別添2の作成にあたっては、厚生労働省ホームページに掲載している「「公知申請への該当性に係る企業見解」作成のガイドンス」を参照すること。</u> <u>（※）https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12946.html</u> <u>https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001485590.pdf</u> （2） 事前面談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、当該製造販売業者は事前面談で調整した内容に基づき、速やかにPMDAが実施する「<u>医薬品公知申請品目該当性相談</u>」を申し込むこと。なお、当該	（略） 2. 公知申請が妥当と判断する品目の対面助言の取り扱い （1） 開発要請を受けた製造販売業者は、公知申請に該当するか否か検討の方向性を整理するため、原則開発要請を受けてから1か月を目処に別添1-1、1-2、1-3及び別添2を添えて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に事前面談の申し込みを行うこと。 （2） 事前面談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、当該製造販売業者は事前面談で調整した内容に基づき、速やかにPMDAが実施する「<u>医薬品優先審査品目該当性相談</u>」を申し込むこと。なお、当該

相談の具体的な進め方及びスケジュールは、事前面談において担当審査部に確認すること。 (略)	相談の具体的な進め方及びスケジュールは、事前面談において担当審査部に確認すること。 (略)
--	--

参考

医政研発 1108 第 1 号
医薬薬審発 1108 第 1 号
令和 6 年 11 月 8 日
[一部改正]令和 7 年 5 月 8 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医政局研究開発政策課長
（ 公 印 省 略 ）
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業
見解の提出に伴う手続の迅速化について

医療・薬事行政の推進につきましては、平素より格別の御高配を賜り厚く御礼申し上げます。

厚生労働省では、欧米等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及び適応等（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、開発要望を募集し、応募された開発要望については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「検討会議」という。）において、医療上の必要性を評価するとともに、製造販売承認申請に必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、未承認薬・適応外薬の開発を促す取組を進めています。

今般、検討会議において医療上の必要性が高いと評価された要望に関する開発要請後の手続きについて、下記のとおり、取扱うこととしましたので、貴管下関係製造販売業者に対する周知方よろしくご配慮願います。

なお、本通知の写しを別記の関係団体宛て送付することを申し添えます。

記

1. 対象範囲

要望区分が「適応外薬」又は「未承認薬迅速実用化スキーム対象品目」であつて、開発要請を受けた製造販売業者が、当該要請に係る企業見解の中で公知申請が妥当と判断する場合を対象とする。

なお、本通知発出前に開発要請された要望に関しても、本通知に従い取り扱うことができることとする。

2. 公知申請が妥当と判断する品目の対面助言の取り扱い

- (1) 開発要請を受けた製造販売業者は、公知申請に該当するか否か検討の方向性を整理するため、原則開発要請を受けてから1か月を目処に別添1-1、1-2、1-3及び別添2を添えて、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に事前面談の申し込みを行うこと。なお、別添2の作成にあたっては、厚生労働省ホームページに掲載している「「公知申請への該当性に係る企業見解」作成のガイダンス」（※）を参照すること。

（※） https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12946.html

<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001485590.pdf>

- (2) 事前面談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、当該製造販売業者は事前面談で調整した内容に基づき、速やかにPMDAが実施する「医薬品公知申請品目該当性相談」を申し込むこと。なお、当該相談の具体的な進め方及びスケジュールは、事前面談において担当審査部に確認すること。

3. その他

開発要請を受けた製造販売業者が、新たに臨床試験の実施が必要と判断する場合は、開発要請を受けてから1か月を目処に、実施予定の試験内容に関する対面助言実施に向けてPMDAに事前面談の申し込みを行うのが望ましいこと。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

開発工程の概要

企業名	
-----	--

	要望番号	開発品目		開発工程の概要
1		一般名		↓ いずれかにチェックを入れて下さい
		販売名		☐ 承認済 令和 年 月 日承認済
		要請内容		☐ 承認申請中(公知申請を含む) 令和 年 月 日申請済
				☐ 治験実施中 治験計画届書届出日と治験計画届書に記載された実施期間 提出日:令和 年 月 日 実施期間:令和 年 月 日～令和 年 月 日
				☐ 公知申請予定 令和 年 月頃公知申請予定
		開発内容 (承認済の場合は承認された効能効果等を記入)		☐ 治験実施予定 令和 年 月頃治験計画届書提出予定 (非臨床試験:令和 年 月頃着手予定) (品質試験:令和 年 月頃着手予定)
☐ 未承認薬 ☐ 適応外薬 ()		☐ その他 ()		
2		一般名		↓ いずれかにチェックを入れて下さい
		販売名		☐ 承認済 令和 年 月 日承認済
		要請内容		☐ 承認申請中(公知申請を含む) 令和 年 月 日申請済
				☐ 治験実施中 治験計画届書届出日と治験計画届書に記載された実施期間 提出日:令和 年 月 日 実施期間:令和 年 月 日～令和 年 月 日
				☐ 公知申請予定 令和 年 月頃公知申請予定
		開発内容 (承認済の場合は承認された効能効果等を記入)		☐ 治験実施予定 令和 年 月頃治験計画届書提出予定 (非臨床試験:令和 年 月頃着手予定) (品質試験:令和 年 月頃着手予定)
☐ 未承認薬 ☐ 適応外薬 ()		☐ その他 ()		

〔注意〕

- ① 開発要請を受けたすべての品目について記載することとし、行は品目数に応じて加減すること。
一つの要望書の中に複数の効能・効果等が含まれており、それぞれの効能・効果等に関する開発工程が異なる場合は、別の行に分けて記載すること。その際、行ごとに要望番号の末尾に半角英数字のa,b,c・・・を加えて、それぞれ区別できるようにすること。
- ② 別紙様式にて、品目ごとにガントチャートを添付すること。
- ③ 「開発内容」が「要請内容」と同じである場合には、「同上」と記載すること。
「開発内容」が「要請内容」と異なる場合は、その理由書を別途添付すること。(様式自由)
- ④ 開発品目が新有効成分以外(新投与経路、剤形追加等)の場合は、「適応外薬」にチェックした上で括弧内にその内容を記載すること。
- ⑤ 現在治験実施中のものに関しては、現在実施している治験に係る治験計画届書の(独)医薬品医療機器総合機構への届出日及びその治験計画届書に記載された治験実施期間を記入すること。
(治験計画変更届書において治験実施期間が変更している場合であっても、当初提出した治験計画届書に記載されている治験実施期間を記入)
(例: 第Ⅰ相試験が終了し、現在、第Ⅱ相試験を実施している場合には第Ⅱ相試験の実施に当たって最初に提出した治験計画届書に記載された治験実施期間を記入する。)
なお、治験計画届書に記載された治験実施期間を過ぎても当該治験を継続して実施している場合には、その理由書を別途添付すること。(様式自由)
- ⑥ 治験中止届書を提出したものに関しては、その理由書を別途添付すること。(様式自由)
- ⑦ 新薬創出・適応外薬解消等促進加算では、開発要請から半年以内の公知申請、1年以内の治験実施を条件としている。この期間を超える場合は開発工程表等の評価において個別判断を行うので、理由書を別途添付すること。(様式自由)
- ⑧ 開発が「承認済」「承認申請中」「治験実施中」「公知申請予定」「治験実施予定」に該当しない場合は、「その他」に記入すること。(例1: 公知申請ではないが、治験を実施することなく〇〇をおこなった上で、〇〇年〇〇月承認申請予定、例2: 治験実施可能性調査中など)
なお、「その他」に該当するものは開発工程表等の評価において個別判断を行うので、別途補足説明資料を添付すること。(様式自由)

【記載例】

要望番号		開発品目		開発工程の概要
1	375	一般名	コウセイクエン酸塩	↓ いずれかにチェックを入れて下さい ☐ 承認済 令和 年 月 日承認済 ☐ 承認申請中(公知申請を含む) 令和 年 月 日申請済 ☐ 治験実施中 治験計画届書届出日と治験計画届書に記載された実施期間 提出日:令和 年 月 日 実施期間:令和 年 月 日～令和 年 月 日 ☒ 公知申請予定 令和22年10月頃公知申請予定 ☐ 治験実施予定 令和 年 月頃治験計画届書提出予定 (非臨床試験:令和 年 月頃着手予定) (品質試験:令和 年 月頃着手予定) ☐ その他()
		販売名	コウセイ錠100mg	
		要請内容	血栓・塞栓形成の抑制	
		開発内容 (承認済の場合は承認された効能効果等を記入)	同上	
		☐ 未承認薬 ☒ 適応外薬 ()		
2	398	一般名	ロウドウ塩酸塩	↓ いずれかにチェックを入れて下さい ☐ 承認済 令和 年 月 日承認済 ☐ 承認申請中(公知申請を含む) 令和 年 月 日申請済 ☒ 治験実施中 治験計画届書届出日と治験計画届書に記載された実施期間 提出日:令和22年1月10日 実施期間:令和22年2月20日～令和23年1月15日 ☐ 公知申請予定 令和 年 月頃公知申請予定 ☐ 治験実施予定 令和 年 月頃治験計画届書提出予定 (非臨床試験:令和 年 月頃着手予定) (品質試験:令和 年 月頃着手予定) ☐ その他()
		販売名	ロウドウカプセル 50	
		要請内容	ネフローゼ症候群	
		開発内容 (承認済の場合は承認された効能効果等を記入)	成人におけるネフローゼ症候群	
		☒ 未承認薬 ☐ 適応外薬 ()		

別添1-2

企業名：

[illegible]

⑧ 使用実態調査を行う場合にはその期間を $\times \rightarrow \times$ で示すこと。

【記載例】

要望番号	開発品目			平成25年				平成26年				平成27年				平成28年				平成29年				平成30年				平成31年				平成32年			
				1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q				
1	375	コウセイエン酸塩	申請	申請予定日																															
			臨床試験	治験届提出～治験開始予定日～治験終了予定日																															
			非臨床試験	毒性試験																															
				薬理作用に関する試験																															
			品質試験	吸収・分布・代謝・排泄に関する試験																															
				製造方法並びに規格及び試験方法に関する試験																															
2	398a	ロウドウ塩酸塩 (成人におけるネフローゼ症候群)	(公知申請)	安定性試験に関する試験																															
			申請	使用実態調査																															
			臨床試験	申請予定日																															
			臨床試験	治験届提出～治験開始予定日～治験終了予定日																															
			非臨床試験	毒性試験																															
				薬理作用に関する試験																															
(治験実施)	品質試験	吸収・分布・代謝・排泄に関する試験																																	
		製造方法並びに規格及び試験方法に関する試験																																	
		安定性試験に関する試験																																	
		使用実態調査																																	

2024年 月 日現在

別添1-3

担当者連絡先

企業名	
担当者所属	
担当者氏名	
所在地	〒
電話番号	
ファクシミリ番号	
E-mail アドレス	

- 〔注意〕
- ① 担当者としては、原則として窓口となる担当者一名を記載すること。
 - ② E-mailアドレス欄には、同報を希望するe-mailアドレスを括弧内に列記しても差し支えないこと。
 - ③ 開発品目に共同開発を行う品目がある場合は、当該品目の開発企業一覧を別紙として添付すること。
開発企業一覧においては、どの企業が代表企業となるか示すこと。
また、代表企業においては、開発企業一覧に、各企業の担当者の連絡先も記載すること。
(記載項目は本紙に同じ。)

関連要望番号	
--------	--

【記載例】

企業名	厚生労働株式会社
-----	----------

担当者所属	開発部長
担当者氏名	厚生 太郎
所在地	〒 100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2 中央合同庁舎ビル20階
電話番号	03-5253-1111
ファクシミリ番号	03-5253-1111
E-mail アドレス	kousei-tarou@mhlw.co.jp (roudou-hanako@mhlw.co.jp, kourou-jirou@mhlw.co.jp)

(公知申請への該当性に係る企業見解の様式)

要望番号；

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

公知申請への該当性に係る企業見解

〇〇〇（一般名）

△△△（開発要請内容）

1. 要望内容の概略について

要望された医薬品	一般名：	
	販売名：	
	会社名：	
要望者名		
要望内容	効能・効果	
	用法・用量	
	効能・効果及び 用法・用量以外 の要望内容（剤 形追加等）	
備考		

2. 要望内容における医療上の必要性について

（１）適応疾病の重篤性についての該当性
（２）医療上の有用性についての該当性

3. 欧米等6カ国の承認状況等について

（１） 欧米等6カ国の承認状況及び開発状況の有無について

1) 米国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または米 国における開発の有 無）	

備考	
2) 英国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または英国における開発の有無）	
備考	
3) 独国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または独国における開発の有無）	
備考	
4) 仏国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または仏国における開発の有無）	
備考	
5) 加国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または加国における開発の有無）	
備考	
6) 豪州	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または豪州における開発の有無）	
備考	

(2) 欧米等6カ国での標準的使用状況について

1) 米国	
ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
2) 英国	
ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
3) 独国	
ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
4) 仏国	

(公知申請への該当性に係る企業見解の様式)

要望番号；

ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
5) 加国	
ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
6) 豪州	
ガイドライン名	
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	

4. 要望内容について企業側で実施した海外臨床試験成績について

--

5. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等の公表論文としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等＞

1)

＜日本における臨床試験等＞

1)

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

6. 本邦での開発状況（経緯）及び使用実態について

(1) 要望内容に係る本邦での開発状況（経緯）等について

(2) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態について

7. 公知申請の妥当性について

(1) 要望内容に係る外国人におけるエビデンス及び日本人における有効性の総合評価について

--

(2) 要望内容に係る外国人におけるエビデンス及び日本人における安全性の総合評価について

--

(3) 要望内容に係る公知申請の妥当性について

--

8. 効能・効果及び用法・用量等の記載の妥当性について

(1) 効能・効果について

--

(2) 用法・用量について

--

(3) 上記(1)及び(2)以外の添付文書の記載内容について

1) 国内外の添付文書の記載内容(注意喚起等)の異同について

--

2) 上記1)以外で本邦の添付文書上で改訂が必要と考えられる箇所の有無について

--

9. 要望内容に係る更なる使用実態調査等の必要性について

(1) 要望内容について現時点で国内外のエビデンスまたは臨床使用実態が不足している点の有無について

--

(2) 上記(1)で臨床使用実態が不足している場合は、必要とされる使用実態調査等の内容について

(公知申請への該当性に係る企業見解の様式)

要望番号；

--

(3) その他、製造販売後における留意点について

--

10. 備考

--

11. 参考文献一覧

1)
